

# Nuevo modelo permite estudiar una patología rara que causa párkinson infantil

Un equipo de investigadoras españolas desarrolló un nuevo modelo basado en células madre humanas de **una enfermedad genética ultrarrara que causa [párkinson](#) infantil**, lo que permite reproducir las características y la respuesta al tratamiento que tienen los pacientes.

La enfermedad, llamada Deficiencia de la Tirosina Hidroxilaza (THD, de sus siglas en inglés), causa una disminución importante de dopamina en el cerebro, uno de los neurotransmisores más importantes del sistema nervioso central, y suele afectar a pacientes pediátricos ocasionando párkinson infantil.

El nuevo modelo, publicado en la revista EMBO Molecular Medicine y desarrollado por investigadoras del Instituto de Investigación Biomédica de Bellvitge (Idibell), el Instituto de Investigación Sant Joan de Déu (IRSJD) y la Universitat de Barcelona, reproduce fielmente las características patológicas de la enfermedad, explica el Idibell en un comunicado.

El modelo de la enfermedad se ha creado a partir de células de la piel de pacientes reprogramadas en células madre pluripotentes, capaces de convertirse en cualquier tipo celular, y que posteriormente se han diferenciado en neuronas.

El THD causa una disminución importante de dopamina en el cerebro, uno de los neurotransmisores más importantes del sistema nervioso central, y suele afectar a pacientes pediátricos ocasionando párkinson infantil.

Algunos pacientes mejoran mucho con el tratamiento, pero otros son refractarios y siguen con síntomas graves de motilidad y discapacidad intelectual.

«El modelo proporciona una herramienta muy valiosa para investigar los mecanismos patogénicos de la THD, así como para el desarrollo de nuevas terapias que mejoren la gestión de los pacientes. Incluso puede ayudar a la implantación de terapias personalizadas, ya que no todos los pacientes responden al tratamiento», destaca la jefa de grupo en el Idibell y una de las líderes del proyecto, Antonella Consiglio.

Con información de EFE