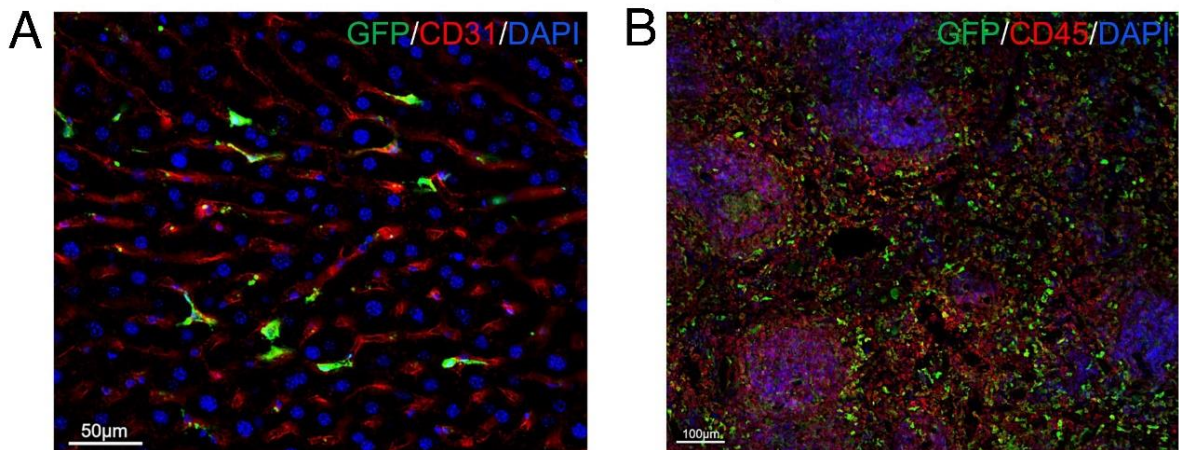


NOTA DE PRENSA

Un estudio del CABD abre la puerta al desarrollo de tratamientos novedosos en pacientes hemofílicos recién nacidos



Hígado con células trasplantadas. El hígado del receptor hemofílico es capaz de recibir las células trasplantadas, que podemos identificar ya que están marcadas con el color verde. / Mj Sánchez

- **Esta investigación ayuda a entender cómo funcionan las células fetales de hígado y su posible uso en enfoques de terapia celular**
- **Hasta ahora, el tratamiento de la hemofilia A en recién nacidos consiste principalmente en terapia de remplazo**

Sevilla, a 22 de junio de 2023. Un estudio colaborativo entre el grupo de la Dra. María José Sánchez, del Centro Andaluz de Biología del Desarrollo (CABD), centro de investigación mixto del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC), la Universidad Pablo de Olavide (UPO) y la Junta de Andalucía, el Dr. Antonio Liras de la Universidad Complutense y el de la Dra Antonia Follenzi de la Universidad del Piamonte Orientale (Novara) ha desvelado empleando un modelo experimental de ratón, que el injerto de células fetales normales en recién nacidos con hemofilia A permite la recuperación de los niveles terapéuticos del factor de coagulación afectado en esta enfermedad, el FVIII.

El resultado, publicado en la revista *Haematologica*, pone de manifiesto que **el injerto en recién nacidos de células fetales es más eficiente que el de las células donantes derivadas de médula ósea de adulto**, una técnica terapéutica que también se está estudiando.

La hemofilia A es una enfermedad causada por la falta de funcionalidad del factor de coagulación VIII (FVIII). Actualmente, el tratamiento consiste principalmente en terapia de reemplazo, con frecuentes infusiones del factor recombinante. La Dra. Sánchez, una de las investigadoras del estudio, indica que “el alto coste de producción y el hecho de que un elevado número de pacientes desarrolle anticuerpos bloqueantes contra el FVIII exógeno, evidencia la necesidad de investigar otras alternativas a la terapia de reemplazo”.

Esta es la razón por la que se han desarrollado nuevas estrategias de terapia génica, con el fin de conseguir una producción permanente de FVIII mediante la infusión en el hígado de vectores víricos de tipo AAV que expresan el FVIII (medicamento recientemente aprobado para pacientes adultos, ROCTAVIAN). Sin embargo, estos vectores víricos que no se integran en el genoma, no son apropiados para la población pediátrica debido a su progresiva dilución en el hígado a medida que el recién nacido va creciendo. “Por ello la terapia celular con el fin de proveer células productoras de FVIII es una estrategia de alto interés”, explica la investigadora María José Sánchez Sanz, del CABD.

Un estudio con potencial terapéutico

“Hemos observado en un modelo experimental que células madre y progenitoras fetales sanas trasplantadas en recién nacidos hemofílicos pueden contribuir durante un largo tiempo a la producción continua de las células sanguíneas y las células endoteliales vasculares, recuperando niveles terapéuticos de FVIII”, indica la investigadora María José Sánchez.

Este trabajo ha ampliado los conocimientos sobre las células fetales de hígado y su posible uso en enfoques de terapia celular para el tratamiento de pacientes hemofílicos recién nacidos. Sin embargo, aún queda por determinar si el tratamiento con progenitores hematopoyéticos o endoteliales por separado es más eficiente que el tratamiento con el conjunto de células del hígado fetal, así como la determinación de estrategias para incrementar a largo plazo el injerto endotelial vascular.

La información obtenida sobre la reconstitución del compartimento hemato/vascular en un modelo preclínico neonatal de hemofilia A, proporciona información útil para estudios centrados en la obtención de progenitores reconstituyentes a largo plazo a partir de otras fuentes de aplicación más asequibles para el tratamiento de pacientes hemofílicos pediátricos, como las células de sangre y cordón umbilical de características fetales o las células madre pluripotentes inducidas.

Referencia:

Simone Merlin et al. ***Therapeutic potential of fetal liver cell transplantation in hemophilia A mice***
Haematologica <https://doi.org/10.3324/haematol.2022.282001>

Contacto:

**Área de Comunicación y Relaciones Institucionales
Delegación del CSIC Andalucía**

Consejo Superior de Investigaciones Científicas

Pabellón de Perú

Avda. María Luisa, s/n

41013 – Sevilla

954 23 23 49 / 690045854

comunicacion.andalucia@csic.es

