



UNIVERSIDAD: Universidad de Navarra (UNAV)

NOMBRE DE LA LÍNEA DE INVESTIGACIÓN WIT: Terapias avanzadas e innovación diagnóstica: Terapia génica enfermedades raras

PROGRAMA DE DOCTORADO: <https://www.unav.edu/web/programa-de-doctorado-de-medicina-aplicada-y-biomedicina>

DESCRIPCIÓN DE LA LÍNEA

El objetivo principal de nuestra línea de investigación es el estudio de enfermedades hepáticas de origen genético para las cuales el único tratamiento curativo es el trasplante hepático. Estas enfermedades que normalmente se manifiestan en la niñez se encuentran dentro del grupo de las enfermedades raras y sus consecuencias son devastadoras. Además de trabajar en tratar de entender los mecanismos moleculares implicados en el desarrollo de algunas de estas enfermedades, trabajamos en el desarrollo de nuevos tratamientos. Las estrategias terapéuticas que utilizamos se basan en la transferencia de genes y en la edición génica. Adicionalmente, una línea muy importante de trabajo de nuestro grupo es el desarrollo de vectores de transferencia génica más eficaces y seguros, así como la evaluación de métodos que nos permitan abordar algunas de las limitaciones asociadas al uso de vectores virales como la respuesta inmune o la pérdida del efecto terapéutico debido al crecimiento o regeneración del hígado. En paralelo, estamos iniciando una nueva línea de investigación para el tratamiento de enfermedades genéticas que afectan a otros órganos como el oído o el riñón.



NOMBRE DEL GRUPO DE INVESTIGACIÓN:

Laboratorio de terapia génica de enfermedades hepáticas

RESPONSABLE DEL GRUPO:

- Nombre y apellidos con su enlace al Portal de producción científica:
Dr Gloria Gonzalez Aseguiolaza

<https://orcid.org/0000-0002-1600-4562>

<https://www.webofscience.com/wos/alldb/summary/5c5401ac-86e4-4a4c-b1dc-bf9b9139ddea-04479ee7/relevance/1>

- Departamento: Terapia Génica y regulación de la expresión génica
- Correo electrónico: ggasegui@unav.es
- Teléfono: 948194700 x 4024

EQUIPO INVOLUCRADO EN LA LÍNEA:

Dr Rafael Aldabe

Dra Oihana Murillo

Dra Mirja Hommel

Dr Daniel Moreno

Dra Cristina Gazquez

Dr Gracian Camps

Miren Barberia

Laura Torella

Pedram Moeini

OTRAS LÍNEAS DE INVESTIGACIÓN DEL GRUPO: breve descripción de cada una de ellas

1. Desarrollo de nuevos vectores para la transferencia de genes y sistemas de edición del genoma al oído interno. El objetivo de esta línea es el desarrollo de tratamientos para la sordera hereditaria y la pérdida auditiva.
 - Desarrollo de nuevos vectores para la transferencia de genes al riñón. Dentro de las enfermedades raras la que cuenta con una mayor incidencia es la poliquistosis renal, debido a la ausencia de herramientas adecuadas para la transferencia de genes al hígado no existen hoy en día tratamientos de terapia génica para estas enfermedades, el cual es el objetivo final de esta línea de investigación.

- Entidades involucradas en las líneas y persona responsable:

- ✓ Académicas:
 - Clínica Universidad de Navarra y Universidad de Navarra.
 - Terapia génica hipoacusias
 - Manuel Manrique y Gloria Gonzalez Aseguiolaza.
 - Terapia génica renal
 - Rafael Aldabe.

- ✓ Industriales:
 - Terapia génica hipoacusias



- Viralgen. Cesar Trigueros.

Terapia génica renal

- Askbio. Jude Samulski.
- Tesis dirigidas en régimen de cotutela con universidades o entidades internacionales:

Dr David Salas Gómez; cotutela Universidad de Navarra-UniQure (compañía Holandesa de terapia génica)

Irene Ros Gañan; cotutela Universidad de Navarra-Vivet Therapeutics (compañía Francesa de terapia génica)

- Reseña del grupo:

El grupo de terapia génica de enfermedades hepáticas inicio su andadura en el año 2001 con la incorporación de la Dra. Gonzalez Aseguiolaza como investigadora Ramón y Cajal. Aunque inicialmente el grupo trabajó en el desarrollo de nuevas terapias frente a hepatitis virales, en los últimos 12 años, se ha centrado en el desarrollo de terapia génica para enfermedades hepáticas monogénicas. Este trabajo nos ha llevado a realizar el primer ensayo clínico europeo de terapia génica para una enfermedad metabólica hepática (la porfiria aguda intermitente, proyecto europeo *Aipgene*) y a la creación de una compañía de terapia génica internacional, Vivet therapeutics SAS. Nuestro laboratorio cuenta con financiación competitiva nacional e internacional estable y con un gran número de publicaciones en revistas de alto impacto. En nuestro grupo se han formado 18 nuevos doctores los cuales continúan su carrera investigadora en la academia o la industria. Contamos además con numerosas colaboraciones nacionales e internacionales y nuestro grupo ha sido



considerado como un grupo de referencia en terapia génica a nivel internacional (Human Gene Therapy, Apr. 2021).

- Enlace del grupo al Portal de producción científica:

<https://www.webofscience.com/wos/alldb/summary/5c5401ac-86e4-4a4c-b1dc-bf9b9139ddea-04479ee7/relevance/1>

- Foto, links a las entidades industriales o académicas involucradas (si las hubiera)

<https://www.vivet-therapeutics.com/en>

<https://www.askbio.com/>

<https://viralgenvc.com/>