Composición para el tratamiento de enfermedades asociadas a trastornos lisosomales (Patente)

2026 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

Esta composición farmacéutica, patentada por investigadores de la Universidad Pablo de Olavide, CSIC y Universidad de Sevilla, comprende una chaperona farmacológica (CF) y coenzima Q10 (CoQ). Asimismo, la presente invención se refiere al procedimiento de preparación de dicha composición y a su uso para el tratamiento de una enfermedad de almacenamiento lisosomal asociada a la mutación de la β-glucocerebrosidasa ácida lisosómica (gen GBA1), particularmente para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher, y más particularmente para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher con fenotipo neuropático (enfermedad de Gaucher tipo II o tipo III). En esta composición, la chaperona farmacológica y la coenzima Q10 pueden combinarse en cualquier proporción relativa. En esta patente, el término “chaperona farmacológica” se refiere a un compuesto capaz de unirse a la enzima β-glucocerebrosidasa humana, que está mutada y es disfuncional en los enfermos que padecen la enfermedad de Gaucher y conducir a un aumento de su actividad médicamente relevante.

Necesidad o problema que resuelve

Los trastornos de tratamiento lisosomal describen un heterogéneo grupo de enfermedades raras hereditarias con pérdida de función de enzimas lisosomales. Como resultado se genera un metabolismo anormal de varios sustratos que no se degradan y se acumulan progresivamente en los lisosomas (orgánulos que se encuentran en todas las células animales), afectando a su función y la de otros orgánulos como la mitocondria, generando desequilibrio autofágico e inflamación y que deriva en fenotipos que incluyen visceromegalia (aumento de tamaño de los órganos internos que se encuentran en el abdomen, tales como hígado, bazo, estómago, riñones o páncreas), patologías neurológicas, lesiones esqueléticas y muerte prematura. Actualmente, algunas de estas patologías sólo disponen de terapias sintomáticas que siguen dos estrategias terapéuticas: Terapia de reducción de sustrato (TRS), que inhibe las enzimas implicadas en la producción del sustrato que se acumula y terapia de reemplazo enzimático (TER), que administra de forma exógena la enzima recombinante activa que se encuentra defectuosa. La enfermedad de Gaucher es el trastorno de almacenamiento lisosomal más predominante. Esta se subdivide en 3 tipos basados en la edad que comienza a manifestarse la enfermedad y la afectación del sistema

nervioso central (SNC). Los pacientes de Gaucher sin manifestaciones del SNC son clasificados como tipo 1, más común; mientras que aquellos pacientes con manifestaciones neurológicas se clasifican en los tipos II y III. Para el trastorno lisosómico de la enfermedad de Gaucher, la TER supone un alto coste económico y no es muy eficaz para los casos que muestran implicación del sistema nervioso central ya que las enzimas recombinantes no atraviesan la barrera hematoencefálica. De este modo, existe un gran número de pacientes para los cuales no existe tratamiento o la efectividad del mismo es muy baja. En este contexto, el desarrollo de compuestos con actividad chaperona farmacológica (como el patentado en esta invención) se postula como una posible estrategia terapéutica para el tratamiento de enfermedades de almacenamiento lisosomal, de particular interés para aquellas manifestaciones clínicas de la enfermedad que involucran al sistema nervioso central, al tener la capacidad de cruzar la barrera hematoencefálica. Por tanto, con la presente invención se aborda la necesidad de identificar moléculas que permitan corregir o mejorar las patologías asociadas a las enfermedades de almacenamiento lisosomal, en particular, a la enfermedad de Gaucher, y que actúen en sinergia con las chaperonas farmacológicas, de manera que formulaciones que contengan ambos componente produzcan un beneficio terapéutico superior, algo que viene a cubrirse con la presente invención.

Aspectos innovadores

La combinación de una chaperona farmacológica y la coenzima Q10 de la presente invención representa una opción mejorada para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher, especialmente para los tipos neuropáticos de la misma. En la composición farmacéutica de la invención, la chaperona farmacológica y la coenzima Q10 pueden combinarse en cualquier proporción relativa. La terapia con chaperona farmacológica propuesta en esta patente conlleva un menor coste de producción, la posibilidad de administración oral y la capacidad de cruzar la barrera hematoencefálica.

Tipos de empresas interesadas

Empresas farmacéuticas. Empresas farmacéuticas interesadas en desarrollar fármacos eficaces para las disfunciones lisosomales. Empresas de biotecnología y biomedicina. Centros de Salud. Asociaciones de pacientes de enfermedades lisosomales. Otros Grupos de investigación relacionados con la Salud, Biomedicina y Biotecnología.

Nivel de desarrollo

Disponible para el cliente

Más información

Titulares: Universidad Pablo de Olavide, CSIC y Universidad de Sevilla. Inventores: José Antonio Sánchez Alcázar, José Manuel García Fernández, Carmen Ortiz Mellet y Mario de la Mata Fernánez.

Equipo de Investigación

Desarrollo y Enfermedades musculares (BIO 336)
https://sanchezalcazarlab.com/