TRATAMIENTO DE LA LESIÓN HEPÁTICA CRÓNICA MEDIANTE UN ARNm TERAPÉUTICO

CATEGORÍA:
Salud

PROTECCIÓN:
Solicitud prioritaria de patente europea presentada (febrero de 2026)

TÍTULO DE LA TECNOLOGÍA:
Tratamiento de la lesión hepática crónica mediante un ARNm terapéutico

1. NECESIDAD DEL MERCADO

La lesión hepática crónica, incluida la cirrosis hepática, se caracteriza por inflamación persistente, respuestas de células T desreguladas, fibrogénesis progresiva y pérdida de la función hepática. El manejo clínico actual aborda principalmente las etiologías subyacentes, mitiga complicaciones o culmina en trasplante hepático, y las opciones farmacológicas que restauran la tolerancia inmunitaria, reducen la muerte hepatocelular o revierten la fibrosis pueden ser limitadas y presentar problemas de seguridad. Existe, por tanto, la necesidad de nuevas terapias seguras y eficaces que modulen selectivamente las vías inmunitarias patológicas en el hígado, atenúen la inflamación y la fibrosis, y puedan administrarse con selectividad hepática para maximizar la eficacia y minimizar la toxicidad sistémica.

2. SOLUCIÓN PROPUESTA

La presente invención describe un ARNm que codifica un receptor celular que puede utilizarse en el tratamiento de la lesión hepática crónica, como la cirrosis hepática. Para optimizar el efecto terapéutico, la invención incluye la formulación de varias nanopartículas lipídicas (LNP) cargadas con dicho ARNm y funcionalizadas con un anticuerpo dirigido específicamente a células endoteliales, con el fin de restaurar la expresión del ARNm terapéutico en las células diana correctas del huésped. Se ha descrito que el ARNm terapéutico propuesto desempeña un papel en la limitación de las respuestas imnunitarias de las células T en el hígado. La interacción de este receptor con su ligando, expresado en células T activadas, inhibe la activación, proliferación y funciones efectoras de las células T. En modelos experimentales de cirrosis, la expresión de este gen en las células presentadoras de antígeno hepáticas se reduce y esta disminución se correlaciona con la inducción de una respuesta inmunitaria adaptativa Th17.

ASPECTOS INNOVADORES

- **Eficacia:** en cirrosis experimental, esta terapia restaura la expresión hepática del gen terapéutico y reviertete positivamente en la respuesta inflamatoria hepática, la función hepática medida por perfil sérico, la fibrosis hepática y la inflamación cerebral.
- **Administración dirigida y controlada:** la conjugación del ARNm terapéutico con anticuerpos específicos incrementa la especificidad y la administración selectiva del ARNm contenida en las LNP al endotelio corporal, principalmente a las células del sinusoide hepático.
- **Protección del ARNm:** la encapsulación del ARNm terapéutico en nanopartículas lipídicas evita la degradación enzimática por proteinas del medio extracelular.
- **Biocompatibilidad:** el uso de lípidos similares a los presentes en las membranas plasmáticas celulares garantiza baja inmunogenicidad y citotoxicidad, tal como se confirmó en experimentos in vitro e in vivo.
- **Producción:** la síntesis controlada del sistema es escalable, una característica deseable para su comercialización.
- **Aprobación regulatoria:** esta tecnología sigue la misma lógica que las vacunas cargadas con ARNm-LNP frente al SARS-CoV-2.

PROPIEDAD INTELECTUAL

Solicitud prioritaria de patente europea presentada (febrero de 2026)

COLABORACIÓN PROPUESTA

Se busca un socio interesado en una licencia y/o un acuerdo de colaboración para desarrollar y explotar este activo.

ESTADO DE DESARROLLO

TRL estimado: 4
Validación preclínica en modelos de ratón

CONTACTO

Área de Innovación ISABIAL
Avda. Pintor Baeza, 12.
03010 Alicante

innovacion@isabial.es

Tel. +34 965 913 926