



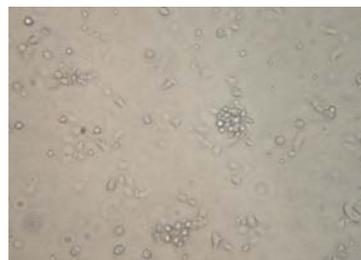
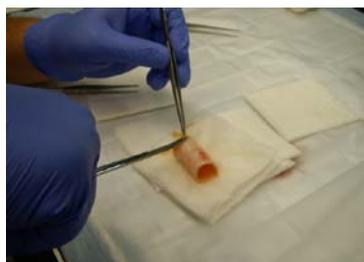
“Medicina personalizada”

Cientistas testam novo fármaco para doentes com fibrose quística

Já existe uma **abordagem terapêutica** para os **doentes portugueses** com a **segunda mutação da fibrose quística (A561E) mais frequente em Portugal**. Sete investigadores da **Faculdade de Ciências da ULisboa**, em colaboração com dois clínicos do **Hospital La Fe de Valencia**, em Espanha, testaram pré-clinicamente o novo fármaco, e neste momento, aguardam a sua aprovação pelas agências reguladoras.

“Os nossos resultados mostram que, à semelhança do que acontece com os pacientes que têm a mutação mais frequente (F508del), os pacientes com a mutação A561E também podem vir a ter benefício terapêutico deste novo fármaco”, diz **Margarida Amaral, investigadora principal deste estudo**, professora no Departamento de Química e Bioquímica da Faculdade de Ciências da ULisboa e **coordenadora do novo centro de investigação da Fundação para a Ciência e a Tecnologia - [BioISI- Biosystems & Integrative Sciences Institute](#)**.

No âmbito dum protocolo estabelecido em 2011, o **Hospital La Fe de Valencia** envia para Portugal **pulmões de pacientes com fibrose quística**, transplantados naquela unidade hospitalar. Os **investigadores do BioISI cultivam as células desses pulmões**, utilizando-os para vários tipos de estudos. O objetivo é compreender os mecanismos desta doença genética. **A mutação A561E também ocorre** com alguma frequência **nos doentes com fibrose quística em Espanha e no Brasil**.



“No caso concreto deste estudo, avaliámos a resposta de células de pulmão provenientes de pacientes com diferentes mutações (raras) no gene CFTR (que é o que está mutado nesta doença genética) a novos fármacos da fibrose quística. No caso duma resposta positiva (como foi o caso) **dispomos duma base científica, que justifica o alargamento do âmbito de aplicação desses novos fármacos** a mais doentes. Trata-se duma abordagem de ‘**medicina personalizada**’”, explica Margarida Amaral.

Os resultados da investigação encontram-se publicados no [EBioMedicine](#). O artigo “[Measurements of Functional Responses in Human Primary Lung Cells as a Basis for Personalised Therapy for Cystic Fibrosis](#)” é da autoria de **Nikhil Awatade, Inna Uliyakina, Carlos Farinha, Luka Clarke, Karina Mendes, Maria Margarida Ramos e Margarida Amaral**, investigadores do BioISI e ainda de **Amparo Solé e Juan Pastor**, do Hospital La Fe de Valencia.

Informações:

Faculdade de Ciências da Universidade de Lisboa | Departamento de Química e Bioquímica | BioISI - BioSystems & Integrative Sciences Institute

Margarida Amaral | +351 21 750 08 61 | Email: mdamaral@fc.ul.pt | Imagens em

<https://www.dropbox.com/sh/oma36abbdgsg6k6/AADK3NYFzWsVQnSYNhtc5Rha?dl=0>