

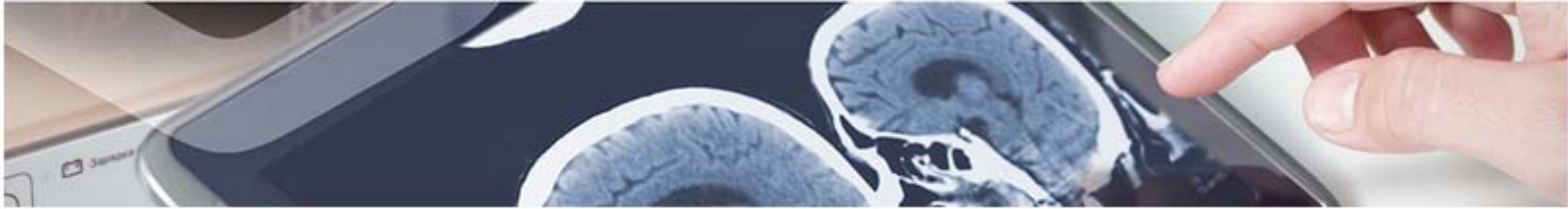


Biotech - Pharma

Terapia génica para el tratamiento de la retinitis pigmentaria

Un grupo de investigación del SSPA en colaboración con investigadores de la USC y del CSIC ha desarrollado un sistema no viral de transfección para el tratamiento de la Retinitis Pigmentaria (RP)

Oficina de
**TRANSFERENCIA
DE TECNOLOGÍA**
Sistema Sanitario Público de Andalucía



Descripción

La Retinitis Pigmentaria (RP) es la distrofia retiniana más frecuente, es una enfermedad hereditaria de la retina caracterizada por una degeneración progresiva de los fotorreceptores resultando una discapacidad visual que puede llegar a ser absoluta.

Hasta ahora se han identificado 57 genes asociados con la enfermedad, algunos de los cuales son genes no específicos de la retina, mutaciones en estos genes son responsables del 12% de los casos de RP Autosómica Dominante (adRP).

Hasta la fecha no existe un tratamiento eficaz que pueda prevenir o revertir la pérdida de la visión. Se han hecho muchos avances tanto en la ralentización de la degeneración de los fotorreceptores como en la mejora de la función de éstos usando factores neuroprotectores, antioxidantes, medicamentos, células madre o progenitores neurales. La terapia génica se ha convertido en los últimos años en una alternativa terapéutica prometedora, en humanos y en modelos animales, la introducción en el ojo de genes funcionales usando vectores virales restauró la visión de forma notable en una forma recesiva de Amaurosis Congénita de Leber, lo que abre las puertas a la posibilidad de restaurar la visión en otras degeneraciones de fotorreceptores.

Un grupo de investigación del Sistema Sanitario Público de Andalucía (SSPA) en colaboración con investigadores de la Universidad de Santiago (USC) y del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) han demostrado mediante ensayos *in vivo* una mejora estadísticamente significativa y un efecto terapéutico en la agudeza y visión espacial, así como en el espesor de la retina, mediante la administración en el espacio subretiniano de un gen causante de la adRP.

Para la administración de dicho gen el grupo de investigación ha desarrollado un sistema no viral de transfección basado en Span que ha demostrado tener una alta capacidad de transfección *in vitro*. A un modelo de ratón de distrofia retiniana asociado a la mutación del gen en cuestión se le administraron mediante inyección subretiniana las nanopartículas con el gen y solo un mes después del tratamiento se mejoró la visión espacial de los ratones, se evitó la degeneración de la retina y aumentó significativamente el espesor de la misma.



Ventajas

El sistema no viral de transfección desarrollado tiene las siguientes ventajas:

- Fácil de manejar y de fabricar, y se puede producir a gran escala.
- Es capaz de administrar genes altamente eficientes sin ser tóxico ni inmunogénico e induce a largo plazo expresión transgénica regulada sin ser mutagénico.
- Tienen una alta capacidad de transfección.



Propiedad Industrial/Intelectual

Esta tecnología está protegida mediante solicitud de patente PCT.



Objetivos

El grupo de investigación busca un acuerdo de licencia de explotación y/o colaboración.



Clasificación

Área: Biotech - Pharma
Tecnología: Terapia Génica
Patología: Oftalmología y optometría