

La distrofia muscular de Duchenne, un paso más cerca de tener cura

Contribuido por paula Moreno

Los enfermos de distrofia muscular de Duchenne, una de las denominadas "enfermedades raras", están de enhorabuena, ya que un equipo de científicos ha desarrollado un tratamiento genético capaz de frenar la enfermedad mediante una simple inyección intramuscular.

Los enfermos de distrofia muscular de Duchenne, una de las denominadas "enfermedades raras", están de enhorabuena, ya que un equipo de científicos ha desarrollado un tratamiento genético capaz de frenar la enfermedad mediante una simple inyección intramuscular.

Este avance, que publica hoy la revista médica británica "The Lancet", podría poner fin a la distrofia muscular de Duchenne (DMD), una enfermedad degenerativa muscular que se desarrolla en los primeros años de la infancia y provoca la atrofia de las extremidades, disminuye la capacidad respiratoria y daña el cerebro.

La causa de esta patología se encuentra en una malformación genética que impide la creación de la proteína distrofina, cuyo papel es estabilizar las membranas plasmáticas de los músculos durante la contracción de los mismos.

Se trata, además, de una enfermedad que afecta principalmente a los varones, pero su incidencia es muy limitada (1 de cada 3.500 en el mundo) y se enmarca dentro del grupo de "enfermedades raras" que hasta el momento no presentan cura, sino tan sólo cuidados paliativos como la fisioterapia.

Tan sólo en los últimos tiempos, la investigación genética ha conseguido prometedores avances ligados a las moléculas denominadas "antisentido", pequeños segmentos de ADN diseñados para unirse a un gen problemático, como es el caso.

Sin embargo, hasta ahora no se ha llevado a cabo ningún ensayo práctico que evalúe la eficacia de estas moléculas una vez introducidas en el organismo enfermo.

Por ello, un grupo de expertos del Instituto de Salud Infantil del University College de Londres ha efectuado un ensayo en el que se prueban tanto la efectividad como la seguridad de la molécula antisentido AVI-4658, dirigida a uno de los "puntos calientes" de esta enfermedad, el exón -segmento de ADN- número 51.

Así, esta molécula le fue inyectada de forma intramuscular a siete individuos en el pie, y los resultados muestran que todos ellos consiguieron aumentar la producción de distrofina sin la aparición de ningún efecto secundario.

En un artículo complementario, un grupo de expertos de la Universidad de Leiden (Holanda) sostiene que este avance ha de ser sometido a ensayos de mayor envergadura para poder pensar en la extensión en un futuro de este tratamiento.

Asimismo, los investigadores de Lieden añaden que hay que trabajar para conseguir el bloqueo del resto de exones involucrados en la enfermedad para que los tratamientos vayan dirigidos a todos los enfermos y no sólo a una parte limitada de ellos.

Fuente original: http://www.elconfidencial.com/cache/2009/08/25/21_distrofia_muscular_duchenne_cerca_tener.html