

Desarrollo de una estrategia terapéutica para Osteogénesis Imperfecta basada en vesículas extracelulares del microambiente

INVESTIGADOR/A PRINCIPAL	Clara Isabel Rodríguez López
CENTRO	Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces-Bizkaia,
<p>RESUMEN. La Osteogénesis Imperfecta (OI), también conocida como la enfermedad de los "huesos de cristal", es una enfermedad genética rara caracterizada por la extrema susceptibilidad de los pacientes pediátricos afectados a sufrir fracturas ocasionadas con traumas mínimos. Esto afecta seriamente a su calidad de vida, ocasionándoles deformidades esqueléticas graves y la muerte prematura en los casos más severos. La etiología de la OI está asociada a la proteína colágeno tipo I. En la actualidad no existe un tratamiento curativo para la OI.</p> <p>El equipo investigador del presente proyecto ha llevado a cabo previamente un ensayo clínico de terapia celular en fase I (código: TERCELOI) que demuestra la seguridad y el potencial de cinco infusiones repetidas de células madre mesenquimales histocompatibles de donantes sanos, en dos pacientes pediátricos de OI. Este tratamiento resultó en una disminución del número de fracturas, así como en una mejoría en parámetros óseos y en la calidad de vida de estos pacientes. El estudio del mecanismo de acción reveló la existencia de una respuesta paracrina pro-osteogénica funcional en estos pacientes, como consecuencia de la terapia celular.</p> <p>Basándose en los resultados clínicos y moleculares obtenidos con TERCELOI, con el presente proyecto se han podido sentar las bases para el desarrollo de una terapia más eficaz que origine un incremento significativo en la calidad de vida de los pacientes de OI basada en vesículas extracelulares derivadas de células madre humanas.</p>	
<p>RESULTADOS OBTENIDOS.</p> <p>En el presente proyecto se ha observado que las vesículas extracelulares obtenidas a partir de células madre mesenquimales en un ambiente de la enfermedad son capaces de mejorar la microarquitectura ósea de un modelo de ratón de osteogénesis imperfecta. De hecho, se ha observado un aumento en el volumen óseo y en el grosor trabecular en los animales tratados con dichas vesículas destacando su potencial para el desarrollo de una terapia eficaz para pacientes con Osteogénesis Imperfecta.</p>	
<p>Publicaciones:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Educating EVs to Improve Bone Regeneration: Getting Closer to the Clinic. <i>Infante A, Alcorta-Sevillano N, Macías I and Rodríguez CI. Int J Mol Sci.</i> 2022 Feb 7;23(3):1865. doi: 10.3390/ijms23031865. • Murine Animal Models in Osteogenesis Imperfecta: The Quest for Improving the Quality of Life. <i>Alcorta-Sevillano N, Infante A, Macías I, Rodríguez CI. Int J Mol Sci.</i> 2022 Dec 22;24(1):184. doi: 10.3390/ijms24010184. 	
<p>ENTIDAD DE PACIENTES QUE APOYA EL PROYECTO</p>	
	
Fundación AHUCE	