

Desarrollo de nanopartículas para el tratamiento de enfermedades genéticas recibe una importante inversión



Las terapias génicas buscan corregir el funcionamiento incorrecto de ciertos genes incorporando ADN modificado a las células con el fin de corregir el comportamiento defectuoso. Investigadoras de la Facultad de Ciencias Químicas proponen utilizar nanopartículas de óxido como vehículos de ese ADN en el tratamiento de patologías como la fibrosis quística, la piel de cristal y la hemofilia. Días pasados, GridX, una iniciativa que impulsa y financia la creación de empresas biotecnológicas, incorporó el proyecto a su portfolio. De cumplir en tiempo con los plazos previstos y las regulaciones de Anmat, prevén iniciar la comercialización de sus productos en cinco años. [16.12.2021]

Por **Marysol Farneda**

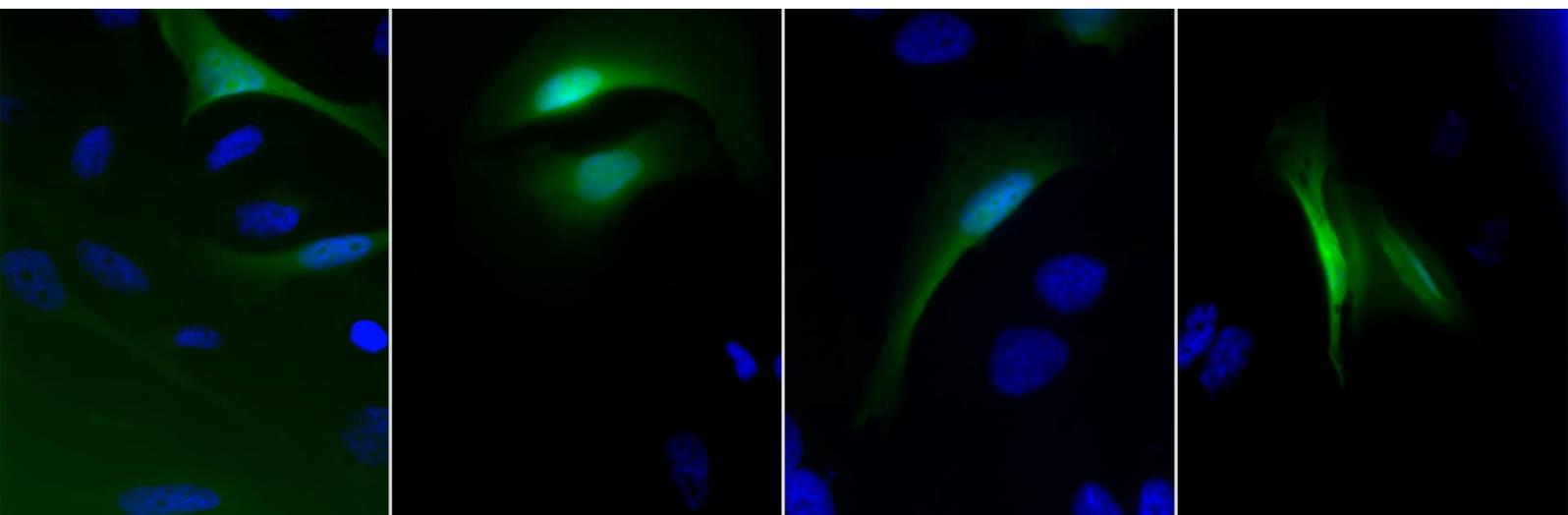
Investigadoras de la Facultad de Ciencias Químicas de la UNC avanzan en el desarrollo de nanopartículas de óxido que puedan ser usadas en estrategias terapéuticas aplicadas al tratamiento de enfermedades genéticas como la fibrosis quística, la piel de cristal y la hemofilia.

El origen de estas patologías se encuentra en el funcionamiento incorrecto de un gen. La propuesta de Cecilia Vasti y Carla Giacomelli, ambas científicas de la UNC, consiste en utilizar esas nanopartículas de óxido como un vehículo para llevar, hasta las células afectadas, un fragmento modificado de ADN (ácidos nucleicos) que permita corregir esa labor defectuosa.

Tras aprobar una serie de instancias de evaluación, el proyecto logró ingresar al portfolio de GridX, una iniciativa dedicada a potenciar y financiar la creación de empresas de base científica.

La firma que constituirán las investigadoras de la UNC se denominará “NanoTransfer”. Ya recibió parte de los 200 mil dólares que aportará GridX para avanzar en el desarrollo y actualmente se encuentra en proceso de registro en el programa de Empresas Biotecnológicas de Conicet. Prevén, además, firmar con la UNC un convenio de investigación y desarrollo.

De cumplir en tiempo con las etapas programadas y las regulaciones de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (Anmat), sus creadoras estiman que en cinco años podría empezar a comercializar los primeros productos.



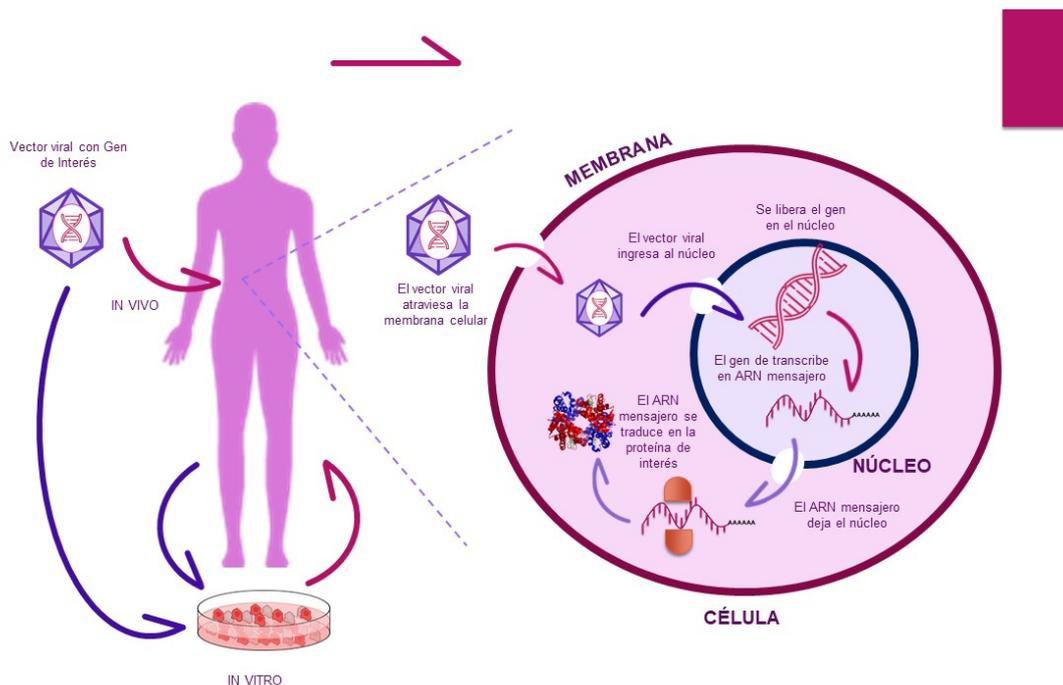
Imágenes de células HeLa transfectadas con Nanotransfer. Las células verdes expresan un gen que permite sintetizar una proteína fluorescente. Ese gen fue introducido a la célula utilizando como vehículo a Nanotransfer.

Caballos de Troya minúsculos

En las terapias génicas, tan relevante como el ADN modificado que se inocula al paciente es el vehículo que lo lleva al interior de la célula. Este transporte de material genético a una célula determinada se denomina transfección y es bastante común. Para ello se usan tanto vectores virales, como no virales (nanopartículas de oro, de hierro, poliméricas o liposomas).

La estrategia más usada, sin embargo, emplea vectores virales apropiadamente reformados para que no generen infecciones. El empleo de virus obedece a su gran capacidad para introducir material genético en las células.

Este abordaje, no obstante, tiene sus limitaciones. Gran cantidad de pacientes no pueden recibir este tratamiento porque a lo largo de sus vidas han generado respuesta inmune a algunos de los virus que se usan como vehículos. Y por la misma razón, este tipo de transporte solo puede aplicarse una sola vez.



Principios generales de la terapia génica que utiliza vectores virales. El vector viral cargando el gen de interés introduce el material genético a la célula. Una vez dentro, el gen es ingresado al núcleo celular, donde la maquinaria de la célula lo utiliza para generar una proteína funcional, y de esa manera repara el funcionamiento incorrecto que originó la enfermedad.

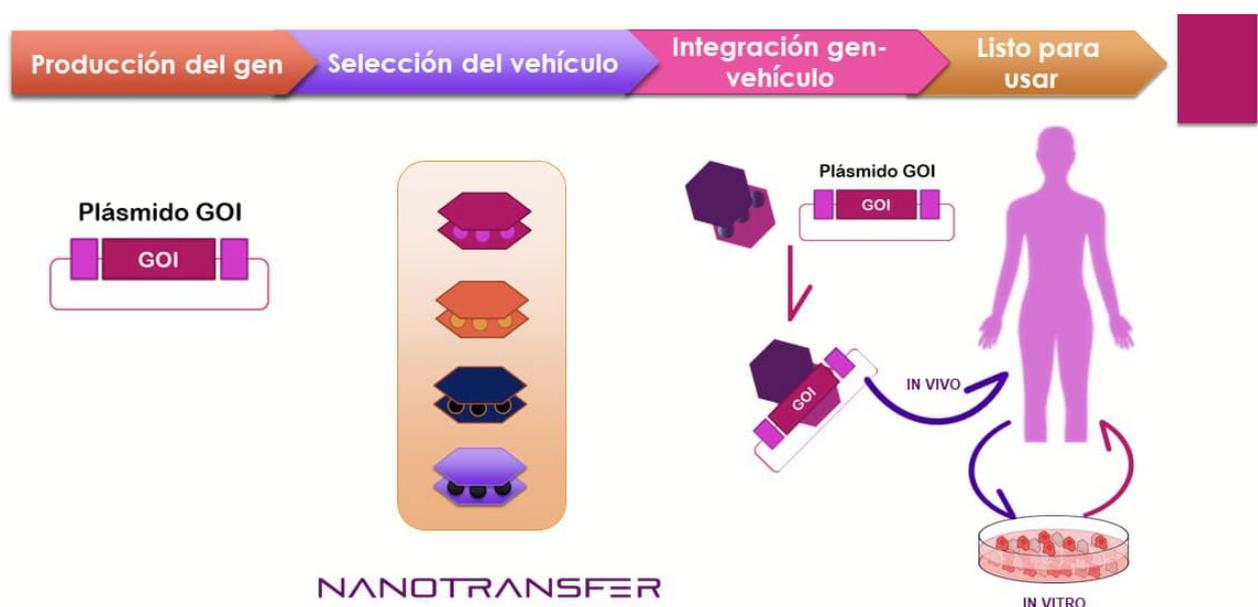
La innovación de Vasti y Giacomelli radica en usar nanopartículas de óxido en lugar de vectores virales. Son más económicas, pueden escalarse con mayor facilidad y cumplirían la misma función, pero sin generar respuesta inmune y con la posibilidad de repetir el tratamiento en caso de ser necesario.

“Estos agentes de transfección se unen al ADN que se debe ingresar a la célula enferma y lo modifican para que tenga exclusividad de ingreso, de manera que no entre a cualquier célula del cuerpo, sino que lo haga específicamente en aquella que uno quiere tratar”, explica Vasti.

“Una de las ventajas del uso de nanopartículas inorgánicas, respecto a los agentes virales, es que pueden modificarse de modo tal que nos permita apuntar con precisión, para llegar a un tipo de célula y no a otras. Y los agentes de transfección génica actuales no pueden hacer eso”, completa Giacomelli.

Las investigadoras aclaran que actualmente las empresas dedicadas a terapias génicas se enfocan en unas pocas enfermedades, porque hacer la síntesis para cada una de ellas demanda mucho tiempo. “Nuestro objetivo es desacoplar este proceso”, subraya Vasti.

“Queremos desarrollar nanovehículos versátiles, para que las empresas que realizan este tipo de tratamientos solo deban concentrarse en los genes y utilicen nuestros vehículos para hacer las terapias”, completa.



Cómo funciona Nanotransfer | Nanotransfer se integra con el gen de interés (GOI) en un único paso, con lo cual da lugar a un reactivo listo para usar en terapias tanto in vivo como

ex vivo. Su ingreso en la célula es mediante un mecanismo controlado preservando su viabilidad.

Otro de los aspectos positivos del desarrollo que comenzaron las científicas de la UNC es que un mismo vehículo podría ser utilizado para distintos tipos de enfermedades genéticas y podría tratarlas de un modo simple y económico, sin requerir de equipamiento complejo, ni procesos costosos o extensos.

De los laboratorios a la constitución de la empresa

Las investigadoras tomaron contacto con referentes de GridX –una company builder argentina que potencia proyectos de biotecnología– a través del Programa de Valorización del Conocimiento, que funciona en el Parque Científico Tecnológico y busca vincular grupos de investigación con el sector socioproductivo.

Presentaron la idea y después de casi un año de formación intensiva en diferentes temas del mundo de los negocios, fueron seleccionadas para ingresar al portfolio de empresas biotecnológicas de GridX. Ya recibieron parte de la inversión, que alcanzará los 200 mil dólares en la primera ronda.

Respecto a los plazos del proyecto, las autoras esperan que NanoTransfer salga al mercado con sus primeros productos dentro de cinco años, si logran cumplir todos los hitos del desarrollo y las regulaciones de Anmat, en tiempo.

Para Vasti y Giacomelli, NanoTransfer marcará un salto significativo en el mercado biotecnológico y el tratamiento de enfermedades genéticas.



Cecilia Vasti y Carla Giacomelli.



**NANO
TRANSFER**

Co-founder y CSO NanoTransfer: Dra. Carla Giacomelli

Co-founder y CTO: Dra. Cecilia Vasti

Co-founder y CEO NanoTransfer: Ing. Brian Reznik

Consultores científicos: Dra. Laura Valenti y Dr. Ricardo Rojas



UNCiencia es la agencia de comunicación pública de la ciencia, el arte y la tecnología de la Universidad Nacional de Córdoba. Es una iniciativa de la Prosecretaría de Comunicación Institucional.

✉ unciencia@pci.unc.edu.ar | ☎ (0351) 5353730.



Universidad
Nacional
de Córdoba



Prosecretaría
de Comunicación
Institucional