Terapias basadas en ARN

UNA SOLUCIÓN PARA LA DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE: NUEVAS TERAPIAS BASADAS EN ARN

La distrofia muscular de Duchenne (DMD) es una enfermedad muscular grave de tipo genético. Se trata de la distrofia muscular más frecuente en la infancia y su causa es la ausencia de la distrofina, proteína fundamental para el mantenimiento de la fibra muscular. Se caracteriza por debilidad muscular que se va agravando con la edad, siendo la esperanza de vida de los niños que la padecen de unos veinte años. En la actualidad, no existe cura, pero sí terapias paliativas que ayudan a mejorar la calidad de vida de los pacientes.

AFECTADOS CON DMD

Afectados

A. Músculo normal - B. Músculo con DMD

Músculo normal Músculo con DMD

En la DMD, uno de los problemas que nos encontramos es que la capacidad de regeneración muscular del cuerpo se ve muy afectada. La pérdida de reparación muscular se debe a una disminución del potencial regenerativo de las células madre musculares (células satélites) en esta enfermedad. Por lo tanto, una nueva estrategia para tratar la DMD podría basarse en restaurar la función de estas células satélite

El equipo de la Dra. Amelia Aránega del Departamento de Biología Experimental de la Universidad de Jaén trabaja en el desarrollo de herramientas terapéuticas basadas en ARN que modifican el comportamiento de las células madre del musculo, facilitan su regeneración, y se muestran eficaces en el tratamiento de enfermedades raras neuromusculares como la Distrofia Muscular de Duchenne. El tratamiento con moléculas de ARN podría incrementar la masa muscular, haciendo así al músculo dañado más capaz de responder a otro tipo de terapias y mejorar el estado del paciente.

Las donaciones que se reciban en este proyecto irán destinadas a contratar a un becario que trabajará específicamente en el desarrollo de las terapias basadas en ARN para el tratamiento de la enfermedad de Duchenne.

Imagen 1. Regeneración Muscular Defectuosa - Músculo distrófico

Imagen 2. Incremento de Regeneración Muscular - Músculos distróficos tratados con ARN

Terapias basadas en ARN

Responsable: Amelia Aránega Jiménez - aaranega [arroba] ujaen [punto] es

Grupo de Investigación CTS446

- Donar