



Desenvolupament de nanomedicines per a la teràpia de substitució enzimàtica en la malaltia de Fabry

Dr. Simó Schwartz Navarro

Hospital Universitari Vall d'Hebron. Institut de Recerca

Dra. Maria García Parajo

Institut de Bioenginyeria de Catalunya

Dr. Fausto Sanz Carrasco

Facultat de Química. UB

Dr. Manuel Trías Folch

Hospital de la Santa Creu i Sant Pau

Dr. Jaume Veciana Miró

Institut de Ciència de Materials de Barcelona

Dr. José Luis Corchero Nieto

Institut de Biotecnologia i Biomedicina. UAB

Quin era l'objectiu del projecte?

Desenvolupar un nou sistema d'alliberament farmacològic dirigit per millorar l'eficàcia terapèutica de l'actual teràpia enzimàtica substitutiva per a la malaltia de Fabry, produïda per acumulació de dipòsits lipídics de Gb3 lisosomals.

Què han descobert?

Hem desenvolupat un nou nanoconjugat terapèutic basat en vesícules lipídiques unilamel·lars que transporten l'enzim defectiu de la malaltia de Fabry, anomenat alfa-galactosidasa, preferentment al lisosoma de cèl·lules endotelials per mitjà d'un sistema de direcció específic contra receptors de membrana endotelial.

Quina aplicació pràctica tindrà aquest resultat?

Aquest nanoconjugat permet reintroduir l'enzim defectiu al lisosoma cel·lular, que és on ha de desenvolupar la seva activitat, preferentment en cèl·lules endotelials, i així augmentar l'eficàcia dels actuals tractaments enzimàtics substitutius de la malaltia de Fabry i millorar l'evolució de la malaltia i la seva morbimortalitat.