



RESUMEN PROYECTOS DE INVESTIGACIÓN FUNDACIÓN ISABEL GEMIO 2011

La **Fundación Isabel Gemio** dirige sus esfuerzos a la investigación de las enfermedades neuromusculares y otras enfermedades raras, pero más concretamente orienta las subvenciones a los proyectos que investigan en posibles tratamientos.

Los 4 proyectos subvencionados tienen esta finalidad.

1.- El **proyecto del Hospital 12 de octubre de Madrid, Dr Miguel Angel Martin**, actualmente dirige sus esfuerzos al desarrollo de una nueva técnica con ratones que ayudan a conocer el origen de las Enfermedades Neuromusculares, es decir, identifican el GEN defectuoso. Inoculan en los propios ratones el mismo defecto que tienen los afectados de Enfermedades Neuromusculares, de este modo se evita probar con las personas y que estas padezcan efectos secundarios negativos.

2.- El proyecto de **Donostia Dr Lopez de Munain** va encaminado a la terapia celular "células madre" con un tipo particular de células que se denominan IPS: son células que derivan de la piel y que una vez manipuladas en el laboratorio pueden "fabricar" músculo.

3.- El **proyecto del Hospital Sant Pau de Barcelona Dra Illa** investiga el tratamiento con 2 tipos de terapia con células madre. El primero es a partir de trasplantes de médula ósea y el segundo a partir de unas "células madre" que se llaman mesoangioblastos o pericitos.

En cuanto al *trasplante de médula ósea*, nuestro país es pionero en el mundo en trasplantes y tenemos experiencia en hacer trasplantes. El proyecto estudia si las células madre de la médula ósea son capaces de ir a músculo y regenerarlo o no. Los resultados que se han obtenido indican que sí que pueden regenerar pero en un porcentaje pequeño, que no es suficiente para notar una mejoría en la fuerza. En lo que están trabajando actualmente es en cambiar varias condiciones del trasplante para tratar de mejorar la eficacia.

En cuanto a los *mesangioblastos o pericitos*, escogieron estas células porque se pueden inyectar por vía arterial y porque ya se han obtenido resultados exitosos en diferentes modelos animales incluyendo ratones y animales grandes, como los perros, afectados de distrofia muscular de Duchenne.

Ahora se ha empezado a hacer una **primera fase de prueba en niños**, concretamente en 3. Tras un seguimiento de un año, si funciona, se llevará a cabo un **Ensayo Clínico en EE.UU, Italia y España**. La duración del Ensayo dependerá de cómo se sientan los niños. Se introducen células de músculos provenientes de otras personas. Ahora, de momento serán células de los familiares.

En España contamos con una *Agencia de Terapias Avanzadas* que nos va a permitir agilizar los tratamientos en cuanto los consideren seguros y en el Hospital Sant Pau de Barcelona disponen de las Salas Blancas y demás elementos necesarios para los trasplantes de células.



4.- **Proyecto Hospital La Fe de Valencia, Dr. Vilchez**, encaminado a reducir el proceso de fibrosis para que las terapias tanto genéticas como celulares puedan ser más eficaces. Sería lo que se denomina un tratamiento sintomático, es decir que no va dirigido a curar la mutación sino a preservar el músculo lo mejor posible para que los tratamientos curativos encuentren el músculo en mejores condiciones.

DATOS ECONÓMICOS DE LOS PROYECTOS CIENTÍFICOS FINANCIADOS POR LA FUNDACIÓN ISABEL GEMIO

1. Dra. ISABEL ILLA: Hospital Santa Cruz y San Pablo de Barcelona

- Coste: 400.000 €
- Importe financiado: 212.400 €
- Pendiente: 187.600 €

2. Dr. ADOLFO LÓPEZ DE MUNAIN: Hospital Donostia de San Sebastián

- Coste: 300.000 €
- Importe financiado: 129.300 €
- Pendiente: 170.700€

3. Dr. MIGUEL ÁNGEL MARTÍN: Hospital 12 de Octubre de Madrid

- Coste: 331.000 €
- Importe financiado: 66.200 €
- Pendiente: 264.800 €

4. Dr. VILCHEZ: Hospital de la Fe de Valencia.

- Coste: 180.000 €
- Importe financiado: 27.000 €
- Pendiente: 153.000 €