



PAMPLONA, 23 DE SEPTIEMBRE DE 2020

CURRÍCULO DEL INVESTIGADOR

ANTONIO FONTANELLAS ROMÁ



Universidad
de Navarra



DATOS DEL INVESTIGADOR

Datos de identificación del investigador

NOMBRE	Antonio
PRIMER APELLIDO	Fontanellas
SEGUNDO APELLIDO	Romá
PAÍS DE NACIMIENTO	España
EMAIL	afontanellas@unav.es
FIRMA CIENTÍFICA PRINCIPAL	Fontanellas, Antonio

Páginas webs y redes sociales

TIPO RED	homepage
URL	http://www.unav.edu/

PRODUCCIÓN Y ACTIVIDAD CIENTÍFICA DEL INVESTIGADOR

Resumen

PRODUCCIÓN/ACTIVIDAD	TIPO	NÚMERO
Producción investigadora	Publicaciones en Revistas	18
	Aportaciones a Congresos	22
Actividad investigadora	Proyectos I+D+i y Ayudas	6
	Colaboraciones con Centros de I+D	2

Detalles

PUBLICACIONES EN REVISTAS

- Título del trabajo:** Messenger RNA therapy for rare genetic metabolic diseases
Título de la revista: GUT
ISSN: 0017-5749
Volumen: 68
Número: 7
Página inicial-final: 1323 - 1330
Idioma: Inglés
Año de Publicación: 2019
DOI (Document Object Identifier): 10.1136/gutjnl-2019-318269
Autores: [Berraondo, Pedro](#); Martini, P. G. V.; [Ávila, Matías Antonio](#); [Fontanellas, Antonio](#)
Rol del investigador: Autor de correspondencia
JCR
Categoría: GASTROENTEROLOGIA Y HEPATOLOGIA
Posición: 4 de 84
Índice de Impacto: 17.943
Cuartil: 1º C
- Título del trabajo:** Bioengineered PBGD variant improves the therapeutic index of gene therapy vectors for acute intermittent porphyria
Título de la revista: HUMAN MOLECULAR GENETICS
ISSN: 0964-6906
Volumen: 27
Número: 21
Página inicial-final: 3688 - 3696
Idioma: Inglés
Año de Publicación: 2018
DOI (Document Object Identifier): 10.1093/hmg/ddy283
Autores: Serrano-Mendioroz, I. ; [Sampedro Pascual, Ana](#); Serna, N. ; de Salamanca, R. E.; Sanz-Parra, A.; Corrales, F. ; [Berraondo, Pedro](#); Millet, O. ; [Fontanellas, Antonio](#)
Rol del investigador: Autor de correspondencia
JCR
Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR
Posición: 62 de 298
Índice de Impacto: 4.544
Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA
Posición: 32 de 174
Índice de Impacto: 4.544
Cuartil: 1º C

3. **Título del trabajo:** Systemic messenger RNA as an etiological treatment for acute intermittent porphyria

Título de la revista: NATURE MEDICINE

ISSN: 1078-8956

Volumen: 24

Número: 12

Página inicial-final: 1899 - 1909

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2018

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/s41591-018-0199-z

Autores: Jiang, L. ; Berraondo, Pedro; Jerico, D.; Guey, L. T.; Sampedro Pascual, Ana; Frassetto, A.; Benenato, K. E.; Burke, K. ; Santamaria, E.; Alegre, Manuel; Pejenaute, Álvaro; Kalariya, M. ; Butcher, W.; Park, J. S. ; Zhu, X. L.; Sabnis, S. ; Kumarasinghe, E. S.; Salerno, T.; Kenney, M. ; Lukacs, C. M.; Ávila, Matías Antonio; Martini, P. G. V. ; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 1 de 136

Índice de Impacto: 30.641

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 2 de 298

Índice de Impacto: 30.641

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOLOGIA CELULAR

Posición: 3 de 193

Índice de Impacto: 30.641

Cuartil: 1º C

4. **Título del trabajo:** Efficacy of systemic messenger RNA therapy to treat and prevent porphyria attacks in animal models of acute intermittent porphyria

Título de la revista: MOLECULAR GENETICS AND METABOLISM

ISSN: 1096-7192

Volumen: 123

Número: 2

Página inicial-final: S70 - S71

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2018

DOI (Document Object Identifier): 10.1016/j.ymgme.2017.12.175

Autores: Jiang, L.; Berraondo, Pedro; Guey, L.; Sampedro Pascual, Ana; Frassetto, A.; Benenato, K. ; Kalariya, M.; Sabnis, S.; Salerno, T. ; Kumarasinghe, E.; Butcher, W. ; Lukacs, C.; Ávila, Matías Antonio; Fontanellas, Antonio; Martini, P.

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 50 de 136

Índice de Impacto: 3.61

Cuartil: 2º C

Categoría: ENDOCRINOLOGIA Y METABOLISMO

Posición: 51 de 145

Índice de Impacto: 3.61

Cuartil: 2º C

Categoría: GENETICA

Posición: 51 de 174

Índice de Impacto: 3.61

Cuartil: 2º C

5. **Título del trabajo:** Glucose metabolism during fasting is altered in experimental porphobilinogen deaminase deficiency

Título de la revista: HUMAN MOLECULAR GENETICS

ISSN: 0964-6906

Volumen: 25

Número: 7

Página inicial-final: 1318 - 1327

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2016

DOI (Document Object Identifier): 10.1093/hmg/ddw013

Autores: Collantes M; Serrano Mendioroz, Irantz; Benito, M.; Molinet Dronda, Francisco; Delgado, M.; Vinaixa, M.; Sampedro Pascual, Ana; Enriquez de Salamanca, R.; Prieto, Elena; Pozo, M. A.; Peñuelas, Iván; Corrales, Fernando José; Barajas Vélez, Miguel Ángel; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: GENETICA

Posición: 23 de 166

Índice de Impacto: 5.34

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 46 de 286

Índice de Impacto: 5.34

Cuartil: 1º C

6. **Título del trabajo:** Phase I open label liver-directed gene therapy clinical trial for acute intermittent porphyria

Título de la revista: JOURNAL OF HEPATOLOGY

ISSN: 0168-8278

Volumen: 65

Número: 4

Página inicial-final: 776 - 783

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2016

DOI (Document Object Identifier): 10.1016/j.jhep.2016.05.012

Autores: D'Avola, Delia; Lopez Franco, Esperanza; Sangro, Bruno; Pañeda Rodríguez, María Astrid; Grossios, N.; Gil Fariña, Irene; Benito, Alberto; Twisk, J.; Paz, M.; Ruiz, J.; Schmidt, M.; Petry, H.; Harper, P.; Enriquez de Salamanca, R.; Fontanellas, Antonio; Prieto, Jesús María; González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: GASTROENTEROLOGIA Y HEPATOLOGIA

Posición: 5 de 79

Índice de Impacto: 12.486

Cuartil: 1º C

7. **Título del trabajo:** Emerging therapies for acute intermittent porphyria

Título de la revista: EXPERT REVIEWS IN MOLECULAR MEDICINE

ISSN: 1462-3994

Volumen: 18

Página inicial-final: e17

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2016

DOI (Document Object Identifier): 10.1017/erm.2016.18

Autores: Fontanellas, Antonio; Ávila, Matías Antonio; Berraondo, Pedro

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 66 de 286

Índice de Impacto: 4.405

Cuartil: 1º C

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 22 de 128

Índice de Impacto: 4.405

Cuartil: 1º C

8. **Título del trabajo:** Helper-dependent adenovirus achieve more efficient and persistent liver transgene expression in non-human primates under immunosuppression

Título de la revista: GENE THERAPY

ISSN: 0969-7128

Volumen: 22

Número: 11

Página inicial-final: 856 - 865

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2015

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/gt.2015.64

Autores: Unzu Ezquerro, Carmen María; Melero, Ignacio Javier; Sandra Hervás-Stubbs; Sampedro Pascual, Ana; Mancheno, U.; Morales Kastresana, Aizea; Serrano Mendioroz, Irantzu; de Salamanca, R. E.; Benito, A.; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 39 de 124

Índice de Impacto: 3.242

Cuartil: 2º C

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 44 de 161

Índice de Impacto: 3.242

Cuartil: 2º C

Categoría: GENETICA

Posición: 60 de 166

Índice de Impacto: 3.242

Cuartil: 2º C

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 111 de 289

Índice de Impacto: 3.242

Cuartil: 2º C

9. **Título del trabajo:** Vitamin D-binding protein as a biomarker of active disease in acute intermittent porphyria

Título de la revista: JOURNAL OF PROTEOMICS

ISSN: 1874-3919

Volumen: 127

Página inicial-final: 377 - 385

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2015

DOI (Document Object Identifier): 10.1016/j.jprot.2015.05.004

Autores: Serrano Mendioroz, Irantzu; Sampedro Pascual, Ana; Mora, M I; Mauleon, Miren Itsaso; Segura, Victoriano; Enríquez de Salamanca, R.; Harper, P.; Sardh, E.; Corrales, Fernando José; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOMETODOS

Posición: 15 de 77

Índice de Impacto: 3.867

Cuartil: 1º C

10. **Título del trabajo:** Safety and liver transduction efficacy of rAAV5-cohPBGD in nonhuman primates: a potential therapy for acute intermittent porphyria.

Título de la revista: HUMAN GENE THERAPY

ISSN: 1043-0342

Volumen: 24

Número: 12

Página inicial-final: 1007 - 1017

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2013

DOI (Document Object Identifier): 10.1089/hum.2013.166

Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Lopez Franco, Esperanza; Kaepfel, C.; Unzu Ezquerro, Carmen María; Gil, Ana Gloria; D'Avola, Delia; Beattie, S. G.; Olagüe Micheltorena, María Cristina; Ferrero Laborda, Roberto; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Hermening, S.; Salmon, F.; Benito, Alberto; Gavira, Juan José; Cornet, M. E.; Municio, M. M.; von-Kalle, C.; Petry, H.; Prieto, Jesús María; Schmidt, M.; Fontanellas, Antonio; González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Coautor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 29 de 121

Índice de Impacto: 4.019

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 26 de 159

Índice de Impacto: 4.019

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 42 de 161

Índice de Impacto: 4.019

Cuartil: 2º C

11. **Título del trabajo:** Transient and intensive pharmacological immunosuppression fails to improve AAV-based liver gene transfer in non-human primates

Título de la revista: Journal of Translational Medicine

ISSN: 1479-5876

Volumen: 10

Página inicial-final: 222

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2012

DOI (Document Object Identifier): 10.1186/1479-5876-10-122.

Autores: Unzu Ezquerro, Carmen María; Sandra Hervás-Stubbs; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Mancheño, U.; Alfaro, Carlos; de Salamanca, R. E.; Benito, Alberto; Beattie, S. G.; Petry, H.; Prieto, Jesús María; Melero, Ignacio Javier; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 36 de 121

Índice de Impacto: 3.459

Cuartil: 2º C

12. **Título del trabajo:** Immunology and gene therapy: shoulder to shoulder into the fray

Título de la revista: Molecular Therapy

ISSN: 1525-0016

Número: 18

Página inicial-final: 456 - 459

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2010

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/mt.2010.7

Autores: Smerdou, Cristian; Ochoa, María del Carmen; Quetglas, José Ignacio; Fontanellas, Antonio; González-Asequinolaza, Gloria; Vile, RG; Melero, Ignacio Javier

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 10 de 160

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 15 de 156

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 7 de 106

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

13. **Título del trabajo:** Intensive pharmacological immunosuppression allows for repetitive liver gene transfer with recombinant adenovirus in nonhuman primates

Título de la revista: Molecular Therapy

ISSN: 1525-0016

Volumen: 18

Número: 4

Página inicial-final: 754 - 765

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2010

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/mt.2009.312

Autores: Fontanellas, Antonio; Sandra Hervas-Stubbs; Mauleon, Miren Itsaso; Dubrot Armendáriz, Juan; Mancheño, U; Collantes M; Sampedro Pascual, Ana; Unzu Ezquerro, Carmen María; Alfaro, Carlos; Palazón García, Francisco de Asís; Smerdou, Cristian; Benito, Alberto; Prieto, Jesús María; Peñuelas, Iván; Melero, Ignacio Javier

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 10 de 160

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 15 de 156

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 7 de 106

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

14. **Título del trabajo:** Porphobilinogen deaminase over-expression in hepatocytes, but not in erythrocytes, prevents accumulation of toxic porphyrin precursors in a mouse model of acute intermittent porphyria

Título de la revista: Journal of Hepatology

ISSN: 0168-8278

Volumen: 52

Número: 3

Página inicial-final: 417 - 424

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2010

DOI (Document Object Identifier): 10.1016/j.jhep.2009.09.003

Autores: Unzu Ezquerro, Carmen María; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Vanrell Majo, Lucía María; Dubrot Armendáriz, Juan; Enríquez de Salamanca, Rafael; González-Asequinolaza, Gloria; Melero, Ignacio Javier; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: GASTROENTEROLOGIA Y HEPATOLOGIA

Posición: 4 de 71

Índice de Impacto: 9.334

Cuartil: 1º C

15. **Título del trabajo:** Sustained enzymatic correction by rAAV-mediated liver gene therapy protects against induced motor neuropathy in acute porphyria mice

Título de la revista: Molecular Therapy

ISSN: 1525-0016

Volumen: 19

Número: 2

Página inicial-final: 243 - 250

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2010

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/mt.2010.210

Autores: Unzu Ezquerro, Carmen María; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Alegre, Manuel; Beattie, SG; De Salamanca, RE; Snapper, J; Twisk, J; Petry, H; González-Asequinolaza, Gloria; Artieda, Julio; Rodríguez-Pena, MS; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 10 de 160

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 15 de 156

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 7 de 106

Índice de Impacto: 7.149

Cuartil: 1º C

16. **Título del trabajo:** Effect of adeno-associated virus serotype and genomic structure on liver transduction and biodistribution in mice of both genders.

Título de la revista: Human Gene Therapy (Print)

ISSN: 1043-0342

Volumen: 20

Número: 8

Página inicial-final: 908 - 917

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2009

DOI (Document Object Identifier): 10.1089/hum.2009.031

Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Mauleon, Miren Itsaso; Crettaz, J.; Berraondo, Pedro; Timmermans, E. J.; Beattie, S. G.; Twisk, J.; Van Deventer, S.; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Rodríguez-Pena, M. S.; González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 17 de 92

Índice de Impacto: 4.202

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 22 de 150

Índice de Impacto: 4.202

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 31 de 144

Índice de Impacto: 4.202

Cuartil: 1º C

17. **Título del trabajo:** Epidermal growth factor receptor ligands in murine models for erythropoietic protoporphyria: potential novel players in the progression of liver injury

Título de la revista: CELLULAR AND MOLECULAR BIOLOGY

ISSN: 0145-5680

Volumen: 55

Número: 1

Página inicial-final: 29 - 37

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2009

Autores: Berasain, C; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Goñi, S; Latasa, María Ujué; Matscheko, N; García-Bravo, M; Unzu, C; Corrales, Fernando José; Enriquez de Salamanca, R; Prieto, Jesús María; Ávila, Matías Antonio; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 237 de 283

Índice de Impacto: 1.176

Cuartil: 4º C

Categoría: BIOLOGIA CELULAR

Posición: 143 de 161

Índice de Impacto: 1.176

Cuartil: 4º C

18. **Título del trabajo:** PET imaging of thymidine kinase gene expression in the liver of non-human primates following systemic delivery of an adenoviral vector

Título de la revista: GENE THERAPY

ISSN: 0969-7128

Volumen: 16

Número: 1

Página inicial-final: 136 - 141

Idioma: Inglés

Año de Publicación: 2009

DOI (Document Object Identifier): 10.1038/gt.2008.122

Autores: Fontanellas, Antonio; Sandra Hervas-Stubbs; Sampedro Pascual, Ana; Collantes M; Azpilicueta, Arantza; Mauleon, Miren Itsaso; Pañeda Rodríguez, María Astrid; Quincoces, Gemma; Prieto, Jesús María; Melero, Ignacio Javier; Peñuelas, Iván

Rol del investigador: Autor

JCR

Categoría: MEDICINA EXPERIMENTAL

Posición: 15 de 92

Índice de Impacto: 4.745

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOQUIMICA Y BIOLOGIA MOLECULAR

Posición: 57 de 283

Índice de Impacto: 4.745

Cuartil: 1º C

Categoría: BIOTECNOLOGIA Y MICROBIOLOGIA APLICADA

Posición: 16 de 150

Índice de Impacto: 4.745

Cuartil: 1º C

Categoría: GENETICA

Posición: 25 de 144

Índice de Impacto: 4.745

Cuartil: 1º C

APORTACIONES A CONGRESOS

- Título de la aportación:** Phase 1 clinical trial of liver Directec Gene therapy with rAAV5-PBGD in Acute Intermittent Porphyria: preliminary Safety Data.

Denominación del evento: 17th Annual Meeting of The American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT).

Localidad: Washington

País: Estados Unidos de América

Fecha Inicio: 21/05/2014

Fecha Fin: 24/05/2014

Idioma: Inglés

Ámbito: Internacional no UE

Publicación del evento: Sí

Autores: Sangro, Bruno; Lopez Franco, Esperanza; Harper P; Fontanellas, Antonio; Grosios N; D'Avola, Delia; Henrichson A; Salmon F; Abecia S; Pañeda A; Paz M; Cornet ME; Municio MM; Fernández de Trocóniz, José Ignacio; Kaepfel Ch; Ruiz J; Von Kalle Ch; Schmidt M; Petry H; Enriquez de Salamanca R; Prieto, Jesús María; González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Autor
- Título de la aportación:** Non-Clinical Safety Evaluation of AAV5-PBGD in Mice and Cynomolgus Macaques

Denominación del evento: International Congress of Porphyrins and Porphyrias.

Localidad: Lucerna

País: Suiza

Fecha Inicio: 16/05/2013

Fecha Fin: 18/05/2013

Idioma: Inglés

Ámbito: Unión Europea

Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Lopez Franco, Esperanza; Olagüe Micheltorena, María Cristina; Fontanellas, Antonio; Unzu Ezquerro, Carmen María; Sampedro Pascual, Ana; Cornet ME; Municio MDM; Heal P; Petry H; Sonnemans M; González-Asequinolaza, Gloria; Salmon F

Rol del investigador: Coautor

3. **Título de la aportación:** Liver Gene Therapy Prevents Attenuated Brain Perfusion and Impaired Glucose Uptake in the Primary Somatosensorial Cortex in Porphyria Mice
Denominación del evento: International Congress of Porphyrins and Porphyrias
Localidad: Lucerna
País: Suiza
Fecha Inicio: 16/05/2013
Fecha Fin: 18/05/2013
Idioma: Inglés
Ámbito: Unión Europea
Autores: Benito M; Collantes M; Unzu Ezquerro, Carmen María; Serrano-Mendioroz I; Molinet F; Rodriguez I; Delgado M; Prieto, Elena; Garcia-Garcia L; Enríquez de Salamanca R; Pozo MA; Peñuelas, Iván; Prieto, Jesús María; Desco M; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Coautor
4. **Título de la aportación:** Novel Gene therapy for Acute Intermittent Porphyria
Denominación del evento: 6th European Conference on Rare Disease & Orphan Drugs.
Localidad: Bruselas
País: Bélgica
Fecha Inicio: 23/05/2012
Fecha Fin: 25/05/2012
Idioma: Inglés
Ámbito: Unión Europea
Autores: González-Asequinolaza, Gloria; D'Avola, Delia; Pañeda, A.; Petry, H.; Lopez, Esperanza; Olagüe Micheltorena, María Cristina; Fontanellas, Antonio; Unzu Ezquerro, Carmen María; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Prieto, Jesús María; Sangro, Bruno; Fernández de Trocóniz, José Ignacio; Ruiz, J.; Urdaneta, M.; Cornet, M.; Municio, M.; Salamanca, R.; Abecias, S.; Schmidt, M.; Kappel, Ch.; Salmon, F.; Camozzi, C.; Nijmeijer, B.; Twisk, J.; Harper, P.; Henrichson, A.
Rol del investigador: Autor
5. **Título de la aportación:** Absence of Integration Hotspots in Non-Human Primates after Intravenous Injection of AAV2/5-AAT-coPBGD.
Denominación del evento: 15th Annual Meeting of the American Society of Cell and Gene Therapy.
Localidad: Sin dato
País: Estados Unidos de América
Fecha Inicio: 16/05/2012
Fecha Fin: 19/05/2012
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Kaepfel, Christine; Pañeda, Astrid; Lopez, Esperanza; Fontanellas, Antonio; Prieto, Jesús María; Beattie, Stuart; Hermening, Stephan; Petry, Harald; González-Asequinolaza, Gloria; von Kalle, Christof; Schmidt, Manfred
Rol del investigador: Autor
6. **Título de la aportación:** Toxicology and liver transduction efficacy evaluation of a recombinant adeno-associated viral vector in non human primates as a potential treatment for acute intermittent porphyria.
Denominación del evento: 47th Annual Meeting of the European Association for the Study of the Liver.
Localidad: BARCELONA
País: España
Fecha Inicio: 18/04/2012
Fecha Fin: 22/04/2012
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE

Autores: Pañeda, Astrid; Lopez, Esperanza; Fontanellas, Antonio; Unzu Ezquerro, Carmen María; Olagüe Micheltoarena, María Cristina; Ferrero Laborda, Roberto; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Hermening, Stephan; Beattie, Stuart; Petry, Harald; Benito, Alberto; D'Avola, Delia; Prieto, Jesús María; González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Autor

7. **Título de la aportación:** Pharmacological immunosuppression fails to improve the outcome of aav-based liver gene transfer in non-human primates.
Denominación del evento: ASGCT 14th Annual Meeting
Localidad: Seattle
País: Estados Unidos de América
Fecha Inicio: 18/05/2011
Fecha Fin: 21/05/2011
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Unzu Ezquerro, Carmen María; Sandra Hervas-Stubbs; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Mancheño, Uxua; Alfaro, Carlos; Enríquez de Salamanca, Rafael; Benito, Alberto; Melero, Ignacio Javier; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Autor

8. **Título de la aportación:** AIPGENE: Aumenting porphobilinogen deaminase expression in the liver as a novel gene therapy for acute intermittent porphyria.
Denominación del evento: International Meeting on Porphyrins and Porphyrins.
Localidad: Cardiff
País: Reino Unido
Fecha Inicio: 10/04/2011
Fecha Fin: 14/04/2011
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: González-Asequinolaza, Gloria; Fontanellas, Antonio; Unzu Ezquerro, Carmen María; Hermening, S.; Beattie, S.; Preusting, H.; Petry, H.; Paneda, A.; Urdaneta, M.; Ruiz, J.; Cornet, M. E.; Municio, M. del Mar; Henrichson, A.; Harper, P.; Alba, M. M.; Moran Jiménez, M. J.; de Salamanca, R. E.; Käppel, C.; Kalle, Cvon; Schmidt, M.; Davola, D.; Sangro, Bruno; Fernández de Trocóniz, José Ignacio; Prieto, Jesús María
Rol del investigador: Autor

9. **Título de la aportación:** Toxicology and transduction efficacy study of the intravenous administration a gene transfer vector for the treatment of Acute Intermittent Porphyria in non-human primates.
Denominación del evento: International Meeting on Porphyrins and Porphyrins.
Localidad: Cardiff
País: Reino Unido
Fecha Inicio: 10/04/2011
Fecha Fin: 14/04/2011
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Paneda, A.; Fontanellas, Antonio; Olagüe Micheltoarena, María Cristina; Ferrero Laborda, Roberto; Sampedro Pascual, Ana; Benito, Alberto; de Salamanca, R. E.; Ruiz, J.; Nijmeijer, B.; Beattie, S.; Sonnemans, M.; Hermening, S.; Davola, D.; Prieto, Jesús María; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor

10. **Título de la aportación:** Decreased glucose uptake in the primary somatosensorial cortex in the brain of female mice with acute intermittent porphyria.
Denominación del evento: Porphyrins and Porphyrins Meeting.
Localidad: Cardiff
País: Reino Unido
Fecha Inicio: 10/04/2011
Fecha Fin: 14/04/2011
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Benito, M.; Molinet, F.; Rodríguez, I.; Delgado, M.; Collantes M; García-García, L.; Lanciego, José

Luis; Prieto, E.; E. de Salamanca, R.; Unzu Ezquerro, Carmen María; Peñuelas, Iván; Prieto, Jesús María; Pozo García, M. A.; Desco, M.; Fontanellas, Antonio

Rol del investigador: Autor

11. **Título de la aportación:** La inmunosupresión farmacológica permite la readministración de adenovirus recombinantes para transferencia génica del hígado en primates no humanos.
Denominación del evento: XXXV Congreso de la Asociación Española para el Estudio del Hígado.
Localidad: Madrid
País: España
Fecha Inicio: 17/02/2010
Fecha Fin: 19/02/2010
Idioma: Español
Ámbito: Nacional
Autores: Fontanellas, Antonio; Sandra Hervas-Stubbs; Mauleon, Miren Itsaso; Dubrot Armendáriz, Juan; Mancheno, Uxua; Collantes M; Sampedro Pascual, Ana; Enríquez de Salamanca, Rafael; Palazón García, Francisco de Asís; Benito, Alberto; Prieto, Jesús María; Peñuelas, Iván; Melero, Ignacio Javier
Rol del investigador: Autor
12. **Título de la aportación:** Gender and species differences in HSV-tk expression measured by 18F-FHBG-PET in rodents: correlation with immunohistochemistry
Denominación del evento: European Association of Nuclear Medicine (EANM) Annual Congress
Localidad: Barcelona
País: España
Fecha Inicio: 10/10/2009
Fecha Fin: 14/10/2009
Idioma: Inglés
Ámbito: Unión Europea
Autores: Collantes M; Pañeda Rodríguez, María Astrid; Snapper J.; Aurrekoetxea Galindo, Igor; Olagüe Micheltorena, María Cristina; Quincoces, Gemma; Areses, Paloma; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Petry H; van Deventer S.; Rodríguez-Pena M.S.; Richter, José Ángel; González-Asequinolaza, Gloria; Peñuelas, Iván
Rol del investigador: Autor
13. **Título de la aportación:** Effect of AAV serotype and genome structure over liver transduction and biodistribution in mice of both genders.
Denominación del evento: 5th Biennial Congress of the Spanish Society of Gene Cell Therapy.
Localidad: Granada
País: España
Fecha Inicio: 30/09/2009
Fecha Fin: 03/10/2009
Idioma: Inglés
Ámbito: Nacional
Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Mauleon, Miren Itsaso; Crettaz, J.; Berraondo, Pedro; Timmermans, E.; Twisk, J.; Van Deventer, S.; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Rodríguez-Pena, M.; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor
14. **Título de la aportación:** Intensive pharmacological immunosuppression allows for repetitive liver gene transfer with recombinant adenovirus in non-human primates.
Denominación del evento: 2nd European Congress of Immunology.
Localidad: Berlín
País: Alemania
Fecha Inicio: 13/09/2009
Fecha Fin: 16/09/2009
Idioma: Inglés
Ámbito: Unión Europea
Autores: Fontanellas, Antonio; Sandra Hervas-Stubbs; Mauleon, Miren Itsaso; Dubrot Armendáriz, Juan; Unzu Ezquerro, Carmen María; Palazón García, Francisco de Asís; Mancheno, Uxúa; Sampedro Pascual, Ana; Collantes M; Prieto, Jesús María; Peñuelas, Iván; Melero, Ignacio Javier

Rol del investigador: Autor

- 15. Título de la aportación:** Assessment of liver transduction efficacy by AAV vectors using positron emission tomography and HSV-TK as reporter gene.
Denominación del evento: 11th Annual Meeting of the American Society of Gene Therapy
Localidad: Boston
País: Estados Unidos de América
Fecha Inicio: 28/05/2008
Fecha Fin: 01/06/2008
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Collantes M; Snapper, J; Aurrekoetxea, Igor; Olagüe Micheltorena, María Cristina; Bilbao Luri, Izaskun; Ecay, Margarita; Quincoces, Gemma; Fontanellas, Antonio; Petry, H.; Van Deventer, S.; Prieto, Jesús María; Peñuelas, Iván; Rodríguez-Pena, M.; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor
- 16. Título de la aportación:** AAV-mediated transfer of PBGD to a small proportion of hepatocytes: sufficient protection against acute attack in murine model of acute intermittent porphyria.
Denominación del evento: European Porphyria Initiative (EPI), European Porphyria Network (EPNET)
Localidad: Madrid
País: España
Fecha Inicio: 25/04/2008
Fecha Fin: 26/04/2008
Idioma: Inglés
Ámbito: Unión Europea
Autores: Fontanellas, Antonio; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Pañeda Rodríguez, María Astrid; Alegre, Manuel; Artieda, Julio; Lanciego, José Luis; Vanrell Majo, Lucía María; Twisk, Jaap; Timmermans, Eric; Enríquez de Salamanca, Rafael; Van Deventer, Sander; Rodríguez-Pena, María Sol; González-Asequinolaza, Gloria; Prieto, Jesús María
Rol del investigador: Autor
- 17. Título de la aportación:** Análisis del efecto del serotipo y la estructura genómica de los virus adenoasociados recombinantes en la transducción hepática.
Denominación del evento: XXXIII Congreso de la Asociación Española para el Estudio del Hígado
Localidad: Madrid
País: España
Fecha Inicio: 20/02/2008
Fecha Fin: 22/02/2008
Idioma: Español
Ámbito: Nacional
Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Mauleon, Miren Itsaso; Crettaz, Julien S.; Berraondo, Pedro; Timmermans, Eric J.; Twisk, Jaap; Van Deventer, Sander; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Rodríguez-Pena, María Sol; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor
- 18. Título de la aportación:** Expresión incrementada de anfirregulina, betacelulina y epirregulina, ligandos del receptor del factor de crecimiento epidérmico, en el hígado de un modelo genético de protoporfiria eritropoyética.
Denominación del evento: XXXIII Congreso de la Asociación Española para el Estudio del Hígado
Localidad: Madrid
País: España
Fecha Inicio: 20/02/2008
Fecha Fin: 22/02/2008
Idioma: Español
Ámbito: Nacional
Autores: Berasain, C; García-Bravo, María; Mauleon, Miren Itsaso; Sampedro Pascual, Ana; Latasa, María Ujué; Corrales, Fernando José; Enríquez de Salamanca, Rafael; Prieto, Jesús María; Ávila, Matías Antonio; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Autor

- 19. Título de la aportación:** AAV serotype/genome comparison for gene therapy targeting the liver
Denominación del evento: 15th Annual Congress of the European Society of Gene and Cell Therapy
Localidad: Rotterdam
País: Holanda
Fecha Inicio: 27/10/2007
Fecha Fin: 30/10/2007
Idioma: Inglés
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Mauleon, Miren Itsaso; Crettaz, Julien S.; Berraondo, Pedro; Timmermans, Eric J.; Twisk, Jaap; Van Deventer, Sander; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Rodríguez-Pena, María Sol; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor
- 20. Título de la aportación:** AAV Serotype/Genome Comparison for Gene Therapy Targeting the Liver
Denominación del evento: 10th Annual Meeting American Society of Gene Therapy
Localidad: Seattle
País: Estados Unidos de América
Fecha Inicio: 30/05/2007
Fecha Fin: 03/06/2007
Idioma: Español
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Mauleon, Miren Itsaso; Crettaz, Julien Swen; Berraondo, Pedro; Timmermans, EJ; Twisk, J; Van Deventer, D; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio; Rodríguez-Pena, MS; González-Asequinolaza, Gloria
Rol del investigador: Autor
- 21. Título de la aportación:** AAV-mediated liver-specific expression of porphobilinogen deaminase protects against acute attack induced by phenobarbital injection in a mouse model of acute intermittent porphyria
Denominación del evento: Porphyrins and Porphyrias Congress
Localidad: Rotterdam
País: Holanda
Fecha Inicio: 29/04/2007
Fecha Fin: 03/05/2007
Idioma: Español
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Fontanellas, Antonio; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Pañeda Rodríguez, María Astrid; Vanrell Majo, Lucía María; Twisk, Jaap; Timmermans, Eric; Enriquez, Rafael; Van Deventer, Sander; Rodríguez-Pena, Maria Sol; González-Asequinolaza, Gloria; Prieto, Jesús María
Rol del investigador: Autor
- 22. Título de la aportación:** Liver protoporphyrin accumulation as an inducing agent in the expression of amphiregulin and betacellulin in a genetic model for erythropoietic protoporphyria
Denominación del evento: Porphyrins and Porphyrias Congress
Localidad: Rotterdam
País: Holanda
Fecha Inicio: 29/04/2007
Fecha Fin: 03/05/2007
Idioma: Español
Ámbito: Internacional no UE
Autores: Berasain, C; García-Bravo, M; Sampedro Pascual, Ana; Mauleon, Miren Itsaso; Latasa, María Ujué; Corrales, Fernando José; Ávila, Matías Antonio; Enriquez de Salamanca, R; Prieto, Jesús María; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Autor

PROYECTOS I+D+I Y AYUDAS

1. **Título del proyecto:** Estabilización y localización hepática de la porfobilinógeno deaminasa mediante fusión a apolipoproteína A-I para el tratamiento de la porfiria aguda intermitente.
Código según financiadora: FMM 9187/2011
Entidad financiadora: FUNDACIÓN MUTUA MADRILEÑA
Fecha inicio: 28/07/2011
Fecha fin: 27/07/2014
Cuantía concedida: 40000
Ámbito: Nacional
Entidades participantes: FUNDACION PARA LA INVESTIGACION MEDICA APLICADA - Fundación - España
Número de investigadores participantes: 9
Investigador Responsable: Berraondo, Pedro
Rol del investigador: Investigador

2. **Título del proyecto:** Augmenting PBGD expression in the liver as a novel gene therapy for acute intermittent porphyria.
Código según financiadora: Aipgene 261506
Entidad financiadora: COMISIÓN EUROPEA
Otro programa financiador: Programa Marco Cooperación
Fecha inicio: 01/01/2011
Fecha fin: 31/12/2013
Cuantía concedida: 3308150
Cuantía concedida tipo de moneda: €
Ámbito: Unión Europea
Entidades participantes: Fundación para la investigación Médica Aplicada - Fundación - España
Número de investigadores participantes: 7
Rol del investigador: Responsable

3. **Título del proyecto:** Estudios preclínicos de terapia génica somática en un modelo murino de porfiria aguda intermitente y primates no humanos mediante vectores hepatotropos no integrativos.
Código según financiadora: FMMA
Fecha inicio: 15/09/2009
Fecha fin: 14/09/2012
Cuantía concedida: 76000
Ámbito: Nacional
Entidades participantes: FIMA - Fundación - España
Número de investigadores participantes: 1
Rol del investigador: Coordinador

4. **Título del proyecto:** Utilización de vectores adenovirales de alta capacidad para la corrección de enfermedades metabólicas. Análisis del impacto sobre el hígado en un modelo de porfiria aguda intermitente y desarrollo de un método alternativo de producción de vectores
Código según financiadora: s/n
Fecha inicio: 01/07/2006
Fecha fin: 01/07/2009
Cuantía concedida: 0
Ámbito: Nacional
Número de investigadores participantes: 1
Rol del investigador: Autor

5. **Título del proyecto:** Terapia génica de enfermedades metabólicas hepáticas, la porfiria aguda intermitente
Código según financiadora: FMMA
Entidad financiadora: FUNDACIÓN MUTUA MADRILEÑA AUTOMOVILÍSTICA
Programa financiador: Proyectos I+D
Fecha inicio: 01/09/2005
Fecha fin: 31/08/2008

Cuantía concedida: 60000

Ámbito: Nacional

Entidades participantes: FIMA - Fundación - España

Número de investigadores participantes: 1

Investigador Coordinador: González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Investigador

6. **Título del proyecto:** Desarrollo de vectores hepatotropos y de larga expresión para el tratamiento de enfermedades metabólicas hepáticas: terapia génica de porfirias hepáticas.

Código según financiadora: Fundación Mutua Madrileña Automovilismo (FMMA)

Fecha inicio: 01/07/2005

Fecha fin: 01/07/2008

Cuantía concedida: 87000

Ámbito: Nacional

Entidades participantes: FIMA - Fundación - España

Número de investigadores participantes: 1

Investigador Coordinador: González-Asequinolaza, Gloria

Rol del investigador: Investigador

COLABORACIONES CON CENTROS DE I+D

1. **Denominación:** DKFZ, Heidelberg, Alemania
Entidad colaboradora: UniQure - Entidad Empresarial, DIGNA - Entidad Empresarial, Universidad de Navarra - Universidad, DKFZ, Heidelberg, Alemania - Instituto Universitario de Investigación, Universidad de la Laguna - Universidad, Clínica Universidad de Navarra - Instituciones Sanitarias
Fecha inicio: 01/01/2010
Descripción de la colaboración: Análisis de la integración de virus adenoasociados
Autores: González-Asequinolaza, Gloria; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Colaborador
2. **Denominación:** UniQure
Entidad colaboradora: Universidad de la Laguna - Universidad, DKFZ, Heidelberg, Alemania - Instituto Universitario de Investigación, Universidad de Navarra - Universidad, DIGNA - Entidad Empresarial, UniQure - Entidad Empresarial, Clínica Universidad de Navarra - Instituciones Sanitarias
Fecha inicio: 01/01/2005
Descripción de la colaboración: Desarrollo de vectores virales de uso clínico para el tratamiento de diferentes enfermedades.
Autores: González-Asequinolaza, Gloria; Fontanellas, Antonio
Rol del investigador: Colaborador