

# HALOPERIDOL PARA EL TRATAMIENTO DE LA ATROFIA MUSCULAR ESPINAL

## DESCRIPCIÓN DE LA TECNOLOGÍA

La **atrofia muscular espinal (AME)** es una enfermedad neurodegenerativa rara causada por la falta de la proteína supervivencia de la neurona motora (SMN). La prevalencia de la AME es de 4/100.000 personas, y sus repercusiones clínicas van desde disfunciones motoras graves y mortalidad infantil hasta defectos menores con una esperanza de vida normal.

A pesar de la existencia de tres terapias aprobadas (Zolgensma™, Spinraza™ y Evrysdi™), todavía existe la necesidad de alternativas terapéuticas para superar las desventajas y limitaciones de dichos fármacos. Por un lado, sus altos costes (más de 200.000 €/paciente/año) pueden dificultar el acceso a estos y suponer una gran carga al sistema sanitario nacional. Por otro lado, Zolgensma™ está dirigido únicamente a los niños más pequeños y de diagnóstico rápido. Spinraza™ requiere una administración intratecal muy invasiva, que no siempre es posible. Evrysdi™, aunque sea la única de administración oral (polvo reconstituido), no permite restaurar completamente los niveles de SMN al nivel de un individuo sano, no se ha confirmado el perfil de seguridad a largo plazo, y se ha visto que hay pacientes que no solo no mejoran, sino que empeoran.

Investigadores de INCLIVA, Universidad de Valencia, INSERM, Universidad de Evry Val d'Essonne y Universidad de Turín han descubierto que, sorprendentemente, el haloperidol (un conocido fármaco antipsicótico) produce un aumento de los niveles de proteína SMN funcional de longitud completa, útil en el tratamiento de la atrofia muscular espinal. Además, están desarrollando un parche transdérmico para mejorar su método de administración y superar las limitaciones de los fármacos existentes.

## COLABORACIÓN BUSCADA

Empresas interesadas en firmar un acuerdo de licencia de esta tecnología o inversión para generar una spin-off.

## VENTAJAS

- ✓ Excelente biodistribución a través de los tejidos animales.
- ✓ Difusión a través de la barrera hematoencefálica.
- ✓ Opción de tratamiento para pacientes adultos.
- ✓ Reducidos plazos de desarrollo del fármaco candidato.
- ✓ Mayor tasa de éxito en el proceso regulatorio.
- ✓ Los medicamentos reutilizados pueden probarse en humanos a dosis seguras para evaluar su eficacia.
- ✓ Coste sustancialmente inferior a los tratamientos alternativos.
- ✓ Posibilidad de nuevas vías de administración del tratamiento.

## ESTADO DEL DESARROLLO

Se está validando el desarrollo y la viabilidad del parche transdérmico. Además, se está determinando la mínima dosis terapéutica.

## DERECHOS DE PROPIEDAD INTELECTUAL

Patente EP4197536A1 solicitada el 20 de diciembre de 2021 y entrada en fases en Europa y USA.

Titularidad compartida con Universitat de València, INSERM, Université d'Evry Val d'Essonne, Università Degli Studi Di Torino.

## SECTORES DE APLICACIÓN

Salud / Farmacéutico / Tratamiento de pacientes con atrofia muscular espinal (incluidos adultos y pacientes con síntomas leves).



## CONTACTO

Unidad de Innovación, INCLIVA

+34 961 628 941 / 961 628 942 [innovacion@incliva.es](mailto:innovacion@incliva.es)