

**Fundación Bancaria "la Caixa"**

# 20 PROYECTOS CLAVE

**para la investigación  
biomédica de España  
y Portugal**

---

La Fundación Bancaria "la Caixa" ha seleccionado 20 proyectos en la primera convocatoria abierta y competitiva de investigación biomédica puesta en marcha por la entidad. El objetivo de este programa es potenciar proyectos de excelencia en la lucha contra las enfermedades

que tienen más impacto en el mundo, como son las cardiovasculares, neurológicas, infecciosas y oncológicas.

A esta primera convocatoria se han presentado 785 proyectos de varios centros de investigación, hospitales y universidades de España y de Portugal, de los cuales solo 77 pasaron a la fase final después de superar un competitivo proceso de selección. Una vez valorados por el comité de expertos, han sido seleccionados 20.

Las iniciativas elegidas pertenecen a centros de diferentes comunidades autónomas: Cataluña, Madrid, Comunidad Valenciana y País Vasco. Además, otras cuatro son de Portugal. Algunos de los centros seleccionados tienen socios internacionales de países como Brasil, Estados Unidos, Francia, República Checa y Reino Unido.

Los proyectos cubren un amplio espectro de disciplinas y objetivos, por ejemplo: identificar nuevas terapias para prevenir accidentes cardiovasculares, comprender a fondo la diversidad de los casos de leucemia para poder combatirla y encontrar nuevas estrategias para luchar contra enfermedades epidemiológicas como el Zika.

La Fundación Bancaria "la Caixa" aporta un mínimo de 12 millones de euros anuales a esta nueva convocatoria, de forma que se sitúa como la primera entidad filantrópica privada del Estado español y una de las primeras de Europa en volumen de inversión en investigación de excelencia en temas de salud.

**SALUD PÚBLICA.** Según los últimos datos de la OMS, las enfermedades cardiovasculares son la primera causa de muerte en el mundo, seguidas de las oncológicas. Las enfermedades infecciosas son la causa de una de cada tres muertes en el mundo.



## ENFERMEDADES CARDIOVASCULARES

**1. NUEVAS PISTAS PARA PREVENIR LOS ACCIDENTES CARDIOVASCULARES.** Investigadora Almudena R. Ramiro. Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares. Madrid.

Las enfermedades cardiovasculares son la principal causa de mortalidad en todo el mundo. Diversos factores, como la respuesta inmune, provocan cambios en las paredes de las arterias y en las células sanguíneas que remodelan el sistema vascular de una forma patológica.

Este remodelado produce dos de las enfermedades cardiovasculares más comunes: la aterosclerosis y el aneurisma de la aorta abdominal. En la primera, las paredes arteriales se obstruyen y en la segunda se dilatan. A pesar de las diferencias, en ambos casos hay riesgo de sufrir un accidente cardiovascular agudo. Sin embargo, se desconocen las causas últimas de estos cambios en la pared arterial y los biomarcadores actuales resultan insuficientes para prevenir estos eventos.

Este proyecto busca entender cómo la respuesta inmune mediada por anticuerpos contribuye al remodelado vascular patológico. El objetivo es identificar nuevos biomarcadores para prevenir los accidentes cardiovasculares y encontrar nuevas terapias para este tipo de enfermedades.

**2. A LA BÚSQUDA DE NUEVOS FACTORES DE RIESGO DE LA ATEROESCLEROSIS.** Investigador Valentín Fuster. Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares. Madrid.

La aterosclerosis es una enfermedad cardiovascular que se caracteriza por el endurecimiento de las arterias y acumulación de grasa, colesterol y otras sustancias que dificultan, e incluso pueden llegar a obstruir, el riego sanguíneo.

Se han identificado factores de riesgo que predisponen al desarrollo de aterosclerosis y enfermedades asociadas (infarto de miocardio y cerebral), la causa principal de mortalidad y discapacidad en nuestras sociedades. Normalmente, durante décadas, la aterosclerosis carece de síntomas y hay personas con un riesgo cardiovascular supuestamente bajo que pueden presentar esta enfermedad. Esto hace sospechar que hay factores de riesgo cardiovascular aún sin identificar.

Recientemente los científicos han descrito mutaciones genéticas no heredadas, presentes en células sanguíneas, que parecen doblar el riesgo de accidente cardíaco y cerebrovascular. El objetivo del proyecto es ahondar en la posible relación entre aterosclerosis y estas mutaciones, en muchas ocasiones asociadas al envejecimiento. El proyecto espera identificar nuevos factores de riesgo para reconocer mejor las

personas con elevado riesgo cardiovascular en fases tempranas de la enfermedad, cuando aún no se han manifestado sus secuelas clínicas, a partir de la secuenciación del ADN en muestras de sangre de personas de mediana edad sin enfermedad cardiovascular manifiesta. Además, el proyecto identificará mecanismos por los que las mutaciones adquiridas durante el envejecimiento aumentan el riesgo de enfermedad cardiovascular. Todo ello debe ayudar a promover la salud cardiovascular, un reto clave en nuestras sociedades cada vez más envejecidas.

**3. LAS DOS CARAS DE LA INFLAMACIÓN: PREVENIR LA LESIÓN VASCULAR SIN COMPROMETER LAS DEFENSAS.** Andrés Hidalgo Alonso. Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares (CNIC). Madrid.

La inflamación es una respuesta del sistema inmunitario para proteger al organismo de infecciones. Pero la inflamación también puede provocar daños irreversibles en algunos tejidos. En concreto, las células inflamatorias pueden contribuir a la formación de trombos, que detienen el flujo sanguíneo transitoriamente provocando enfermedades cardiovasculares.

Las defensas más abundantes en el torrente sanguíneo son los neutrófilos. Estos leucocitos tienen un papel clave en las lesiones vasculares





**COMPROMISO CON LA INVESTIGACIÓN.** De izquierda a derecha, Valentín Fuster, director del CNIC; Almudena R. Ramiro, investigadora del CNIC; Jaime Giró, director general de la Fundación Bancaria "la Caixa" y Elías Campo, investigador del Instituto de Investigaciones Biomédicas August Pi i Sunyer.

tempranas. Sin embargo, neutralizar la actividad de los neutrófilos para evitarlas no es una opción terapéutica válida, ya que estas células también son fundamentales para proteger al organismo de patógenos. El reto está en prevenir la inflamación sin comprometer al sistema inmunitario.

Este proyecto propone una nueva estrategia para eludir este problema, mediante el reloj interno de los neutrófilos que dicta cuándo una célula inmunitaria debería ser inflamatoria y cuándo debería defender al organismo.

Una mejor caracterización del reloj interno de los neutrófilos permitirá conseguir programarlos para atenuar sus funciones perjudiciales y preservar sus funciones de protección. Estas nuevas terapias contribuirán a prevenir enfermedades cardiovasculares, sobre todo el infarto de miocardio y el ictus, que son las principales causas de muerte y discapacidad a nivel mundial.

**4. LOS CAMBIOS METABÓLICOS QUE PERMITEN LA FORMACIÓN DEL CORAZÓN PROMETEN NUEVAS TERAPIAS REGENERATIVAS.** Investigadora Ofelia María Martínez Estrada. Fundación Bosch i Gimpera (UB). Barcelona

La insuficiencia cardíaca constituye una de las principales causas de muerte y discapacidad en el mundo. En los últimos años la investigación con células madre como estrategia terapéutica para la reparación cardíaca ha aumentado. Sin embargo, los resultados siguen siendo poco satisfactorios.

Los científicos han observado que los mecanismos moleculares que guían la morfogénesis del corazón durante la etapa embrionaria son

compatibles con los procesos que intervienen en la regeneración del músculo cardíaco después de un infarto. Este paralelismo inspira nuevos trabajos que son la antesala de nuevas terapias.

En concreto, las células del epicardio, que forman la capa externa del corazón, se erigen como la esperanza de la investigación por su papel fundamental en la formación de este órgano y su regeneración en la vida adulta.

Este proyecto analiza los cambios metabólicos de las células del epicardio durante los diferentes estadios del desarrollo embrionario del corazón. El objetivo es conocerlos a fondo para, más adelante, poder reparar el órgano de forma adecuada después de una lesión.

## ENFERMEDADES INFECCIOSAS

### 5. EL IDIOMA DE LAS DEFENSAS INMUNES CONTRIBUIRÁ A DESARROLLAR NUEVAS VACUNAS.

Investigador Francisco Sánchez-Madrid. Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares (CNIC). Madrid.

El sistema inmunitario tiene distintas maneras de desarrollar sus defensas. La forma de entrenamiento más habitual de la inmunidad adquirida es el contacto entre el linfocito y el agente extraño, el antígeno. Pero las células presentan otras maneras de comunicarse para mejorar su sistema defensivo contra las agresiones.

Una de las formas que tienen de alertarse frente a los peligros es mediante los exosomas, una especie de nanobioesferas mensajeras que

dirigen la respuesta inmunitaria. Los exosomas contienen componentes que alertan a otras células y las ayudan a activarse contra posibles amenazas y a luchar contra futuras infecciones.

Este proyecto de investigación busca comprender los mecanismos que subyacen a esta comunicación entre los distintos tipos de defensas, que adoptan nuevas formas de inmunidad sin haber estado antes en contacto directo con el patógeno.

Estos hallazgos permitirán establecer las bases de una nueva estrategia para desarrollar vacunas y encarar el problema de las infecciones, que cada año acaba con la vida de 15 millones de personas en todo el mundo.

### 6. HACIA LA VACUNA UNIVERSAL QUE ACABE CON LAS ENFERMEDADES CRÓNICAS INFECCIOSAS.

Investigador Andreas Meyerhans. Universidad Pompeu Fabra (UPF). Barcelona.

La inmunoterapia consiste en estimular las propias defensas del paciente para luchar contra la enfermedad. En oncología, esta estrategia anticáncer se ha probado en ratones mediante una vacuna inespecífica que activa el sistema inmunitario para luchar contra el tumor.

Este proyecto quiere aplicar los métodos de la inmunoterapia mediante vacuna inespecífica a enfermedades infecciosas crónicas, como el virus del sida, y la hepatitis B y C que, excepto en el último caso, no cuentan con un tratamiento curativo. Estas patologías también se caracterizan por la pérdida de funcionalidad de las células T, un tipo de defensas importantes frente al patógeno que, al perder su capacidad antivírica, permite al agente infeccioso crecer descontroladamente. El objetivo es diseñar una vacuna terapéutica universal que pueda mediar en la cura de varias infecciones víricas crónicas. Ahora, estos pacientes requieren de medicación a lo largo de su vida. Este tipo de tratamiento tiene efectos adversos sobre su salud y un alto coste económico para los sistemas de salud. Por eso, una vacuna terapéutica universal podría ayudar a enfrentar este reto global.

### 7. EL HÍGADO PODRÍA REVELAR EL TALÓN DE AQUILES DE LA MALARIA.

Investigadora María M. Mota. Instituto de Medicina Molecular (IMM) de Lisboa.

La malaria es una enfermedad infecciosa que se transmite mediante picaduras de mosquito hembra del género Anopheles, infectadas por Plasmodium. Este parásito es un problema de salud global para el que no hay cura. Cada dos minutos muere un niño por malaria, la mayoría en África, y los menores de cinco años representan dos tercios de las víctimas mortales.

En el caso de los mamíferos, en comparación con otras especies, el parásito es muy hábil instalándose en el hígado, donde se replica a un ritmo acelerado. Los científicos no entienden demasiado bien por qué sucede esto, pero sospechan que se debe al metabolismo de las células hepáticas.

El proyecto de investigación propone un nuevo paradigma de estudio de la malaria para

comprender cómo el entorno y los recursos que el parásito encuentra en el hígado de los mamíferos han influido en el ciclo de vida del Plasmodium y su evolución. El objetivo es encontrar nuevos tratamientos que frenen la replicación del patógeno y eliminen la malaria.

### 8. NUEVAS ESTRATEGIAS PARA LUCHAR CONTRA EL ZIKA. Investigador David Andreu Martínez. Universidad Pompeu Fabra. Barcelona.

El virus Zika es una amenaza global que se transmite por la picadura del mosquito *Aedes aegypti*. En los últimos años, la globalización y el cambio climático han contribuido a la diseminación del virus por más de setenta países de todo el mundo. Brasil es uno de los países más afectados, en especial desde el brote en el año 2015. El principal grupo de riesgo son las mujeres embarazadas. El virus es capaz de atravesar tanto la barrera de la placenta como la hematoencefálica del feto y provocar microcefalia y otros problemas neurológicos en los recién nacidos que conllevan un gran impacto económico y social.

Hasta el momento no se ha conseguido ningún tratamiento eficaz contra el Zika. El proyecto, que cuenta con la participación de científicos brasileños, investiga nuevas estrategias para inactivar el virus a través de las barreras placentaria y hematoencefálica. Para ello se desarrollarán moléculas inteligentes capaces de acceder de la madre embarazada al cerebro del feto, protegiendo así tanto a las mujeres como a sus bebés.

## NEUROCIENCIAS

### 9. CÓMO EL CEREBRO HUMANO CREA Y RECUPERA RECUERDOS. Investigador Josep Dalmau Obrador. Instituto de Investigaciones Biomédicas August Pi i Sunyer (IDIBAPS). Barcelona.

Hay trastornos neurológicos que se deben a una alteración de los mecanismos de defensa inmunológica llamados anticuerpos. Estas defensas, en lugar de combatir a microbios causantes de infecciones, atacan a las neuronas del cerebro y provocan trastornos. La segunda enfermedad más común de este tipo de trastornos es la encefalitis por anticuerpos LGI1, descrita por primera vez en 2010. Su identificación revolucionó el diagnóstico y el tratamiento de una categoría de enfermedades hasta entonces desconocida. Esta enfermedad provoca alteraciones tanto en la memoria a largo plazo como en la memoria de trabajo, provocando déficits cognitivos. Estos pacientes son incapaces de crear nuevos recuerdos, manejar información nueva y presentan alteraciones del sueño.

Este proyecto quiere correlacionar, en estas personas y modelos animales de la enfermedad, la actividad neuronal de determinadas estructuras cerebrales con los déficits cognitivos mediante técnicas de neuroimagen y electrofisiología. El objetivo es entender los mecanismos de formación, consolidación y recuperación de la

memoria en esta enfermedad, y otras patologías neurológicas similares, para obtener terapias personalizadas.

### 10. TERAPIA CELULAR PARA REVERTIR LA CEGUERA. Investigador Maria Pia Cosma. Centro de Regulación Genómica (CRG). Barcelona.

La retina transforma la luz que recibe el ojo en un impulso nervioso que viaja hasta el cerebro, donde se convierte en imágenes. Las enfermedades degenerativas de la retina son una colección heterogénea de patologías que afectan a la vista, y algunas pueden causar ceguera. Miles de millones de personas en todo el mundo presentan alguna de estas patologías.

Entre ellas, la enfermedad degenerativa retiniana más común es la retinitis pigmentaria, una patología minoritaria degenerativa. En este caso, el paciente pierde de forma progresiva los fotorreceptores, las células que convierten la luz en señales, hasta quedarse ciego.

La terapia celular se erige como la solución para regenerar las neuronas de la retina y recuperar la visión. Los experimentos de nuevos tratamientos en animales, como los ratones, son difíciles de trasladar luego a humanos. El proyecto plantea nuevos experimentos en organoides, una recreación de la retina a partir de células madre del paciente para poder probar nuevas terapias de regeneración de fotorreceptores y revertir la ceguera en estas personas.

### 11. LA GRAN INCÓGNITA EN NEUROCIENCIA AÚN ES CÓMO PERCIBIMOS EL MUNDO. Investigador Leopoldo Petreanu. Fundação Champalimaud. Portugal.

El cerebro humano interpreta constantemente el entorno para planificar y guiar sus acciones. Las percepciones surgen de la combinación de estímulos sensoriales externos, a veces incompletos, con expectativas y experiencias previas.

Los científicos desconocen el entramado neuronal del cerebro donde se almacenan las predicciones aprendidas anteriormente y cómo estas se combinan a la hora de percibir nuevos estímulos sensoriales del mundo exterior. La incógnita del funcionamiento de las conexiones neuronales de la percepción sensorial es una de las grandes cuestiones de la neurociencia.

El proyecto analiza cómo este proceso emerge de redes neuronales del cerebro, en concreto, el neocórtex, la parte más externa del cerebro donde residen las capacidades cognitivas más sofisticadas. El objetivo es entender mejor esta estructura y sus redes neuronales para comprender mejor las disfunciones del cerebro, como por qué personas con esquizofrenia o trastorno del espectro autista presentan capacidades predictivas deficientes.

### 12. RATONES PARA FRENAR LA ENFERMEDAD DE PARKINSON. Investigador Miquel Vila Bover. Fundación Hospital Universitario Vall d'Hebron – Instituto de Investigación (VHIR). Barcelona.

La enfermedad de Parkinson es una patología neurodegenerativa cada vez más frecuente

debido al incremento de la esperanza de vida. Sin embargo, no hay terapias que frenen o ralenticen su evolución. En esta patología, el cerebro acumula la proteína alfa-sinucleína, cuyos depósitos se relacionan con la pérdida progresiva de neuronas que provocan temblores y otros síntomas motores.

Los investigadores han visto que hay una degeneración selectiva de neuronas, en concreto aquellas que acumulan un pigmento oscuro que las tiñe, llamado neuromelanina, similar al que produce la piel cuando se broncea al sol. La acumulación de neuromelanina por encima de un umbral patológico compromete la función neuronal y desencadena la enfermedad.

No obstante, este pigmento ha sido bastante ignorado por la investigación, ya que no existe en el modelo experimental animal: el cerebro de los ratones utilizados para estudiar la enfermedad no produce este pigmento, que podría ser clave a la hora de entender la neurodegeneración de la enfermedad de Parkinson.

Recientemente los científicos han diseñado ratones de laboratorio que producen neuromelanina, como lo haría un cerebro humano. El proyecto utiliza estos ratones con el objetivo de encontrar nuevas terapias que mantengan o frenen la acumulación de neuromelanina para prevenir la enfermedad.

### 13. LAS BACTERIAS INTESINALES DECIDEN POR EL CEREBRO QUÉ COMER. Investigador Carlos Vidal Ribeiro. Fundação Champalimaud. Portugal.

La microbiota intestinal tiene mucho impacto sobre muchas funciones del cuerpo humano. Incluso ya hay algunos indicios que sugieren que un desequilibrio en las bacterias intestinales podría afectar al funcionamiento de nuestro cerebro y contribuir a trastornos psiquiátricos como el autismo o la depresión.

Hace poco, un grupo de científicos observó que las moscas tenían necesidad de ingerir proteínas si en la dieta se las privaba de un aminoácido esencial. Detrás de este deseo por las proteínas se encuentran dos especies concretas de bacterias intestinales, que ejercen presión para cambiar las preferencias alimentarias.

Este proyecto ahonda en los mecanismos moleculares que subyacen a este impulso. El objetivo es comprender la interacción de las bacterias intestinales con la ingesta de nutrientes, ya que se trata de un factor determinante de la salud y la enfermedad, incluida la obesidad.

## ENFERMEDADES ONCOLÓGICAS

### 14. UN MAPA PARA CONOCER EL FUTURO DEL TUMOR. METÁSTASIS CELL FATE MAPPING. Investigador Roger Gomis Cabré. Instituto de Investigación Biomédica (IRB). Barcelona.

La metástasis es la principal causa de mortalidad en las pacientes con cáncer de mama. El tipo de tumor más frecuente es el luminal, que habitualmente presenta receptores hormonales

positivos, y representa el 80% de los casos. Una de las características de este tipo de cáncer es su largo período de latencia después del tratamiento. Al cabo de un largo período con ausencia de síntomas, el tumor puede reaparecer.

Este proyecto quiere dibujar el mapa de las células tumorales para saber cómo evolucionan con la administración del tratamiento: cuáles de ellas contribuyen al crecimiento, diseminación, latencia, metástasis y resistencia de la terapia.

Los resultados contribuirán a la comprensión de los mecanismos moleculares de la metástasis y la resistencia a los medicamentos, así como la identificación de nuevas dianas terapéuticas para diseñar nuevos fármacos.

El objetivo final es mejorar el manejo clínico de las pacientes con cáncer de mama para prevenir posibles recaídas en el futuro.

**15. PREDECIR Y DETECTAR LA METÁSTASIS DE CÁNCER DE PRÓSTATA ANTES DE QUE SE EVIDENCIE CLÍNICAMENTE.** Investigador Arkaitz Carracedo. Centro de Investigación Cooperativa en Biociencias (CIC bioGUNE). Bizkaia.

La metástasis es la principal causa de mortalidad de las enfermedades oncológicas. En el contexto del cáncer de próstata, un porcentaje de pacientes recaen después del tratamiento localizado de primera línea y presentan un alto riesgo de fracasar en terapias posteriores y debutar con metástasis.

Actualmente es muy difícil anticipar la metástasis o detectarla de manera precoz para así frenar la progresión de la enfermedad. Este proyecto se fundamenta en la identificación de características del tumor de próstata que informen sobre su diseminación temprana. Asimismo, se propone explotar este conocimiento para desarrollar nuevas tecnologías de imagen de metástasis y estrategias de tratamiento contra la enfermedad diseminada. El objetivo es identificar pacientes con alto riesgo de metástasis e implementar guías clínicas para mejorar su tratamiento.

**16. ENTENDER A FONDO LA DIVERSIDAD DE CASOS DE LA LEUCEMIA MÁS COMÚN PARA COMBATIRLA.**

Investigador Elías Campo. Instituto de Investigaciones Biomédicas August Pi i Sunyer (IDIBAPS). Barcelona.

La leucemia linfática crónica es el tipo de leucemia más común entre la población adulta de países occidentales. En esta patología, la médula ósea produce demasiados linfocitos, un tipo de glóbulo blanco, y no combate las infecciones tan bien como los linfocitos normales.

Recientemente los científicos han descrito el mapa genético de esta enfermedad oncológica, que muestra alteraciones muy complejas. Sin embargo, la información es insuficiente para explicar la cantidad de subtipos moleculares y la heterogeneidad de casos, así como los cambios que se producen durante la evolución de la enfermedad. El proyecto actual profundiza en la comprensión del catálogo completo de mecanismos genéticos y epigenéticos —que regulan la expresión genética—, que subyacen a la plasticidad del tumor, teniendo en cuenta

la diversidad de los casos. El objetivo es entender cómo cambia el genoma del cáncer, por qué se vuelve resistente a la terapia y poder diseñar nuevos tratamientos más eficaces.

**17. LA LUCHA CONTRA EL MELANOMA MÁS AGRESIVO.** Investigadora Fátima Gebauer Hernández. Centro de Regulación Genómica (CRG). Barcelona.

El melanoma cutáneo es el único tumor en el que lesiones de muy poca profundidad presentan un gran potencial de metástasis. Actualmente no existen biomarcadores que indiquen el riesgo de diseminación del tumor en pacientes con melanoma.

Los científicos han observado que una familia de proteínas que controlan la actividad de los genes, llamadas proteínas de unión a ARN, podrían tener un gran impacto en la progresión del cáncer, incluyendo la metástasis y la inmunosupresión. Estas proteínas no se han analizado anteriormente de forma sistemática en el cáncer.

Este proyecto quiere identificar proteínas de unión a ARN importantes para la metástasis y entender mejor los procesos moleculares controlados por ellas en el melanoma cutáneo. El objetivo es contar con nuevos biomarcadores responsables de la propagación del tumor y diseñar nuevas terapias para las fases más avanzadas del cáncer.

**BIOMÉDICAS**

**18. REJUVENECER ÓRGANOS Y TEJIDOS ENVEJECIDOS.** Investigadora Pura Muñoz-Cánoves. Universidad Pompeu Fabra (UPF). Barcelona.

Las células madre se encargan de la regeneración de órganos y tejidos, pero con el paso de los años su capacidad de renovación se deteriora. Esto sucede porque el mecanismo de reciclaje de las células, la autofagia, falla y se acumulan residuos en su interior que provocan el envejecimiento de órganos y tejidos y, en algunas ocasiones, discapacidades físicas asociadas a la edad.

Dos de las cuestiones básicas de la biología de las células madre son cómo mantienen los tejidos su capacidad reparadora y qué cambios experimentan las células madre durante el envejecimiento para perderla.

Este proyecto de investigación analiza cómo recuperar la capacidad regenerativa de las células modulando la autofagia y eliminando todos los cambios relacionados con el paso del tiempo, la senescencia. El objetivo final es promover el envejecimiento saludable entre la población mayor.

**19. MEDICINA DE PRECISIÓN CONTRA LA DISTROFIA MIOTÓNICA.** Investigador Ruben Artero-Allepuz. Universidad de Valencia.

La distrofia miotónica es una enfermedad neuromuscular hereditaria que se puede manifestar en cualquier momento de la vida, tanto en la etapa infantil como en la vida adulta. Se caracteriza por una reducción de masa muscular, pero también afecta a la visión con cataratas, el sistema car-

diovascular con trastornos del ritmo cardíaco, el aparato digestivo y el sistema nervioso central.

Hoy en día no existe ningún tratamiento específico para esta enfermedad multisistémica que afecta a todo el organismo, solo algunos fármacos para atacar los síntomas y mejorar la calidad de vida de los pacientes.

Recientemente los investigadores han identificado ciertas alteraciones genéticas que son la esperanza de la medicina de precisión. El proyecto desarrollará estrategias para compensar el efecto de las mutaciones que influyen en la progresión de la enfermedad con el objetivo de encontrar nuevos tratamientos.

**20. CÓMO LAS CÉLULAS GUARDAN LA INFORMACIÓN GENÉTICA.** Investigador Colin Adrain. Calouste Gulbenkian Foundation. Portugal.

Los errores en el pliegue de proteínas, que contienen información genética, pueden provocar enfermedades como arritmias cardíacas, diabetes neonatal, retinitis pigmentosa y otros problemas neurodegenerativos.

Más de la mitad de los fármacos para tratar los síntomas de estas enfermedades se dirigen hacia las membranas de las proteínas, que luego las liberan fuera de la célula. No obstante, el tráfico de muchas de estas proteínas de señalización no se comprende demasiado bien.

El proyecto busca comprender mejor cómo se pliegan las proteínas en el retículo endoplasmático, un complejo sistema de membranas distribuido por todo el citoplasma. El objetivo es conocer a fondo los procesos biológicos por los que se pliegan las proteínas en la membrana celular.

**\*UN NUEVO TRATAMIENTO PARA FRENAR LA PROGRESIÓN DE LA ELA.** Investigador Rubén López. Universidad Autónoma de Barcelona (UAB)

Adicionalmente, en el marco del acuerdo firmado entre la Fundación Bancaria "la Caixa" y la Fundación Luzón, se ha seleccionado el mejor proyecto de ELA presentado a la convocatoria (que pasó al panel finalista). La esclerosis lateral amiotrófica, conocida como ELA, es una enfermedad neurodegenerativa que causa debilidad muscular hasta provocar la inmovilidad de la persona. La esperanza de vida es de entre tres y cinco años desde el diagnóstico, que en el mundo afecta a unas 450.000 personas.

A pesar de que se desconocen las causas de esta enfermedad, la neuroinflamación es uno de los mecanismos patogénicos que contribuye a su aparición y progresión. Hasta ahora los fármacos antiinflamatorios se han mostrado ineficaces para tratar los síntomas y frenar la evolución.

Estudios recientes han descrito una nueva familia de lípidos que promueven activamente la reparación de tejidos. Los científicos ya han demostrado su eficacia al reducir la inflamación en animales que se recuperaban de una lesión en la médula espinal.

El proyecto investigará la contribución de estos lípidos en ratones con ELA para encontrar nuevas terapias, como el riluzol. El objetivo es frenar la progresión de esta patología y encontrar nuevos biomarcadores que predigan su evolución. 