

**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.

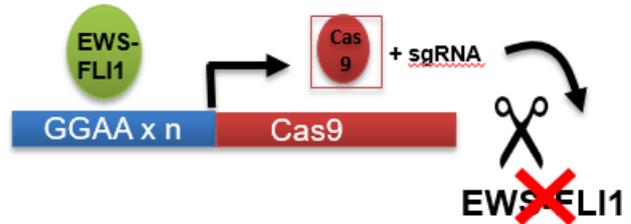
**DESCRIPCIÓN**

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 licenciarios de la solicitud de patente o interesados en acuerdos de licencia y colaboración para desarrollo de la tecnología.

**INFORMACIÓN DE CONTACTO**

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