

Oferta tecnológica IP-045

Nuevo compuesto natural para el tratamiento de la talasemia y la anemia sideroblástica

Se ha desarrollado un nuevo enfoque terapéutico basado en el sulforafano, un compuesto natural derivado de vegetales como el brócoli, para inhibir el inflamasoma NLRP1, un activador clave de la inflamación y la piroptosis. Al bloquear esta vía, el sulforafano restaura la eritropoyesis en células obtenidas de pacientes. Esta tecnología muestra un gran potencial para la prevención y el tratamiento de la talasemia y la anemia sideroblástica.

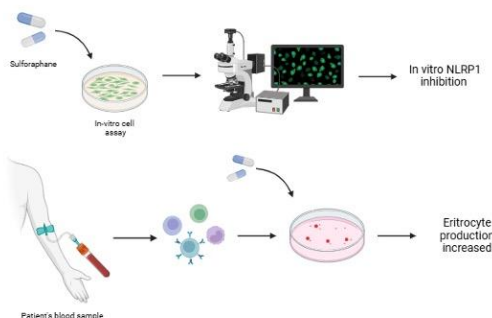


Figura. Resumen del protocolo experimental

Estado de desarrollo

TRL-3 Prueba de concepto

Propiedad industrial

Solicitud de patente Española

Fecha prioridad: 28/11/2024

Colaboración propuesta

Licencia y/o codesarrollo

Contacto

Unidad de Apoyo a la Innovación IMIB

innovacion@imib.es



La necesidad del mercado

Trastornos como la talasemia y la anemia sideroblástica se deben a alteraciones en la eritropoyesis, el proceso responsable de la producción de glóbulos rojos, lo que conduce a anemia crónica y un transporte de oxígeno deficiente. En estas enfermedades, la disregulación del metabolismo del hierro o de la síntesis de globina provoca una eritropoyesis ineficaz y la acumulación de precursores eritroides anormales. Los tratamientos actuales —como las transfusiones, la quelación, el trasplante de médula ósea y la terapia génica— suelen ser invasivos, costosos y de difícil acceso. A pesar de los avances recientes, siguen siendo enfermedades raras con opciones terapéuticas limitadas. Existe una clara necesidad de tratamientos más seguros, rentables y que resulten más cómodos y menos invasivos para los pacientes.



La solución del IMIB

La tecnología propuesta se basa en el sulforafano, un compuesto natural que inhibe el inflamasoma NLRP1, un complejo proteico clave implicado en la activación de la inflamación y la piroptosis. En estudios *ex vivo* con células primarias de pacientes con talasemia y anemia sideroblástica, el sulforafano logró restaurar la eritropoyesis y mejorar la producción de glóbulos rojos. Estos resultados respaldan su potencial como agente terapéutico para el tratamiento y la prevención de estos trastornos hematológicos.

Ventajas competitivas

- Inhibición del inflamasoma NLRP1, que ofrece una mayor eficacia en la modulación de la inflamación y la restauración de la eritropoyesis en comparación con las terapias actuales.
- Menor necesidad de transfusiones de sangre y quelación de hierro, lo que reduce los efectos secundarios y mejora la calidad de vida del paciente.
- Compuesto natural, ya aprobado por la FDA y la EMA para otras indicaciones, con potencial de administración por distintas vías, lo que facilita su formulación y uso clínico.
- Alternativa terapéutica más rentable para enfermedades raras con opciones de tratamiento actualmente limitadas.