

NOTA DE PRENSA

Marzo 2021

¿Sabías que existe un gen que puede hacerte insensible a cualquier tipo de dolor? Este gen, llamado *SCN9A*, se descubrió hace más de una década al secuenciar el genoma de una familia de faquires paquistaníes que eran capaces de realizar su espectáculo sin percibir ningún tipo de dolor. Y hace unos años se identificó una mutación en este gen que causa el efecto contrario, la que lo hace hiperactivo, generando episodios de dolor crónico. Así, el gen *SCN9A* que codifica para el canal de sodio $Na_v1.7$ ha sido una diana terapéutica atractiva para el desarrollo de terapias contra el dolor crónico porque no tiene otro efecto neurológico. Lamentablemente, el desarrollo de inhibidores de $Na_v1.7$ ha sido una ardua tarea debido a la falta de selectividad de los compuestos probados hasta ahora.

Más de 100 millones de personas en Estados Unidos y aproximadamente 1.500 millones de personas en todo el mundo sufren de dolor crónico, y este número sigue aumentando a medida que crece la población de ancianos, aumenta la prevalencia de la diabetes y mejoran las tasas de supervivencia al cáncer. Los tratamientos actuales frente al dolor severo consisten principalmente en opioides, que presentan efectos secundarios graves y riesgo de adicción. Dadas las limitaciones de los tratamientos actuales y los fracasos en los esfuerzos de desarrollo de nuevas terapias, una alternativa terapéutica eficaz, no adictiva y duradera alteraría el paradigma actual del tratamiento del dolor.

En este sentido, el miembro de ECUSA Fernando Alemán está desarrollando esta nueva terapia génica contra el dolor crónico junto a investigadores de la Universidad de California y la startup *Navega Therapeutics* de la que es cofundador. Sus investigaciones usando una variante más segura del sistema CRISPR se publican ahora en un artículo en *Science Translational Medicine* donde se describe la nueva terapia, que actúa reprimiendo temporalmente el gen involucrado en la detección del dolor. La terapia génica aumentó la tolerancia al dolor en ratones, redujo su sensibilidad al dolor y proporcionó meses de alivio con una sola inyección sin causar entumecimiento.

“Lo que había hasta ahora no funciona”, dijo la doctora Ana Moreno, primera autora del estudio y también cofundadora de *Navega Therapeutics*. “Existe una

necesidad inmediata de un tratamiento que sea eficaz, duradero y no adictivo" comentó refiriéndose a los opioides, que llegan a crear tolerancia, llevando a los pacientes a depender de dosis cada vez más altas. Esta nueva terapia podría utilizarse para tratar una amplia gama de afecciones de dolor crónico, desde dolor lumbar hasta trastornos raros de dolor neuropático, afecciones para las cuales los analgésicos opioides son el estándar actual de atención.

Navega fue fundada en 2018 por los Dres. Fernando Alemán, Ana Moreno y Prashant Mali, pionero en la utilización de CRISPR en células de mamífero en su paso por la Universidad de Harvard. El instituto de salud estadounidense (NIH) ha financiado a *Navega* con dos proyectos de casi un millón de dólares. Los Dres. Alemán y Moreno, investigadores principales de los proyectos, están a la espera de otro proyecto de 3,8 millones. "Estamos muy contentos del recibimiento que el NIH ha hecho de nuestras propuestas" dijo Alemán "Es el primer paso para tratar a miles de pacientes con dolor severo".

Con respecto al autor, Fernando Alemán Guillén obtuvo su título de farmacéutico en la Universidad de Granada y su doctorado en el CEBAS-CSIC (Universidad de Murcia). Posteriormente, realizó estudios postdoctorales en la Universidad de California San Diego y el Scripps Research Institute en La Jolla. Fernando es cofundador, presidente y director científico de *Navega Therapeutics*, donde proporciona dirección estratégica para las actividades de investigación y define la estrategia regulatoria y las actividades de desarrollo farmacéutico.

Para más información acerca de esta publicación pueden acceder a la publicación original en *Science Translational Medicine*:
<https://stm.sciencemag.org/content/13/584/eaay9056>

CONTACTO

Fernando Alemán Guillén, PharmD, PhD,
Chief Scientific Officer,
Navega Therapeutics,
faleman@navegatx.com

Dirección E-Visibility: Judit Jiménez Sainz, Nuria Coll Bonfill, Leire Abalde Atristain, Noemi Arias, Fernando de Miguel, Virginia del Solar Fernández.

e-visibility@ecusa.es

INFORMACIÓN ADICIONAL

<http://www.ecusa.es/evisibility-home/>