

Terapia génica y enfermedades raras.

La enfermedad de Wilson, causada por una alteración genética, provoca un almacenamiento de Cobre en tejidos como el hepático de modo anómalo.

Es una de las enfermedades raras que precisan investigación en fármacos huérfanos.

El CIMA de la Universidad de Navarra ha desarrollado en un modelo préclinico una terapia génica que sustituye el ADN alterado en las células adultas.

Recientemente, se ha firmado un acuerdo para el desarrollo del fármaco por Pfizer.

<https://cima.unav.edu/2019-03-20-noticia-cima-pfizer/>