

dimecres, 25 de novembre de 2020

Investigadors de la UdL i l'IRBLleida validen els beneficis d'un fàrmac per l'Atàxia de Friedreich

Publiquen els resultats sobre la leriglitzona a 'Neurobiology of Disease'

Investigadors i investigadores del grup de recerca [Bioquímica de l'Estrès Oxidatiu](#) [



Grup de recerca Bioquímica de l'estrès oxidatiu / Foto: IRBLleida

<https://www.irblleida.org/ca/recerca/12/bioquimica-de-l-estres-oxidatiu>] de la Universitat de Lleida (UdL) i l'Institut de Recerca Biomèdica de Lleida (IRBLleida) han demostrat els beneficis d'un fàrmac per tractar l'**Atàxia de Friedreich** [<https://enfermedades-raras.org/index.php/component/content/article?id=731>], una malaltia rara que afecta 2-4 persones de cada 100.000 i per a la qual, actualment, no hi ha una cura efectiva. Els resultats del seu estudi sobre la **leriglitzona** [<https://fedaes.org/leriglitzona-en-el-tratamiento-de-la-ataxia-de-friedreich-designada-medicamento-huerfano-por>], desenvolupada per l'empresa Minoryx Therapeutics, els han publicat a la revista *Neurobiology of Disease*. A la recerca han participat també la Universitat de València, el CIBER de Malalties Rares de València (CIBERER) i l'Hospital pediàtric de Filadèlfia (Estats Units).

L'Atàxia de Friedreich es produeix per deficiència dels nivells d'una proteïna mitocondrial anomenada **frataxina** [<https://es.wikipedia.org/wiki/Frataxina>], que comporta afectacions neurològiques i cardíques. Es caracteritza per una descoordinació progressiva en el moviment. Els primers símptomes acostumen a aparèixer durant la pre-adolescència i es van agreujant amb l'edat. Normalment, abans dels 20 anys les persones que pateixen la malaltia ja han d'utilitzar cadira de rodes.

La recerca ha confirmat que la leriglitzona millora les deficiències de pèrdua de frataxina en models cel·lulars, en ratolins model de la malaltia i en mostres de pacients. Les conclusions afirmen que protegeix les neurones i pot reduir l'acumulació de lípids als cardiomiòcits, les cèl·lules del múscul cardíac. El fàrmac, que se subministra per via oral amb una alta eficiència de penetració cerebral, té un efecte antioxidant, antiinflamatori i neuroprotector. Actualment es troba en fase II avançada en els assajos clínics per a aquesta malaltia.

"Aquest resultat permet estar esperançats respecte a trobar fàrmacs que, ja sigui de manera individual o en combinació amb uns altres, permetin millorar la vida dels pacients", destaca el responsable del grup de recerca i catedràtic de la UdL, Joaquim Ros. "És obvi que la millora en les funcions mitocondrials és el cavall de batalla d'aquesta recerca traslacional i que, amb aquesta millora, permet entreveure que poden millorar-se els símptomes neurològics", afegeix.

L'estudi ha estat possible gràcies a les ajudes Reptes-Col·laboració i Torres Quevedo, del ministeri de Ciència i Innovació, ENISA Joves emprenedors del ministeri d'Indústria, Comerç i Turisme, i Region Wallonne. Els següents passos en la recerca són veure els resultats dels assajos clínics que està duent a terme Minoryx Therapeutics i continuar aportant evidències moleculars de millora de les alteracions cel·lulars que es produeixen per falta de frataxina.

Text: Comunicació IRBLleida / Premsa UdL

MÉS INFORMACIÓ:

Article *PPAR gamma agonist leriglitzone improves frataxin-loss impairments in cellular and animal models of Friedreich Ataxia* [

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S096999612030437X?via%3Dihub>]