

# Cristian Droppelmann, Danae Campos-Melo y Verónica Noches trabajan en la U. de Western (Canadá): La historia de los chilenos que dieron un gran salto hacia un tratamiento contra la ELA

Investigadores nacionales encontraron el rol que tiene una proteína clave en el desarrollo de la esclerosis lateral amiotrófica, lo que podría dar paso a un medicamento verdaderamente efectivo, el cual no existe en la actualidad.

JANINA MARCANO

El matrimonio de los biólogos moleculares chilenos Cristian Droppelmann y Danae Campos-Melo lleva más de ocho años investigando cómo desarrollar un medicamento que ayude a los pacientes que presentan esclerosis lateral amiotrófica (ELA).

Se trata de una patología neurodegenerativa que se caracteriza por la muerte de las neuronas responsables del movimiento del cuerpo, llamadas motoneuronas.

Como consecuencia, el paciente sufre progresivamente debilidad, atrofia y parálisis de los músculos de las extremidades, el tronco y de aquellos que controlan la función respiratoria (el físico británico Stephen Hawking padeció esta patología). Todos los años, cada 21 de junio, se conmemora el Día Mundial de la lucha contra la ELA, una enfermedad que actualmente no cuenta con un tratamiento efectivo.

Esa es la realidad que esta pareja de investigadores quiere cambiar. El de Puerto Montt y ella de Valdivia, estudiaron su pregrado y doctorados en Chile; y posteriormente se fueron a Canadá a realizar un segundo posdoctorado en la Universidad de Western (Ontario).

Desde entonces, en los laboratorios de esa casa de estudios, ambos científicos han investigado juntos la ELA. Y ahora acaban de dar un gran salto en ese camino: descubrieron el rol que tiene una proteína para frenar la enfermedad y están avanzando en estudios para desarrollar una droga biológica con el potencial de convertirse en una terapia efectiva.

Sus ensayos demostraron específicamente que el fragmento de una proteína es capaz de bloquear la toxicidad



De izquierda a derecha, Danae Campos-Melo, Cristian Droppelmann y Verónica Noches. Los tres investigadores trabajan en colaboración con científicos de Canadá y de Italia en su proyecto sobre la ELA.



Cristian Droppelmann usa una de las herramientas de inteligencia artificial que les permite estudiar en profundidad las proteínas que están investigando.

dentro de las células generadas por unas sustancias llamadas agregados de TDP-43, y que son los causantes de la enfermedad. Los hallazgos se publicaron hace poco en la revista Brain de

la Universidad de Oxford.

“Mientras estábamos trabajando para entender en qué consistía la enfermedad, nos dimos cuenta de que esta proteína era buena para las células,

que tenía el potencial de ser beneficiosa para las motoneuronas que pierden los pacientes, de ser un modificador positivo”, cuenta Droppelmann a “El Mercurio”.

“Fue ahí que empezamos a trabajar en este nuevo proyecto, que es el desarrollo de un tratamiento”, precisa el investigador.

La potencial terapia no apunta a curar la enfermedad, pero sí a frenarla, aclaran los científicos. Esto, explican, abre grandes posibilidades para los pacientes porque permitiría extender su vida.

“Esta es una enfermedad degenerativa donde los pacientes pierden neuronas y no las recuperan. Pero lo que podría hacer este tratamiento es parar la enfermedad y que no se sigan perdiendo motoneuronas, con lo cual crece la esperanza de vida”, señala Droppelmann.

Para llegar a estos resultados, los científicos han realizado ensayos con distintas estrategias, entre ellas la inteligencia artificial, según explica Campos-Melo a “El Mercurio”.

“Una de las herramientas trabaja con una base de datos de proteínas y nos permite especular cómo estas van

a ir cambiando según lo que nosotros hacemos. Y también hay otra herramienta de inteligencia artificial que nos permitirá mejorar el medicamento”, precisa.

También han realizado experimentos *in vitro* (con células de cerebro humano), así como *in vivo* (con animales). Para esta etapa invitaron a ser parte a la científica chilena Verónica Noches, quien trabajaba en el Departamento de Biología Celular y Molecular de la U. Católica. Ella ahora lidera las pruebas en animales.

## De aquí en adelante

A futuro, el potencial tratamiento que investigan estos chilenos podría salir al mercado como una inyección que se administraría una vez al año, precisan los científicos.

“Lo que acabamos de terminar es la fase preclínica y ahora estamos enfocados en hacer más eficiente esta terapia y abaratar su costo. Pensamos que nos podría tomar de dos a tres años dejar esta tecnología a punto. Sabemos que funciona, pero queremos hacerla aún más eficiente”, afirma Campos-Melo.

Sobre por qué ha sido tan difícil para la ciencia encontrar terapias contra la ELA, Droppelmann comenta: “Es una enfermedad extremadamente compleja. La causa es que se mueren las motoneuronas, pero las formas en las que pueden morir son cientos, pueden ser multifactoriales; y eso ha sido difícil de atacar por muchos años”.

Una buena noticia es que la vía que estos científicos han encontrado abre una esperanza también para otras enfermedades que comparten el mecanismo de la toxicidad que causan los agregados de TDP-43 en el cerebro, como la demencia frontotemporal y el párkinson.

“Las enfermedades neurodegenerativas tienen componentes similares. Así, el avance en ELA ayuda a la lucha contra el alzhéimer y los avances en este mal a la vez pueden ayudar a combatir la ELA”, puntualiza Campos-Melo.

Este proyecto de investigación acaba de recibir un financiamiento de 10 millones de dólares canadienses (casi \$7 mil millones) para avanzar en la nueva fase de ensayos que podría llevar al tratamiento.