Ensayos in vitro de nuevas terapias enzimáticas sustitutivas eficaces en las enfermedades lisosomales

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

Validación de la capacidad terapeútica de nuevas formulaciones más eficaces en el tratamiento en enfermedades de depósito lisosomal (EDLs), mediante ensayos in vitro con fibroblastos derivados de los pacientes. Las enfermedades lisosomales, clasificadas como raras ya que son infrecuentes, tienen la característica principal de que acumulan compuestos al no ser degradados por los lisosomas alterando el fenotipo, afectando varios órganos con síntomas graves, e incluso provocando muerte prematura. Su tratamiento resulta ser poco eficiente y posee importantes inconvenientes asociados. Los expertos de la UPO trabajan con el objetivo de buscar nuevos tratamientos efectivos que solventen inconvenientes como es la incapacidad de atravesar la barrera hematoencefálica pudiendo actuar sobre las afectaciones del sistema nervioso central.

Necesidad o problema que resuelve

En la actualidad, la terapia enzimática sustitutiva (TES) en las enfermedades lisosomales, consistente en la administración exógena de la enzima deficiente, tiene como inconvenientes el excesivo coste económico que conlleva su producción resultando por tanto muy costosa para los pacientes (el coste anual de un enfermo de Gaucher es de aproximadamente unos 300.000 euros), y en especial, la escasa eficiencia en pacientes con afectación del sistema nervioso central pues las enzimas no pueden atravesar la barrera hematoencefálica. Además se trata de terapias muy dependientes del estado evolutivo de la enfermedad. El grupo de investigación de la UPO es capaz de hacer ensayos “in vitro” de nuevas formulaciones enzimáticas con capacidad terapéutica y que sean válidas para el tratamiento de las manifestaciones cerebrales de estas enfermedades, de forma que detengan el desarrollo del deterioro neurológico. Para ello hacen uso de fibroblastos derivados de los pacientes con enfermedades lisosomales, donde investigan las alteraciones que tienen estas células y las tratan con las nuevas enzimas que revierten estas alteraciones.

Aspectos innovadores

Bajo el cometido de buscar, mediante validación in vitro con fibroblastos, nuevas formulaciones que sean eficaces como tratamiento en las enfermedades lisosomales, y al mismo tiempo que

tengan un menor coste económico, hay que destacar que el responsable de esta Capacidad I+D, el investigador José Antonio Sánchez Alcázar, trabaja en un proyecto en colaboración con la empresa Bionaturis, junto el Grupo de investigación en Nanopartículas de la UPO que dirige la investigadora Ana Paula Zaderenko, y otros equipos externos como el Grupo de investigación en Citología e Histología Normal y Patológica de la Universidad de Sevilla y el Grupo clínico de la Unidad de Dismorfología y la Unidad de Hematología y Hemoterapia. Con este proyecto se proponen desarrollar una nueva estrategia de Terapia Enzimática Sustitutiva en pacientes con enfermedades lisosomales. Para ello contemplan la obtención y síntesis de enzimas de forma más económica; el desarrollo de nanopartículas en la que se va a encapsular la enzima y su biofuncionalización para que atraviese el sistema nervioso central; y la validación de la capacidad terapéutica de estas nanopartículas tanto in vitro como in vivo.

Tipos de empresas interesadas

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

En fase de investigación

Equipo de Investigación

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