

Trattamento di malattie degenerative neuromuscolari

KEYWORDS

- ❑ MALATTIE NEURO-DEGENERATIVE
- ❑ MALATTIE DA AGGREGAZIONE
- ❑ SLA
- ❑ METILAZIONE RNA
- ❑ INIBITORI ENZIMATICI

AREA

- ❑ BIOMEDICALE

CONTATTI

➤ TELEFONI
+39.06.49910888
+39.06.49910855

➤ EMAIL
u_brevetti@uniroma1.it

Priorità

n. IT102023000022302 del 24.10.2023

Tipologia Deposito

Brevetto per invenzione.

Co-Titolarietà

Sapienza Università di Roma 75%,
Fondazione Istituto Italiano di Tecnologia 25%.

Inventori

Gaia Di Timoteo, Irene Bozzoni, Andrea Giuliani, Adriano Setti.

Settore industriale & commerciale di riferimento

L'invenzione può trovare applicazione sia in campo medico come nel caso del trattamento delle malattie neuro-degenerative o da aggregazione, sia in campo farmaceutico come sviluppo di farmaci a base di inibitori di enzimi che modificano l'RNA.

Stato di sviluppo

Fase preclinica: esperimenti condotti su modelli cellulari di Sclerosi Laterale Amiotrofica (TRL4)

Disponibile

Cessione, Licenza, Ricerca, Sviluppo, Sperimentazione, Collaborazione.

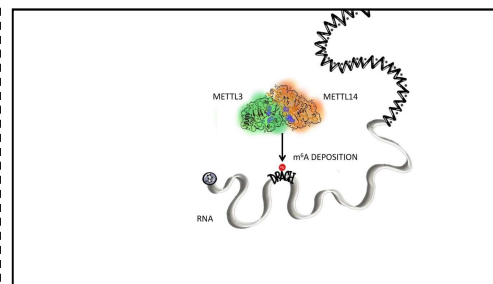


Fig.1 L'inibizione di METTL3-METTL14 ripristina la fisiologica formazione di aggregati citoplasmatici

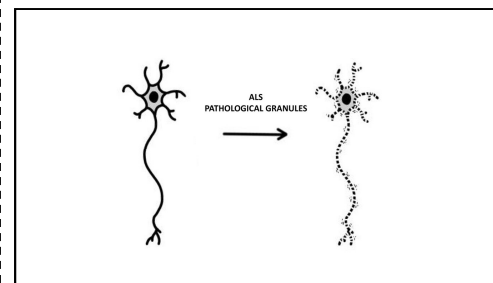


Fig.2 L'inibizione di METTL3-METTL14 ripristina la fisiologica formazione di aggregati citoplasmatici

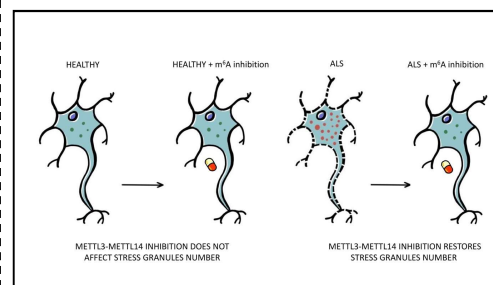


Fig.3 L'inibizione di METTL3-METTL14 ripristina la fisiologica formazione di aggregati citoplasmatici

Abstract

La presente invenzione riguarda il trattamento di malattie neuromuscolari degenerative, in particolare il trattamento dei disturbi caratterizzati dalla formazione e dalla persistenza nelle cellule di aggregati proteici, ad esempio granuli di stress aberranti.

Più specificamente, essa riguarda il trattamento della sclerosi laterale amiotrofica attraverso l'uso di inibitori del complesso METTL3-METTL14.

Inoltre, oggetto della presente invenzione è una composizione che comprende un inibitore del complesso METTL3-METTL14 per il trattamento delle suddette patologie degenerative



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

ASuRTT _ UFFICIO VALORIZZAZIONE E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO
SETTORE BREVETTI E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO

➤ <http://uniroma1.it/ricerca/brevetti>

Trattamento di malattie degenerative neuromuscolari

Descrizione Tecnica

Il trattamento di malattie degenerative neuromuscolari, in particolare quelle predisponenti la formazione di aggregati citoplasmatici patogenetici rappresenta una sfida cruciale nel campo medico. La presenza di questi aggregati è favorita dall'attività del complesso proteico METTL3-METTL14.

L'oggetto dell'invenzione prevede l'uso di inibitori del complesso METTL3-METTL14 determinando così, una modificazione dell'RNA, chiamata metilazione, a livello della posizione 6 dell'adenosina (m6A). I risultati ottenuti dagli inventori mettono in evidenza che, in presenza di mutazioni associate a malattie degenerative neuromuscolari come, ad esempio la Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA). Un'inibizione dell'attività del complesso proteico METTL3-METTL14 determina una diminuzione del numero degli aggregati citoplasmatici patogenetici migliorando l'outcome della malattia.

Tecnologia & Vantaggi

Tra le malattie neuromuscolari progressive la SLA, dovuta ad una graduale degenerazione dei motoneuroni con conseguente atrofia dei muscoli innervati è tra quelle con prognosi più infausta. Al momento non esiste una terapia farmacologica risolutiva della malattia. La sua eziologia comporta la formazione di granuli da stress o aggregati dovuti a proteine mutate, che portano a una transizione di fase liquido-solido e all'aggregazione proteica.

La unique selling proposition (USP) dell'invenzione è rappresentata dalla possibilità dell'utilizzo di piccole molecole di sintesi dal basso costo di produzione e dalla facile via di somministrazione che inibiscono il complesso METTL3-METTL14

Applicazioni

Gli inibitori del complesso METTL3-METTL14 hanno un elevato potenziale di sviluppo e applicazione come farmaci per il trattamento delle patologie degenerative neuromuscolari, caratterizzate dall'accumulo di aggregati proteici patologici o granuli da stress aberranti, come la SLA. In particolare, queste molecole hanno la capacità di rallentare processi neurodegenerativi e mantenere la formazione di aggregati citoplasmatici a livelli fisiologici. Gli inibitori del complesso METTL3-METTL14 sono già stati impiegati in studi clinici per il trattamento di altre malattie, questi si qualificano sia come promettenti agenti terapeutici per il trattamento di patologie degenerative neuromuscolari sia se, utilizzati da soli che, in sinergia con altri farmaci. Inoltre, in futuro, potrebbero rappresentare il punto di partenza per lo sviluppo di nuovi approcci terapeutici.

CONTATTI

➤ TELEFONI
+39.06.49910888
+39.06.49910855

➤ EMAIL
u_brevetti@uniroma1.it

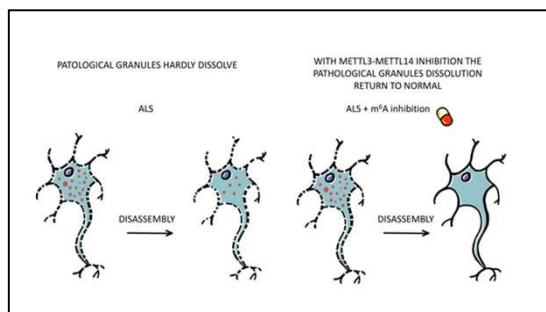


Fig.4 L'inibizione di METTL3 ristabilisce il numero di granuli a livelli fisiologici.

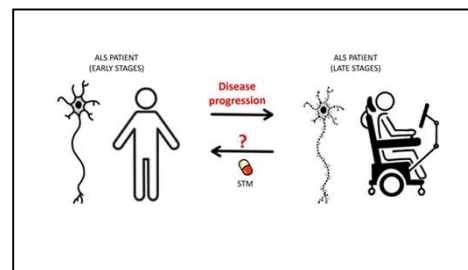


Fig.5 L'inibizione dell'attività del complesso METTL3-METTL14 potrebbe rappresentare un nuovo approccio terapeutico per il trattamento delle malattie degenerative neuromuscolari.

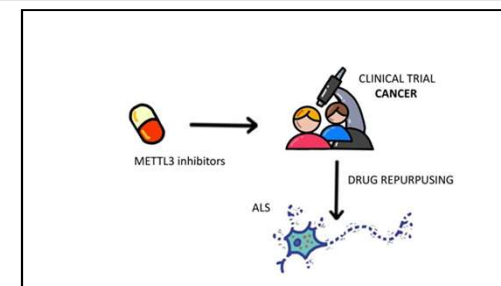


Fig.6 Gli inibitori del complesso METTL3-METTL14 vengono già utilizzati per il trattamento di altre patologie quali quelle tumorali



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

ASuRTT _ UFFICIO VALORIZZAZIONE E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO
SETTORE BREVETTI E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO

➤ <http://uniroma1.it/ricerca/brevetti>