



UNIVERSIDAD:

Universidad de Navarra (UNAV)

NOMBRE DE LA LÍNEA DE INVESTIGACIÓN WIT:

Terapias avanzadas e innovación diagnóstica: Terapia génica para enfermedades raras.

PROGRAMA DE DOCTORADO:

Biomedicina

DESCRIPCIÓN DE LA LÍNEA

El objetivo principal de nuestra línea de investigación es el estudio de las enfermedades hepáticas de origen genético para las que el único tratamiento curativo es el trasplante hepático. Estas enfermedades que normalmente se manifiestan en la infancia están dentro del grupo de 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, estamos trabajando en el desarrollo de nuevos tratamientos. Las estrategias terapéuticas que utilizamos se basan en la transferencia y edición de genes. Adicionalmente, una línea de trabajo muy importante 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 y la pérdida del efecto terapéutico debido al crecimiento o regeneración del hígado.



Paralelamente, 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 terapia génica para enfermedades hepáticas

RESPONSABLE DEL GRUPO:

Nombre y apellidos con su enlace al Portal de producción científica:

Dra. Gloria Gonzalez Aseguinolaza

<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:

+34 948194700 x824021



EQUIPO INVOLUCRADO EN LA LÍNEA:

- Dr Rafael Aldabe
- Dra. Carmen Unzu
- Dra. Oihana Murillo
- Dra. Mirja Hommel
- Dr. Daniel Moreno
- Dra. Cristina Gazquez
- Dr. Gracian Camps
- Laura Torella
- Pedram Moeini
- Diego Herrero
- Carla Llinares

OTRAS LÍNEAS DE INVESTIGACIÓN DEL GRUPO

1. Desarrollo de nuevos vectores para la entrega de genes al oído interno. El objetivo de esta línea es el desarrollo de tratamientos para la sordera hereditaria y la pérdida auditiva.
2. Desarrollo de nuevos vectores para la transferencia de genes al riñón. Entre las enfermedades raras la de mayor incidencia es la enfermedad renal poliquística, debido a la ausencia de herramientas adecuadas para la transferencia de genes al hígado no existen tratamientos de terapia génica para estas enfermedades en la actualidad, que es el objetivo final de esta línea de investigación.





Entidades implicadas en líneas de investigación y persona de contacto:

Terapia génica de la hipoacusia

Entidades académicas:

Clínica Universidad de Navarra y Cima Universidad de Navarra.

Manuel Manrique, Carmen Unzu, Gloria Gonzalez

Aseguinolaza

In collaboration with Leszek Lisowski (University of Sydney)

Entidades Industriales:

Viralgen.

Cesar Trigueros.

Terapia génica renal

Entidades académicas:

Cima Universidad de Navarra

Rafael Aldabe, Gloria Gonzalez Aseguinolaza

In collaboration with Nuria Monserrat (Institute for bioengineering in Cataluña, IBEC)

Entidades Industriales:

Askbio.

Jude Samulski.

Vivet Therapeutics.

Jean Philippe Combal

- Tesis codirigidas con universidades o entidades internacionales:



Dr. David Salas Gómez; codirección: University of Navarra-UniQure
(Dutch gene therapy company)

Irene Ros Gañan; codirección: University of Navarra-Vivet Therapeutics
(French gene therapy company)

Andrea Llanos; codirección: University of Navarra-Vivet Therapeutics
(French gene therapy company)

Laura Torella, codirección: University of Navarra-Harvard Medical school.

▪ **Reseña del grupo:**

El grupo de terapia génica para enfermedades hepáticas comenzó su andadura en 2001 con la incorporación del Dr. González Aseguinolaza como investigador Ramón y Cajal. Aunque el grupo trabajó inicialmente en el desarrollo de nuevas terapias contra la hepatitis viral, en los últimos 12 años, se ha centrado en el desarrollo de la terapia génica para enfermedades hepáticas monogénicas. Este trabajo nos ha llevado a realizar el primer ensayo clínico europeo de terapia génica para una enfermedad hepática metabólica (porfiria aguda intermitente, proyecto europeo Aipgene) y a la creación de una compañía internacional de terapia génica, Vivet therapeutics SAS. Nuestro laboratorio cuenta con una financiación competitiva nacional e internacional estable y un gran número de publicaciones en revistas de alto impacto. En nuestro grupo se han formado 20 nuevos doctores que continúan su carrera investigadora en instituciones académicas o en la industria. También contamos con numerosas colaboraciones nacionales e internacionales, participando en varios consorcios europeos. Nuestro grupo ha sido considerado recientemente un grupo de referencia en terapia génica a nivel internacional (Human Gene Therapy, abr. 2021).



- Enlace del grupo al Portal de producción científica:

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

<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/>

REQUISITOS ADICIONALES:

Buen conocimiento de inglés.

Capacidad de trabajo en equipo.

Se valorarán conocimientos de biología molecular y animal y experiencia de manipulación de animales.