

Edición génica de células de modelos animales para un tránsito más rápido de los tratamientos para DMD a la clínica.

Institución: Instituto de Investigación Sanitaria BioCruces, Barakaldo

Investigadora principal: Dra. Virginia Arechavala Gomeza

Los nuevos medicamentos para la distrofia muscular de Duchenne se desarrollan habitualmente en dos modelos distintos: en células de pacientes (para demostrar que funcionan en la enfermedad humana) y en modelos animales (para comprobar que versiones para animales de nuestro medicamento funcionan en vivo y para comprobar que el medicamento no es tóxico).

Muchos estudios que han dado resultados prometedores en ensayos en ratones no muestran los resultados esperados cuando llegan a la clínica. Hay varias razones que lo explican: por un lado, la enfermedad en estos animales tienen diferencias importantes con la versión humana y, por el otro, la falta de cultivos celulares de biopsias humanas hace difícil evaluar un número de compuestos adecuado para poder elegir los mejores candidatos.

Para poder solventar ese problema hay diversas soluciones posibles y en este proyecto aspiramos a combinar varias de ellas. Por un lado, se ha descrito un modelo de cerdo (cerdo-DMD) que tiene unas características mucho más parecidas a la enfermedad humana y, por otro, nuevas técnicas de edición génica permiten reproducir la enfermedad en cultivos derivados de biopsias de músculo que podrían no provenir necesariamente de pacientes. Gracias a una colaboración, nuestro grupo está estudiando células de este modelo porcino y en este proyecto vamos a estudiar estas células y manipularlas con técnicas de edición génica para cumplir varios objetivos: mejorar los procesos del desarrollo de nuevas terapias, minimizar los experimentos en modelos animales, sustituyéndolos por cultivos celulares y evaluar la posibilidad del uso de la terapia génica como una opción terapéutica más.

Nuestro [grupo](#) está especializado en el desarrollo de métodos para la evaluación de distintas terapias para la distrofia muscular de Duchenne y esperamos estos métodos contribuyan a que el proceso de desarrollo de nuevas terapias en DMD sea lo más rápido y eficiente posible.