

# MUSASHI 2 (MSI2) COMO DIANA TERAPÉUTICA PARA EL TRATAMIENTO DE LA DISTROFIA MIOTÓNICA TIPO 1 Y 2

## DESCRIPCIÓN DE LA TECNOLOGÍA

La distrofia miotónica (DM) es una enfermedad rara muscular hereditaria caracterizada por debilidad muscular (miopatía), rigidez muscular y problemas para relajar los músculos (miotonía), y pérdida de masa muscular progresiva (atrofia). La distrofia miotónica se clasifica en dos tipos, el tipo 1 (DM1) y el tipo 2 (DM2). Sus signos y síntomas son similares, aunque el tipo 2 suele ser más leve que el tipo 1, ya que está causada por mutaciones en genes distintos. La DM1 es un trastorno multisistémico que afecta principalmente al músculo esquelético y liso, al sistema nervioso y al corazón, y puede afectar desde los recién nacidos hasta las personas mayores.

Investigadores de INCLIVA y la Universitat de València han identificado una nueva diana terapéutica para el tratamiento de la distrofia miotónica de tipo 1 y 2 (Fig.1). Esta diana está basada en los mecanismos moleculares de la proteína Musashi 2 (MSI2), ya que sus niveles influyen en las células DM. Por tanto, han demostrado que el uso de oligonucleótidos antisentido tipo gapmers que promueven la degradación de transcritos de MSI2 se traduce en el aumento de los niveles intracelulares de miR-7. Esta modulación desencadena la inhibición de la autofagia (sobreactivada) y representa una excelente alternativa para el tratamiento de la distrofia miotónica, ya que actualmente no existe ningún tratamiento específico.

## VENTAJAS

- ✓ Posibilidad de estudios con amplia variedad de fármacos por la detección de la diana terapéutica.
- ✓ Posibilidad de desarrollar un tratamiento específico para la distrofia miotónica de tipo 1.
- ✓ Diana terapéutica en diferentes tipos de tumores con mal pronóstico (glioblastoma, hepatocarcinoma, linfoma de células de manto).

## CONTACTO

Unidad de Innovación, INCLIVA

📞 +34 961 628 941 / 961 628 942

✉ innovacion@incliva.es

## ESTADO DEL DESARROLLO

Se han realizado estudios *in vitro* en cultivos celulares y estudios *in vivo* en modelo de ratón.

## SECTORES DE APLICACIÓN

Empresas farmacéuticas con aplicaciones clínicas para mejorar patologías como la distrofia miotónica tipo 1.

## DERECHOS DE PROPIEDAD INTELECTUAL

Patente solicitada en Europa 22707100.8 el 18 de septiembre de 2023 y en Estados Unidos 18/277,744 el 17 de agosto de 2023.

## COLABORACIÓN BUSCADA

Empresas biotecnológicas o farmacéuticas interesadas en firmar un acuerdo de licencia o en codesarrollar esta tecnología.

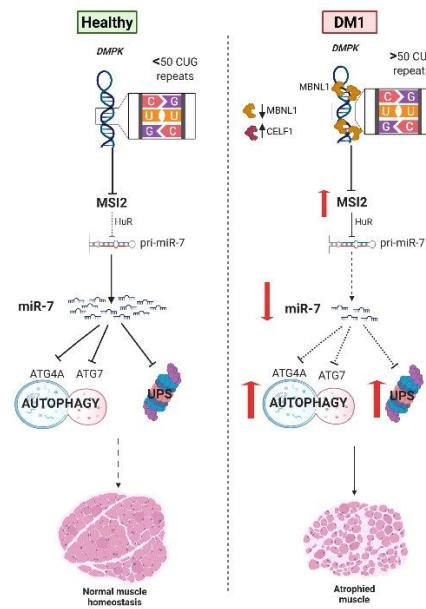


Fig. 1. Mecanismos moleculares de MSI2 en células sanas y enfermas.