



El IMDEA Nanociencia ha desarrollado un sistema para transportar moléculas que regulan los genes hasta las células madre

## La Comunidad de Madrid logra un importante avance en la terapia con nanopartículas para la distrofia muscular de Duchenne

- En la actualidad existen fármacos que intentan tratar esta enfermedad, pero su entrega por corriente sanguínea es complicada debido a su baja estabilidad
- Las personas que sufren este trastorno experimentan un deterioro de los músculos esqueléticos, cardíacos y pulmonares

**16 de marzo de 2025.**- La Comunidad de Madrid ha logrado un importante avance en la terapia contra la distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad degenerativa que hoy día aún no cuenta con una cura. El Instituto Madrileño de Estudios Avanzados IMDEA Nanociencia, ubicado en la capital, en colaboración con la Università Cattolica del Sacro Cuore de Roma y la Universidad de Burdeos, ha desarrollado una estrategia que permite transportar microRNA (moléculas que regulan los genes) y estimular la producción de fibras de manera más eficaz.

Los investigadores han desarrollado una estrategia que utiliza nanopartículas como vehículos para trasladar esta terapia de forma precisa hasta las células madre, un avance que además evita su acumulación en otros órganos como cerebro, riñones o hígado.

Este trastorno genético se caracteriza por la pérdida progresiva de masa, debida a mutaciones en un gen que regula una proteína necesaria para que puedan funcionar y regenerarse correctamente. Las personas que la sufren experimentan un deterioro de los músculos esqueléticos, cardíacos y pulmonares.

En la actualidad existen multitud de ensayos clínicos que intentan tratar la enfermedad mediante la administración intravenosa de fármacos. Sin embargo, su entrega a través del torrente sanguíneo es complicada, por la baja estabilidad y penetración del medicamento.

Gracias a ello se han conseguido cambios celulares y bioquímicos en modelos de laboratorio y animales, donde ha observado no solamente regeneración a



Comunidad  
de Madrid

# Medios de Comunicación

nivel celular sino una recuperación a nivel funcional. A esto se añade que este método, desarrollado por el equipo del profesor Álvaro Somoza de IMDEA Nanociencia, es biocompatible, no tóxico y no inmunogénico, y puede ser fácilmente adaptable para el abordaje de diversas enfermedades.

Esta técnica, demostrada por el momento en modelos animales, no está lista todavía para su uso en personas. Sin embargo, abre el camino para el desarrollo de futuros tratamientos que, aprovechando este conocimiento, consigan afrontar eficazmente la distrofia muscular de Duchenne.