

LA INTRODUCCIÓN DE UN "SENSOR DE GLUCOSA" ELIMINA LOS SÍNTOMAS DE LA ENFERMEDAD

Consiguen curar la diabetes tipo 1 en perros

Investigadores de la Universidad Autónoma de Barcelona han conseguido curar completamente la diabetes tipo 1 en perros mediante una única sesión de terapia génica. Es la primera vez que se consigue curar la enfermedad en animales grandes, un paso fundamental para la aplicación de la terapia en humanos.

UAB

7/2/2013 16:10 CEST



El equipo de investigación de la UAB, liderado por la doctora Fàtima Bosch (en el centro de la fotografía), con dos perros curados de la diabetes mediante terapia génica. / Pierre Caufapé.

Un grupo de investigación de la Universidad Autónoma de Barcelona (UAB), liderado por la profesora Fàtima Bosch, ha demostrado por primera vez que es posible curar la diabetes en animales grandes con un solo tratamiento mediante terapia génica. Según publican esta semana la revista *Diabetes*, después de un solo tratamiento de terapia génica los perros recuperan su estado de salud y dejan de padecer los síntomas de la diabetes. El seguimiento se ha realizado durante más de cuatro años en algunos ejemplares, y en ningún caso han reaparecido los síntomas de la

enfermedad.

"La terapia es muy poco invasiva. Consiste en una sola sesión de diversas inyecciones en las patas traseras del animal mediante agujas sencillas, utilizadas comúnmente en tratamientos de estética", aseguran los expertos.

Mediante estas inyecciones se introducen vectores de terapia génica con un doble objetivo: expresar el gen de la insulina, por un lado, y de la glucoquinasa, por otro. La glucoquinasa, una enzima, actúa como un regulador de la captación de glucosa de la sangre. Cuando ambos genes actúan simultáneamente hacen la función de un "sensor de glucosa", consiguiendo una regulación automática de la captación de la glucosa de la sangre y reduciendo así la hiperglucemia diabética (el exceso de glucosa asociado a la enfermedad).

"El estudio representa la primera demostración de curación de diabetes a largo plazo en un modelo animal grande utilizando terapia génica"

Según destaca Bosch, "el estudio representa la primera demostración de curación de diabetes a largo plazo en un modelo animal grande utilizando terapia génica"

Este tipo de terapia ya había sido ensayada en ratones con anterioridad por el mismo grupo de investigadores, pero los excelentes resultados obtenidos esta vez con animales grandes sientan las bases para la transferencia clínica de esta aproximación de terapia génica a la medicina veterinaria y a su futura aplicación en pacientes diabéticos.

Terapia génica segura y efectiva

El estudio provee abundantes datos que avalan la seguridad del tratamiento con terapia génica mediada por vectores adenoasociados (AAV) en perros diabéticos. La terapia ha demostrado ser segura y efectiva: se basa en la transferencia de dos genes al músculo de animales adultos usando una nueva generación de vectores muy seguros denominados vectores

adenoasociados. Estos vectores derivan de virus no patógenos, son ampliamente usados en terapia génica, y han demostrado éxito en el tratamiento varias enfermedades.

De hecho, el primer medicamento de terapia génica aprobado por la agencia europea del medicamento, denominado Glybera®, se basa en vectores adenoasociados para tratar una enfermedad metabólica, causada por la deficiencia de lipoproteinlipasa y el consiguiente acúmulo de triglicéridos en la sangre.

Control de la enfermedad a largo plazo

Los perros tratados con una única administración de terapia génica mostraron en todo momento un buen control glucémico, tanto en ayunas como en alimentación, mejor que los perros tratados con inyecciones diarias de insulina y sin la aparición de episodios de hipoglucemia, ni siquiera después de realizar ejercicio. Además, los perros tratados con vectores adenoasociados normalizaron el peso corporal y no desarrollaron complicaciones secundarias después de cuatro años desde el tratamiento.

Se sientan las bases para la transferencia clínica de esta aproximación de terapia génica a la medicina veterinaria y, en un futuro, en pacientes diabéticos

Se trata de la primera publicación que describe un adecuado control de la diabetes a largo plazo en animales grandes. Esto nunca había sido logrado antes con ninguna de las terapias innovadoras para diabetes. A su vez, es la primera publicación que describe que una única administración de genes a perros diabéticos es capaz de conseguir el mantenimiento de la normoglucemia a largo plazo (más de 4 años). Además de conseguir la normoglucemia, los perros presentaban niveles normales de proteínas glucosiladas y no desarrollaron complicaciones secundarias de la diabetes tras más de 4 años de evolución de su diabetes.

Aplicación en pacientes diabéticos

Hasta el momento, se han llevado a cabo múltiples ensayos clínicos con vectores AAV administrados directamente al músculo esquelético para el tratamiento de otras enfermedades, por lo que la estrategia descrita en este trabajo puede ser transferida a la clínica.

Futuros estudios de seguridad y eficacia proporcionarán las bases para la iniciación de un ensayo clínico veterinario para el tratamiento de la diabetes en animales de compañía, lo cual proporcionará información clave para el posible ensayo de esta estrategia en humanos. En conclusión, este trabajo sienta las bases para la transferencia clínica de esta aproximación de terapia génica a la medicina veterinaria y, en un futuro, en pacientes diabéticos.

Diabetes mellitus

La diabetes mellitus es la enfermedad metabólica más común, y un gran número de pacientes requieren tratamiento con insulina para sobrevivir. A pesar del control de la enfermedad mediante las inyecciones de insulina, éstos pacientes suelen desarrollar graves complicaciones secundarias como por ejemplo ceguera, daño renal o amputación de extremidades. Además, para conseguir un buen control glucémico, la insulina debe inyectarse dos o tres veces al día, lo que comporta un riesgo de padecer hipoglucemias (bajadas del azúcar en sangre); un problema añadido a la propia incomodidad del tratamiento.

Referencia bibliográfica:

Callejas D, Mann CJ, Ayuso E, Lage R, Grifoll I, Roca C, Andaluz A, Ruiz-de Gopegui R, Montane J, Munoz S, Ferre T, Haurigot V, Zhou S, Ruberte J, Mingozzi F, High K, Garcia F, Bosch F "Treatment of Diabetes and Long-term Survival Following Insulin and Glucokinase Gene Therapy". *Diabetes*. 1 de febrero de 2013.

En la investigación, liderada por la directora del Centro de Biotecnología Animal y Terapia Génica de la UAB (CBATEG) Fàtima Bosch, han participado el Departamento de Bioquímica y de Biología Molecular de la UAB, el Departamento de Medicina y Cirugía Animal de la UAB, la Facultad de Veterinaria de la UAB, el Departamento de Sanidad y Anatomía Animal de la UAB, el CIBER de Diabetes y Enfermedades Metabólicas Asociadas (CIBERDEM), el Children's Hospital of Philadelphia (EUA) y el Howard Hughes Medical Institute of Philadelphia (EUA).

Derechos: **Creative Commons**

TAGS

DIABETES MELLITUS | TERAPIA GÉNICA |

Creative Commons 4.0

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