

15 de julio de 2026

Un estudio liderado por HM CINAC abre la puerta a administrar terapia génica cerebral sin necesidad de cirugía

- La investigación, publicada en la revista [Advanced Science](#), **demuestra en primates no humanos que es posible administrar terapia génica en el cerebelo de forma no invasiva** mediante ultrasonidos focalizados, superando una de las principales barreras para el tratamiento de ciertas enfermedades neurodegenerativas
- La combinación de ultrasonidos focalizados y terapia génica permite atravesar de forma temporal y controlada la barrera hematoencefálica sin recurrir a procedimientos quirúrgicos, ampliando a las enfermedades del cerebelo la posibilidad de la medicina de precisión aplicada al cerebro

Uno de los mayores retos de la terapia génica aplicada a enfermedades neurológicas consiste en conseguir que los tratamientos lleguen al cerebro de forma eficaz sin necesidad de recurrir a procedimientos neuroquirúrgicos invasivos. Investigadores del Centro Integral de Neurociencias Abarca Campal HM CINAC, han dado ahora otro paso relevante para superar esta limitación al demostrar que **es posible administrar terapia génica en el cerebelo mediante ultrasonidos focalizados, sin necesidad de cirugía.**

El trabajo, publicado en la revista científica [Advanced Science](#), demuestra por primera vez en primates no humanos que la combinación de ultrasonidos focalizados de baja intensidad, microburbujas administradas por vía intravenosa y vectores de terapia génica permite atravesar de forma temporal y controlada la barrera hematoencefálica (la estructura que protege el cerebro e impide el paso de la mayoría de los fármacos) para dirigir el tratamiento con gran precisión hacia regiones cerebrales profundas, que como el cerebelo se afectan en varias enfermedades neurodegenerativas.

Este avance, con un elevado potencial traslacional, abre nuevas perspectivas para el desarrollo de terapias dirigidas a enfermedades neurodegenerativas, especialmente aquellas que afectan al cerebelo y para las que actualmente no existen tratamientos capaces de modificar el curso de la enfermedad.

Superar una de las principales barreras de la terapia génica

La terapia génica representa una de las estrategias más prometedoras para tratar enfermedades del sistema nervioso central. Sin embargo, su aplicación clínica continúa limitada por la dificultad de hacer llegar los vectores terapéuticos al cerebro, debido a la barrera hematoencefálica, un mecanismo natural de protección que restringe el paso de la mayoría de las moléculas administradas por vía sistémica.

Hasta ahora, las principales estrategias han requerido procedimientos invasivos que conllevan la apertura del cráneo y la inyección directa del tratamiento en el tejido cerebral. La investigación desarrollada por HM CINAC demuestra una alternativa completamente diferente. Mediante ultrasonidos focalizados de baja intensidad y microburbujas intravenosas, los investigadores logran abrir de forma localizada y reversible la barrera hematoencefálica, permitiendo que los vectores virales alcancen con precisión el cerebelo sin necesidad de cirugía.

Resultados con gran potencial traslacional

Uno de los aspectos más relevantes del estudio es que ha sido desarrollado en macacos, un modelo experimental especialmente próximo al ser humano y de gran valor para la investigación traslacional.

Los resultados del trabajo¹ liderado por el Dr. Javier Blesa y el Dr. José Pineda, han demostrado una administración altamente precisa de los vectores de terapia génica en las regiones cerebelosas seleccionadas, consiguiendo una expresión eficiente del material genético en un alto número de las neuronas de los núcleos cerebelosos profundos tratados. Estos hallazgos representan un paso importante hacia el desarrollo de futuras terapias dirigidas a enfermedades neurodegenerativas y otras patologías del sistema nervioso central que requieren una administración localizada de tratamientos avanzados.

Para el Prof. José A. Obeso, director de HM CINAC y uno de los directores de este estudio, junto al Dr. Javier Blesa, "este estudio demuestra que es posible administrar terapia génica en regiones profundas del cerebro sin recurrir a procedimientos neuroquirúrgicos invasivos. Haber conseguido atravesar de forma controlada la barrera hematoencefálica mediante ultrasonidos focalizados supone un avance muy relevante para el desarrollo de futuras terapias frente a enfermedades neurodegenerativas. Nuestro objetivo es seguir acercando estas tecnologías a la práctica clínica para ofrecer nuevas oportunidades a pacientes que hoy disponen de muy pocas alternativas terapéuticas".

Un nuevo paso hacia la medicina de precisión

Además de demostrar la viabilidad de esta estrategia, el estudio confirma el potencial de los ultrasonidos focalizados como plataforma para facilitar la administración localizada de terapias avanzadas en el cerebro.

Esta aproximación podría contribuir en el futuro al desarrollo de tratamientos más precisos, personalizados y menos invasivos para patologías neurodegenerativas complejas, reduciendo los riesgos asociados a la cirugía intracraneal y ampliando las posibilidades de la medicina de precisión.

El Dr. Juan Abarca Cidón, presidente de HM Hospitales, destaca que "la investigación solo alcanza su verdadero sentido cuando consigue transformar el conocimiento científico en nuevas oportunidades para los pacientes. Este trabajo refleja el modelo que impulsamos en HM Hospitales, donde asistencia, investigación y docencia forman parte de una misma estrategia para acelerar la incorporación de innovaciones capaces de cambiar la forma de diagnosticar y tratar enfermedades especialmente complejas".

HM CINAC, referente internacional en ultrasonidos focalizados

Este trabajo consolida la trayectoria investigadora de HM CINAC como uno de los centros internacionales de referencia en el desarrollo de aplicaciones terapéuticas de los ultrasonidos focalizados.

En los últimos años, el centro ha liderado avances pioneros en áreas como la enfermedad de Parkinson, la apertura controlada de la barrera hematoencefálica y el desarrollo de nuevas estrategias de neuromodulación y terapias avanzadas, reforzando el posicionamiento de HM Hospitales en investigación traslacional y medicina de precisión.

La publicación de estos resultados en *Advanced Science*, una revista internacional de alto impacto en ciencia e innovación biomédica supone un nuevo reconocimiento al trabajo desarrollado por los investigadores de este centro integral y del Instituto de Investigación Sanitaria HM Hospitales (IISHM), consolidando la apuesta del Grupo por una investigación capaz de trasladar los avances científicos a la práctica clínica y generar un impacto real en la salud de los pacientes.

Referencias:

¹(Esteban-García y cols, *Noninvasive Focal Gene Delivery into the Cerebellum of Non-Human Primates using Focused Ultrasound*, *Advanced Science*, 2026; 0:e75307 <https://doi.org/10.1002/advs.75307> <https://doi.org/10.1002/advs.75307>)

HM Hospitales

HM Hospitales es el grupo hospitalario privado de referencia a nivel nacional que basa su oferta en la excelencia asistencial sumada a la investigación, la docencia, la constante innovación tecnológica y la publicación de resultados. Dirigido por médicos y con capital 100% español, cuenta en la actualidad con 7.500 profesionales que concentran sus esfuerzos en ofrecer una medicina de calidad e innovadora centrada en el cuidado de la salud y el bienestar de sus pacientes y familiares.

HM Hospitales está formado por 50 centros asistenciales: 24 hospitales, 3 centros integrales de alta especialización en oncología, cardiología, neurociencias, 5 centros especializados en medicina de la reproducción, salud ocular, salud bucodental, medicina estética y cirugía plástica y prevención precoz personalizada, además de 18 policlínicos. Todos ellos trabajan de manera coordinada para ofrecer una gestión integral de las necesidades y requerimientos de sus pacientes.

Departamento de Comunicación HM Hospitales

Sonsoles Pérez González

☎ 914 444 244 ext.167 📱 667 184 600

✉ sperezgonzalez@hmhospitales.com

🌐 www.hmhospitales.com