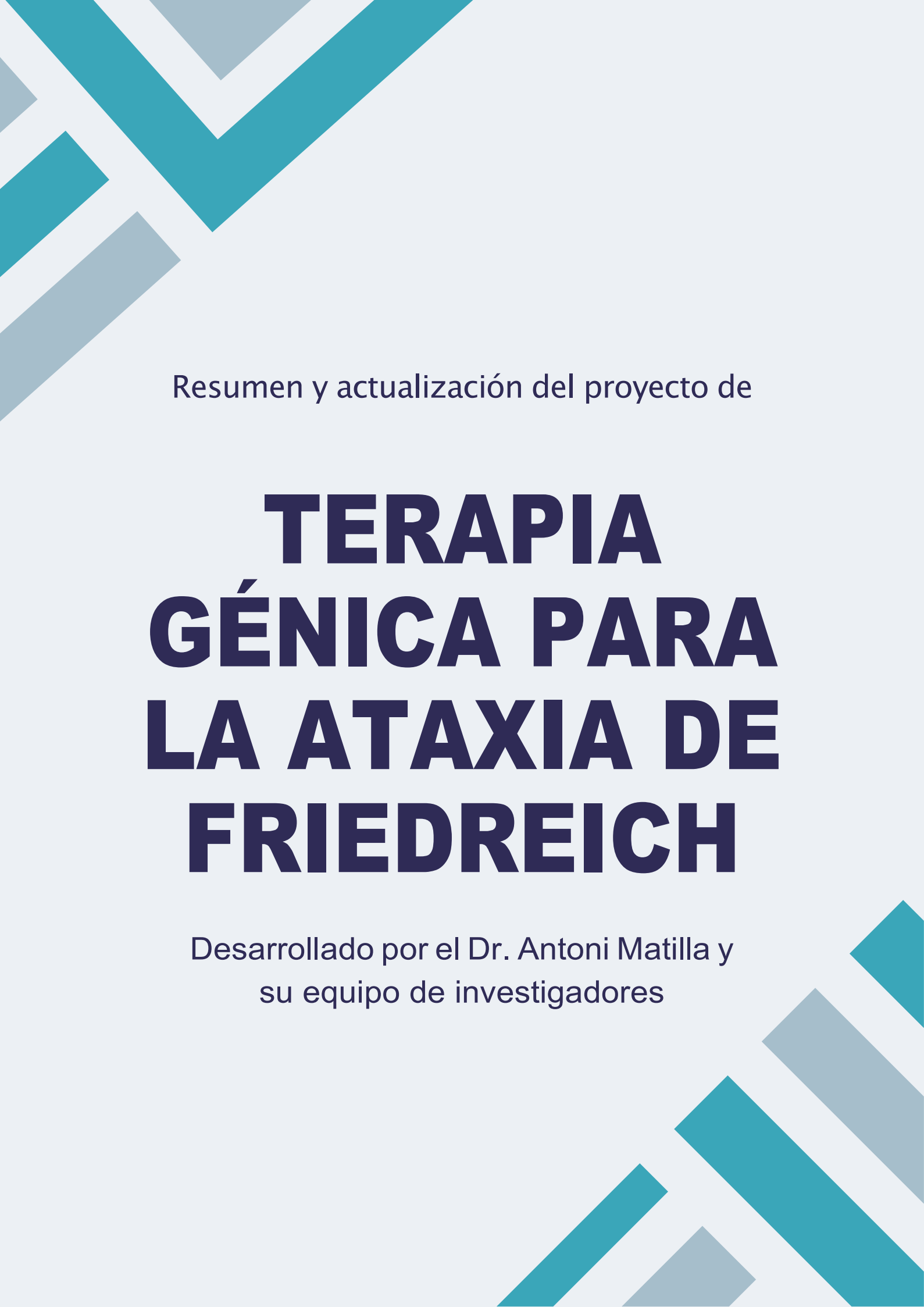




Resumen y actualización del proyecto de

TERAPIA GÉNICA PARA LA ATAXIA DE FRIEDREICH

Desarrollado por el Dr. Antoni Matilla y
su equipo de investigadores

Un proyecto pionero que busca una cura real

La Ataxia de Friedreich es una enfermedad neurodegenerativa hereditaria que afecta a la coordinación, la fuerza y la movilidad, y que actualmente no tiene tratamiento curativo. La investigación científica es la única vía capaz de cambiar ese destino, y desde ADATHE junto con otras asociaciones, fundaciones y empresas, trabajamos para impulsar los proyectos que pueden marcar la diferencia.

Uno de ellos es el proyecto de terapia génica liderado por el Dr. Antoni Matilla Dueñas, que desde el Institut de Recerca Germans Trias i Pujol (IGTP) y la empresa biotecnológica Biointaxis S.L., desarrolla una posible terapia capaz de detener la progresión de la enfermedad.

¿En qué consiste este proyecto?

El equipo del Dr. Matilla trabaja en el desarrollo de una terapia génica basada en virus adenoasociados (AAV) denominada FRATAXAV, diseñada para restaurar la producción de frataxina, la proteína cuya deficiencia causa la Ataxia de Friedreich. El objetivo es introducir una copia funcional del gen FXN en las células afectadas, permitiendo que el organismo vuelva a producir frataxina de forma natural. Los resultados preclínicos han mostrado mejoras significativas en modelos animales, tanto a nivel neurológico como motor y cardíaco.

Datos del proyecto

Título oficial: Evaluación preclínica de un nuevo vector de terapia génica basado en virus adenoasociados en la reversión de los signos neurológicos en un modelo animal agudo de la Ataxia de Friedreich.

- **Investigador principal:** Dr. Antoni Matilla Dueñas.
- **Centro:** Fundación Institut de Recerca Germans Trias i Pujol (IGTP).
- **Entidad asociada:** Biointaxis S.L.



Conoce el proyecto en palabras del propio investigador

- [Presentación del Dr. Antoni Matilla – Terapia génica para la Ataxia de Friedreich \(YouTube\)](#)
- [Qué es la terapia génica – Explicación del Dr. Matilla \(Biointaxis\)](#)
- [Artículo: “The development of a gene therapy for Friedreich’s ataxia receives €2.17 million in new public funding” – IGTP](#)
- [Proyecto FRATAXAV – CaixaResearch Consolidate 2019](#)
- [Biointaxis S.L. – Desarrollo de tratamientos génicos para enfermedades neurodegenerativas](#)
- [Tesis doctoral dirigida por Antoni Matilla – UAB \(2021\)](#)
- [Patente: “Vectors for the treatment of Friedreich’s ataxia” \(WO2019076973A1\)](#)

El futuro del proyecto

Gracias a los avances conseguidos y la nueva financiación europea y estatal, el equipo de Antoni Matilla se prepara para iniciar la fase clínica en pacientes, un paso histórico hacia una posible cura. Desde ADATHE seguiremos apoyando esta línea de investigación hasta que la Ataxia de Friedreich deje de ser una enfermedad sin tratamiento

Créditos y referencias oficiales

- Instituto de Investigación Germans Trias i Pujol (IGTP): www.germanstrias.org
- Instituto de Salud Carlos III – Portal FIS: portalfis.isciii.es/proyecto?idProyecto=PI20%2F00647
- Fundación “la Caixa” – CaixaResearch Consolidate 2019
- Biointaxis S.L.: www.biointaxis.com