

INIBITORE DEL RECETTORE GFRAL PER USO NEL TRATTAMENTO DELLA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA

KEYWORDS

- ❑ SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA
- ❑ CACHESSIA
- ❑ RNA A FORCINA CORTA
- ❑ GDF15
- ❑ GFRAL

AREA

- ❑ FARMACEUTICA

CONTATTI

➤ TELEFONI
+39.06.49910888
+39.06.49910855

➤ EMAIL
u_brevetti@uniroma1.it

Priorità

n. 102023000006387 del 31.03.2023

Tipologia Deposito

Brevetto per invenzione.

Titolarità

Sapienza Università di Roma 100%

Inventori

Stefano Garofalo, Cristina Limatola, Germana Cocozza

Settore industriale & commerciale di riferimento

Farmaceutico. Industrie farmaceutiche coinvolte nello sviluppo e commercializzazione di farmaci ad uso ospedaliero.

Stato di sviluppo

TRL 4 – tecnologia validata in laboratorio.

Disponibile

Cessione, Licenza esclusiva o non esclusiva, Ricerca, sviluppo, sperimentazione, Collaborazione e Avviamento impresa

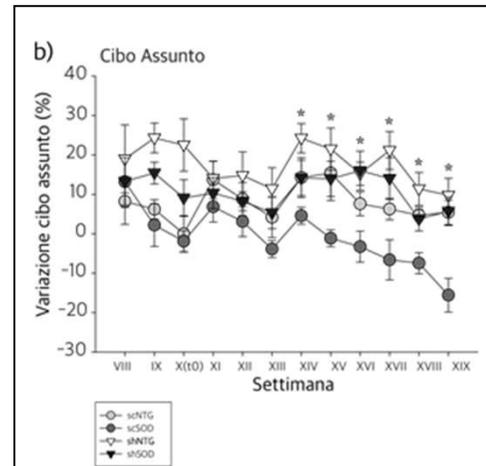
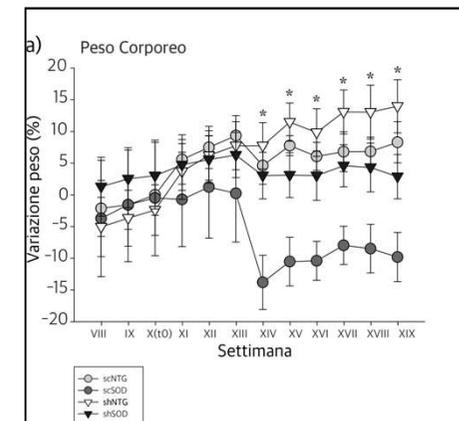


Fig. 1 Grafico rappresentativo del cibo assunto in topi hSOD1^{G93A} e topi non transgenici a cui è stato iniettato GFRAL shRNA silenziante AAV (gruppo sh) o vettore vuoto (gruppo sc) a 10 settimane di età - T0. È stato riportato un aumento significativo dell'assunzione di cibo in soggetti che hanno ricevuto il silenziamento GFRAL (gruppo sh), dalla settimana XIV alla settimana XIX. Trattamento SH VS SC *p<0,05.

Fig. 2 Grafico rappresentativo del peso corporeo in topi hSOD1^{G93A} e topi non transgenici a cui è stato iniettato GFRAL shRNA silenziante AAV (gruppo sh) o vettore vuoto (gruppo sc) a 10 settimane di età - T0. È stato riportato un aumento significativo del peso corporeo in soggetti che hanno ricevuto il silenziamento GFRAL (gruppo sh), dalla settimana XIV alla settimana XIX. Trattamento SH VS SC *p<0,05.

Abstract

Nella sclerosi laterale amiotrofica (SLA) la perdita di peso è un importante caratteristica clinica al momento della diagnosi. L'invenzione consiste nel dimostrare il coinvolgimento del Growth differentiation factor15 (GDF15) nella disregolazione metabolita che avviene durante la progressione della SLA. È già noto che il GDF15, agendo sul suo recettore GFRAL, causa anoressia e perdita di peso nel cancro e in altre patologie. Si propone di somministrare molecole artificiali short hairpin RNA in grado di silenziare il gene GFRAL, per contrastare la perdita di peso andando ad agire sul signaling di GDF15, migliorando così la sintomatologia e la qualità di vita dei pazienti SLA.



ARTEM _UFFICIO VALORIZZAZIONE E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO
SETTORE BREVETTI E LICENSING

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



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

INIBITORE DEL RECETTORE GFRAL PER USO NEL TRATTAMENTO DELLA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA

Descrizione Tecnica

L'invenzione riguarda un inibitore del recettore GFRAL per l'uso nel trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA), in particolare per il trattamento della cachessia e/o per ridurre la perdita di peso in pazienti SLA. Detto inibitore è un polinucleotide short hairpin RNA (shRNA). Per inibitore si intende un agente in grado di diminuire o bloccare l'espressione del gene che codifica per il recettore GFRAL. Detto polinucleotide è in grado di legarsi, almeno parzialmente, al gene che codifica per GFRAL e inibire la sua espressione, oppure detto polinucleotide codifica per una molecola in grado di legarsi al gene che codifica per GFRAL e inibire la sua espressione.

Tecnologia & Vantaggi

Con una prevalenza stimata del 56%–62% nei pazienti con SLA, la perdita di peso è definita come un importante e indipendente fattore prognostico. Inoltre, diversi studi hanno riportato che il decorso della malattia è direttamente proporzionale alla perdita di peso o a un indice di massa corporea (BMI) basso al momento della diagnosi.

Implementando programmi dietetici specifici, comprese varie diete ipercaloriche a base di grassi o zuccheri, i pazienti con SLA hanno mostrato una progressione della malattia più lenta e una migliore qualità della vita. Questa osservazione ha focalizzato l'attenzione sull'influenza della condizione metabolica del paziente SLA sulla progressione della malattia. L'inibitore polinucleotide del recettore della citochina GDF15, il GFRAL, mira a migliorare la perdita di peso e la cachessia nei pazienti SLA.

Applicazioni

1. Un inibitore del recettore GFRAL per uso nel trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA).
2. Un inibitore del recettore GFRAL per uso nel trattamento della cachessia associata a SLA e/o per bloccare e/o ridurre la perdita di peso e/o per aumentare l'appetito in un soggetto affetto da SLA.
3. L'inibitore per l'uso secondo la rivendicazione 1 o 2 in cui detto inibitore blocca, impedisce e/o diminuisce l'interazione fra GFRAL e GDF15, oppure blocca, silenzia e/o diminuisce l'espressione del gene codificante per il recettore GFRAL.
4. L'inibitore per l'uso secondo una qualunque delle applicazioni precedenti in cui la SLA è una forma sporadica (sSLA) o una forma genetica familiare (fSLA).

CONTATTI

➤ TELEFONI
+39.06.49910888
+39.06.49910855

➤ EMAIL
u_brevetti@uniroma1.it



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

ARTEM _ UFFICIO VALORIZZAZIONE E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO
SETTORE BREVETTI E LICENSING

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