

EDICIÓN GÉNICA PARA EL TRATAMIENTO DEL SARCOMA DE EWING

RESUMEN

La presente invención se relaciona con un nuevo método de tratamiento para el sarcoma de Ewing basado en la inhibición de la proliferación en las células que expresan EWS-FLI1.

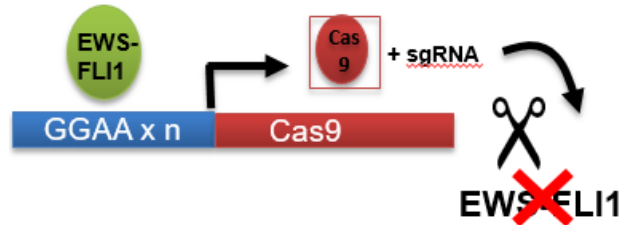
DESCRIPCIÓN

El sarcoma de Ewing es un tumor raro y muy agresivo que afecta a niños y adolescentes. La supervivencia global es de aproximadamente el 70% a los 5 años de edad, aunque este valor varía significativamente en función del estadio del tumor.

Varios estudios han demostrado que la inhibición de la expresión de EWS-FLI1 es capaz de inhibir la proliferación celular, demostrando la dependencia de estos tumores de esta proteína quimérica oncogénica.

Por lo tanto, un fármaco o procedimiento dirigido a inhibir la actividad de la proteína quimérica EWS-FLI1 o capaz de reducir total o parcialmente la expresión de EWS-FLI1 podría ser útil en el tratamiento de estos tumores.

En esta tecnología describimos un procedimiento y un kit para su aplicación, que permite expresar la nucleasa exclusivamente en células de sarcoma de Ewing que expresan EWS-FLI1. El laboratorio ha demostrado mediante ensayos de infección y western-blot que la nucleasa Cas9 colocada junto una secuencia promotora específica se expresa exclusivamente en las células de sarcoma de Ewing y no en otros tipos celulares ensayados, aunque expresen altos niveles de FLI1 nativo. Estos experimentos demuestran la alta especificidad y la inhibición de la proliferación de las células de sarcoma de Ewing que expresan EWS-FLI1.



VENTAJAS COMPETITIVAS

- Fácil de preparar y obtener.
- Solicitud de patente prioritaria (Abril 2022).

ASPECTOS INNOVADORES

- Inhibición de la proliferación
- Mayor especificidad.

PALABRAS CLAVE

- Sarcoma de Ewing
- EWS-FLI1
- Cas9

SECTOR PRINCIPAL DE ACTIVIDAD

Sarcoma de Ewing

GRADO DE DESARROLLO

Fase preclínica.

COLABORACIÓN DESEADA

Se buscan licenciatarios de la solicitud de patente o interesados en acuerdos de licencia y colaboración para desarrollo de la tecnología.

INFORMACIÓN DE CONTACTO

	OTRI	Grupo de Investigación
Persona de contacto:	Francisco Javier García Navarro	Francisco Javier Alonso García de la Rosa
Compañía/Centro:	Oficina de transferencia de resultados de investigación (OTRI)	Instituto de Investigación de Enfermedades Raras(IIER)
Teléfono:	INSTITUTO DE SALUD CARLOS III +34 91 822 25 08	INSTITUTO DE SALUD CARLOS III +34 91 822 32 17
e-mail:	otri@isciii.es	fjalonso@isciii.es