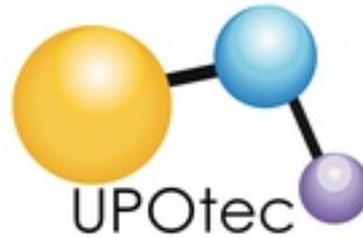




OTRI



## 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](http://www.upo.es/UPOtec)  
Contacta con la OTRI: [otri@upo.es](mailto:otri@upo.es)

### Sector

Salud

### Área Tecnológica

Biotechnología , Biomedicina y Salud Pública

### Descripción

Investigadores del Área de Genética de la Universidad Pablo de Olavide han patentado una composición que comprende una molécula inhibidora capaz de inhibir la expresión de un gen seleccionado de cualquiera de la lista que consiste en SMPD1, ARAP1, CST3, GSN, HDAC5, PACS1, TOM1L2, TSC22D3 y USP20 u homólogos de los mismos, y aumentar los niveles de proteínas SMN1 y/o SMN2 endógenas, o a una mezcla de dos o más de dichas moléculas, 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 6.000 nacimientos. No existe tratamiento efectivo contra dicha enfermedad. 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 tres fármacos distintos (Clomipramine, Desipramine y Amlodipine) genera un incremento de los niveles de SMN en el modelo animal *C. elegans*. Se ha corroborado estos datos en cultivos celulares de fibroblastos procedentes de pacientes de AME, observando que el tratamiento con Clomipramine también genera un incremento de SMN en pacientes. La presente invención consiste pues en una nueva diana farmacológica y tres tratamientos posibles.

### Aspectos innovadores

No existe tratamiento efectivo contra los tres tipos de atrofia muscular espinal, y los actuales están entre los tratamientos más caros del mercado. Los/as investigadores/as responsables de la invención han identificado una diana farmacológica que ha sido corroborada mediante técnicas de RNAi y tres fármacos conocidos.

## Tipos de empresas interesadas

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

## Nivel de desarrollo

Inventión 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)