

Dos proyectos del CNIC reciben becas de la Progeria Research Foundation (PRF) para mejorar el tratamiento de la progeria

28/10/2015

La Progeria Research Foundation (PRF) ha seleccionado dos proyectos liderados por el CNIC en su programa de becas y ayudas para la investigación del Síndrome de Envejecimiento Prematuro.

La Progeria Research Foundation (PRF) ha seleccionado dos proyectos liderados por el Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares Carlos III (CNIC) en su programa de becas y ayudas para la investigación del Síndrome de Envejecimiento Prematuro (también denominado Progeria o HGPS, del inglés Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome) y de los trastornos cardiovasculares asociados, incluyendo la identificación de mecanismos patológicos y el desarrollo de tratamientos para esta enfermedad.

Según la PRF, los proyectos dirigidos por el Dr. Vicente Andrés García (Established Investigator Award) y por el Dr. Jesús Vázquez Cobos (Specialty Award), ambos pertenecientes al Área de Fisiopatología Vascolar del CNIC, reúnen el carácter innovador en investigación en Progeria que desde hace 16 años viene financiando esta institución con el objetivo de mejorar el tratamiento de HGPS y eventualmente curar esta enfermedad.

El proyecto del **Dr. Vicente Andrés García** ("Generation of a HGPS Knock-in pig model to expedite the development of effective clinical applications") persigue generar un modelo de progeria en cerdo, en colaboración con la Dra. Charlotte B. Sørensen de Aarhus Universitet (Dinamarca).

Los modelos de HGPS que se han generado en ratón presentan limitaciones para su utilización en investigación preclínica.

En este sentido, el cerdo es una especie animal que presenta grandes similitudes con humanos en cuanto al tamaño de sus órganos, anatomía, longevidad, genética y fisiopatología, por lo que se considera un modelo muy adecuado para investigación cardiovascular traslacional. El objetivo del laboratorio del Dr. Andrés es generar un modelo porcino de HGPS para realizar estudios preclínicos y ensayar nuevas estrategias terapéuticas con mayor potencial traslacional.

Por su parte, el equipo del **Dr. Jesús Vázquez Cobos**, ha desarrollado una nueva tecnología basada en espectrometría de masas para la detección y cuantificación de progerina farnesilada, una proteína modificada cuya acumulación produce la enfermedad. Esta tecnología reviste mucho interés porque una de las líneas de acción más prometedoras para el tratamiento de la Progeria es el

uso de inhibidores de farnesilación; sin embargo, en la actualidad no existe un procedimiento suficientemente robusto para determinar los niveles de esta proteína. El objetivo del proyecto financiado por la PRF, titulado “Quantitation of farnesylated progerin in progeroid mouse tissues and circulating leukocytes from HGPS patients”, es adaptar dicha tecnología para poder detectar la proteína modificada en muestras de sangre de pacientes con HGPS. Si tiene éxito, la técnica podría proporcionar a los científicos una herramienta muy valiosa para evaluar la eficacia de tratamientos experimentales en humanos y monitorizar la progresión y la gravedad de esta enfermedad.

HGPS es un síndrome de “envejecimiento prematuro” por el que los niños fallecen entre los 7 a 21 años de edad, principalmente debido a problemas cardiovasculares (arteriosclerosis acelerada e infarto de miocardio o cerebral).

El objetivo de la PRF es encontrar una cura y tratamiento efectivo para la Progeria y sus enfermedades relacionadas mediante estudios médicos, ayuda y educación.

Durante los últimos 16 años, esta Fundación ha proporcionado más de 6,7 millones de \$ (unos 5,9 millones de €) para financiar 60 becas para proyectos de investigación relacionados con la Progeria desarrollados en 18 estados y 13 países. Los proyectos han permitido descubrimientos importantes sobre la progeria, la enfermedad cardíaca y el envejecimiento. Este año las becas se han dotado con un total de 1 millón de \$.

Source

URL:<https://www.cnic.es/en/noticias/dos-proyectos-cnic-reciben-becas-progeria-research-foundation-prf-para-mejorar-tratamiento>