

Un sistema identifica fármacos eficaces contra las enfermedades mitocondriales

Científicos de la Universidad Pablo de Olavide han patentado un nuevo procedimiento para la identificación y evaluación de fármacos que podrían emplearse como tratamiento eficaz para enfermedades mitocondriales, tales como el síndrome MELAS (miopatía, encefalopatía, acidosis láctica y episodios semejantes a apoplejías). Los investigadores han diseñado un sistema que permite el cribado de miles de fármacos de forma robotizada y económica usando levaduras, fibroblastos y cíbridos.

UPO

31/7/2012 10:32 CEST

Estas patologías tienen su origen en una disfunción mitocondrial y abarcan trastornos neurodegenerativos, crónicos y progresivos. Imagen: Wikipedia.

Un grupo de científicos de la Universidad Pablo de Olavide ha patentado un nuevo procedimiento para la identificación y evaluación de fármacos que podrían emplearse como tratamiento eficaz para enfermedades mitocondriales, tales como el síndrome MELAS (miopatía, encefalopatía, acidosis láctica y episodios semejantes a apoplejías).

El equipo del departamento de Fisiología, Anatomía y Biología Celular, liderado por José Antonio Sánchez Alcázar, y con el apoyo de la [Asociación de Enfermos de Patologías Mitocondriales](#) (AEPMI), ha diseñado un sistema que permite el cribado de miles de fármacos de forma robotizada y económica. Los resultados de una aplicación práctica de este nuevo método han sido publicados en la revista *British Journal of Pharmacology*.

La patente de la UPO, incorporada al catálogo online [UPOtec](#), consiste en un procedimiento que, de forma rápida y efectiva, permite el cribado de miles de fármacos de forma robotizada y económica mediante el uso de una levadura mutante de la especie *Saccharomyces cerevisiae*, que sirve como modelo celular sencillo de los pacientes; así como fibroblastos y cíbridos transmitocondriales de los propios afectados por el síndrome MELAS. En la actualidad el grupo de investigación colabora con la [Fundación Medina de Granada](#) para la realización de los ensayos robotizados. .

Según Sánchez Alcazar, las patologías mitocondriales se enmarcan dentro de lo que se conocen como enfermedades raras. Tienen su origen en una disfunción mitocondrial y abarcan un amplio espectro de trastornos neurodegenerativos, crónicos y progresivos. En su estudio, estos investigadores se han centrado el síndrome MELAS, una enfermedad cuya progresión suele ser dramática y en la que sus pacientes experimentan un progresivo deterioro neurológico y neuromuscular que resulta en demencia, severa invalidez y muerte repentina, a menudo antes de los 20 años. Tras el diagnóstico, la supervivencia media del paciente es de 6,5 años.

Búsqueda de nuevos tratamientos

A día de hoy no existen tratamientos eficaces para estas enfermedades, limitándose a medidas paliativas, generales y farmacológicas. Los estudios que demuestran su eficacia no es concluyente y su evaluación es complicada por la relativa rareza de estas enfermedades, la presencia de síntomas diversos y el curso impredecible. Es por ello que estos científicos se plantearon la necesidad de indagar en la búsqueda de nuevos tratamientos eficaces: Y el nuevo método -dicen- abre una puerta para ello.

Junto a la patente del sistema, estos investigadores han demostrado la validez de estos modelos celulares en la búsqueda de nuevos tratamientos farmacológicos para el síndrome MELAS. En una serie de ensayos piloto con los tratamientos utilizados más habitualmente en la práctica clínica, se demuestra que los compuestos como la coenzima Q y riboflavina en el cribado inicial con levaduras mutantes revierten el defecto en el crecimiento dependiente de la respiración. Además en fibroblastos y cíbridos MELAS mejoran las alteraciones fisiopatológicas: aumento de la proliferación celular y los niveles de ATP, reducción de la producción de especies reactivas de

oxígeno, disminución de la actividad mitofágica y aumento de la expresión de proteínas y actividades enzimáticas mitocondriales.

Daño mitocondrial

Para José Antonio Sánchez Alcázar, “esto confirma que aquellos fármacos capaces de suprimir el defecto respiratorio tras la disminución de la actividad de las enzimas de la cadena respiratoria mitocondrial en el cribado inicial en levaduras, son igualmente capaces de revertir las alteraciones fisiopatológicas en fibroblastos y cíbridos MELAS”. Un sistema que, además, podría dar como resultado terapias relevantes para otras enfermedades como la diabetes, parkinson, arteriosclerosis, alzhéimer e, incluso, el cáncer, en las que también juega un papel determinante la disfunción mitocondrial.

Según el investigador, “incluso muchas drogas utilizadas en la práctica clínica como los antivirales o antibióticos causan daño mitocondrial, que podría aliviarse con los nuevos tratamientos”.

El trabajo de investigación que ha dado como resultado la patente “Método para el cribado-evaluación de la eficacia de medicamentos para el tratamiento de enfermedades mitocondriales y síndrome MELAS” ha contado con financiación del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad y el Fondo Europeo de Desarrollo Regional; el Servicio Andaluz de Salud (SAS) de la Junta de Andalucía; la Consejería de Economía, Innovación, Ciencia y Empleo de la Junta de Andalucía; y la [Asociación de Enfermos de Patología Mitocondrial \(AEPMI\)](#).

Referencia bibliográfica:

Garrido-Maraver J, Cordero MD, Domínguez Moñino I, Pereira-Arenas S, Lechuga-Vieco AV, Cotán D, De la Mata M, Oropesa-Ávila M, De Miguel M, Bautista Lorite J, Rivas Infante E, Alvarez-Dolado M, Navas P, Jackson S, Francisci S, Sánchez-Alcázar JA. “[Screening of effective pharmacological treatments for MELAS syndrome using yeasts, fibroblasts and cybrids models of the disease](#)”, *British Journal of Pharmacology*, 2012 Jul 2. doi: 10.1111/j.1476-5381.2012.02086.x

Derechos: **Creative Commons**

TAGS

ENFERMEDADES MITOCONDRIALES | PATENTE | FÁRMACO |

Creative Commons 4.0

Puedes copiar, difundir y transformar los contenidos de SINC. [Lee las condiciones de nuestra licencia](#)