Métodos de tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME) (Patente)

2025 Universidad Pablo de Olavide
Ver la oferta en la web. www.upo.es/UPOtec
Contacta con la OTRI: otri@upo.es

Sector

Salud

Área Tecnológica

Biotecnologia , Biomedicina y Salud Pública

Descripción

Investigadores del Área de Genética de la Universidad Pablo de Olavide han patentado la esfingomienilasa ácida (SMPD1) y fármacos que actúan sobre ella, como una nueva diana que hace aumentar los niveles de proteína SMN, para su uso en el tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME).

Necesidad o problema que resuelve

La atrofia muscular espinal (AME) es una enfermedad genética que tiene una prevalencia de uno de cada 8.000 nacimientos. Los tratamientos actuales frente a dicha enfermedad tienen resultados moderados. Esta enfermedad se produce por una reducción de los niveles de proteína SMN, y la severidad de los síntomas está relacionada directamente con los niveles de dicha proteína. El grupo de investigación responsable de la patente ha descubierto que la reducción del gen SMPD1 genera un incremento de la proteína SMN, lo que la convierte en diana farmacológica. Tanto la inhibición de SMPD1 con RNAi, como la conseguida con diferentes fármacos ya usados para otras patologías genera un incremento de los niveles de SMN en el modelo animal C. elegans. Estos datos se han corroborado en cultivos celulares de fibroblastos procedentes de pacientes de AME, observando que el tratamiento con estos fármacos también genera un incremento de SMN en pacientes. La presente invención consiste pues en una nueva diana farmacológica y varios fármacos que han demostrado su eficacia en estos modelos.

Aspectos innovadores

Los tratamientos actuales frente a los tres tipos de atrofia muscular espinal, los actuales están entre los tratamientos más caros del mercado, tienen resultados moderados. Los/as investigadores/as responsables de la invención han identificado una diana farmacológica que ha sido corroborada mediante técnicas de RNAi y el uso de varios fármacos que han sido usado previamente para otras patologías. Al tratarse de fármacos utilizados previamente en humanos, sería posible realizar directamente un ensayo clínico en fase II, evitando los costosos gastos de las pruebas de toxicidad.

Tipos de empresas interesadas

La presente invención tiene aplicación en el sector farmacéutico y médico.

Nivel de desarrollo

Invención protegida mediante Derechos de Propiedad Industrial, a través de patente disponible para su explotación mediante licencia de uso

Más información

INVENTORES: Antonio Pérez Pulido; Manuel Jesús Muñoz Ruiz; Ana María Brokate-Llanos; Andrés Garzón Villar; Rosa M.Soler Tatché; y Ana Garcerá Teruel. TITULARES: Universidad Pablo de Olavide y Universitat de Lleida. Institut de Recerca Biomèdica de Lleida (IRBLleida).

Equipo de Investigación

Organización genómica, homeostasis y evolución (BIO 372)