

Hallan nuevos descubrimientos sobre la enfermedad de Huntington y su posible tratamiento

Publicado el: 05-03-2018

La enfermedad de Huntington es un trastorno progresivo, y en última instancia fatal, causado por una mutación en el gen huntingtina que lleva a la producción defectuosa de ARN de huntingtina y moléculas de proteína que interrumpen varios procesos celulares.

Según un estudio realizado en España, **un nuevo compuesto cannabinoide ha demostrado una acción neuroprotectora** en animales frente a la enfermedad de Huntington. Este compuesto ha sido desarrollado por científicos de la Universidad Complutense de Madrid (UCM), la Universidad de Córdoba (UCO) y la empresa Vivacell, y podría permitir desarrollar un fármaco eficaz contra esta enfermedad.

Los investigadores **se centraron en la acción del compuesto cannabigerol**, mediante el cual desarrollaron nuevos derivados como el 'VCE-003.2'. Investigaron la acción de este derivado en modelos 'in vitro' y en ratones, y observaron que actuaba como modulador de un factor de transcripción PPAR γ , **consiguiendo una actividad antiinflamatoria y neuroprotectora**. Además lograba promover la supervivencia de los precursores neuronales afectados, por lo que podría ejercer como neuroreparador.

En otra investigación sobre la enfermedad de Huntington, **descubrieron que esta enfermedad afecta tanto a los músculos como a las neuronas** en ratones que la padecen. Este estudio, publicado en 'The Journal of General Physiology', sugiere que la enfermedad de Huntington es una enfermedad del tejido muscular y un trastorno degenerativo. Por ello las terapias dirigidas al músculo esquelético pueden mejorar la función motora de los pacientes.

Se cree que las alteraciones cognitivas y psiquiátricas asociadas con esta enfermedad, como la pérdida de memoria y los cambios de humor, llevan a la muerte de neuronas en el cuerpo estriado y la corteza cerebral, pero algunos de los síntomas motores de la patología, como movimientos involuntarios y rigidez muscular, podrían surgir de los efectos de la huntingtina mutante en el músculo esquelético.

Los investigadores encontraron que los ratones con una forma temprana de la enfermedad de Huntington mostraban una disminución en la función de la proteína CIC-1, que lleva iones cloruro a la célula. Esto parecía ser provocado por el **procesamiento defectuoso del ARN mensajero que codifica CIC-1**, contribuyendo a la hiperexcitabilidad muscular. Esta pérdida de la función de CIC-1 podría ser una respuesta tardía a la muerte de las neuronas que inervan el músculo esquelético.

El profesor Andrew Voss y sus colegas en la Universidad Estatal de Wright y la Universidad Politécnica del Estado de California examinaron ratones con la enfermedad a lo largo del curso de la misma. Descubrieron que el ARN que codifica CIC-1 fue mal procesado en los ratones con la enfermedad de Huntington y en roedores control cuando eran jóvenes, pero cuando crecían, **solo los sanos pudieron procesar el ARN para producir CIC-1 funcional de forma correcta**. De esta forma la función de CIC-1 se redujo en el músculo esquelético de los ratones con la enfermedad, en comparación con los ratones de control, antes incluso de que apareciesen

síntomas motores.

“Nuestros resultados apoyan la idea de que la HD es una miopatía (enfermedad muscular), así como una enfermedad neurodegenerativa y pueden proporcionar una nueva oportunidad para mejorar el cuidado del paciente apuntando al tejido muscular esquelético”, ha señalado Voss.

Fuente: <https://netsaluti.com>