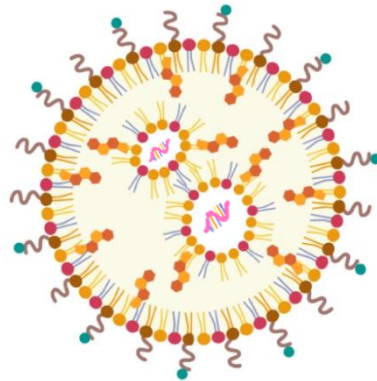


TERAPIA BASADA EN NANOTRANSPORTADORES DE RNA PARA EL TRATAMIENTO DEL CANCER - NanoRC -



1. OBJETIVO DEL PROYECTO

La finalidad de este proyecto es desarrollar una nueva estrategia para el **tratamiento personalizado del cáncer** basada en el desarrollo de **nanopartículas de ARN**.

Necesidad clínica

Mieloma múltiple 

- Incurable
- Supone el 10% de las neoplasias malignas hematológicas
- Esperanza de vida: 7 años

Solución + Innovación

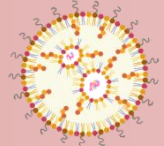


Tecnología ARN



- Basada en siARN: suprime expresión de un gen (tumoral) determinado
- Identifica nuevas dianas terapéuticas
- Específica para cada paciente

Nanopartículas lipídicas (LNP)



- Nano-transportadores
- Protegen ARN frente a la degradación
- Dirigen ARN hacia células tumorales incrementando el efecto terapéutico

Medicina personalizada

2. ESTRATEGIA CIENTÍFICA – Fundamento científico

Paciente con mieloma múltiple



Célula sana

Célula tumoral



Medicina personalizada



La medicina personalizada está basada en el perfil genético de cada paciente y adapta el tratamiento a sus necesidades

Secuenciación genómica y tecnología ARN:

1. Identificación de genes necesarios del crecimiento tumoral.
2. Síntesis de siARN contra genes tumorales.

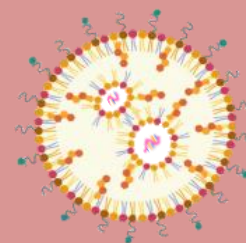


Caracterización del tumor:

1. Identificación de marcadores tumorales.
2. Síntesis de anticuerpos específicos contra marcadores tumorales.

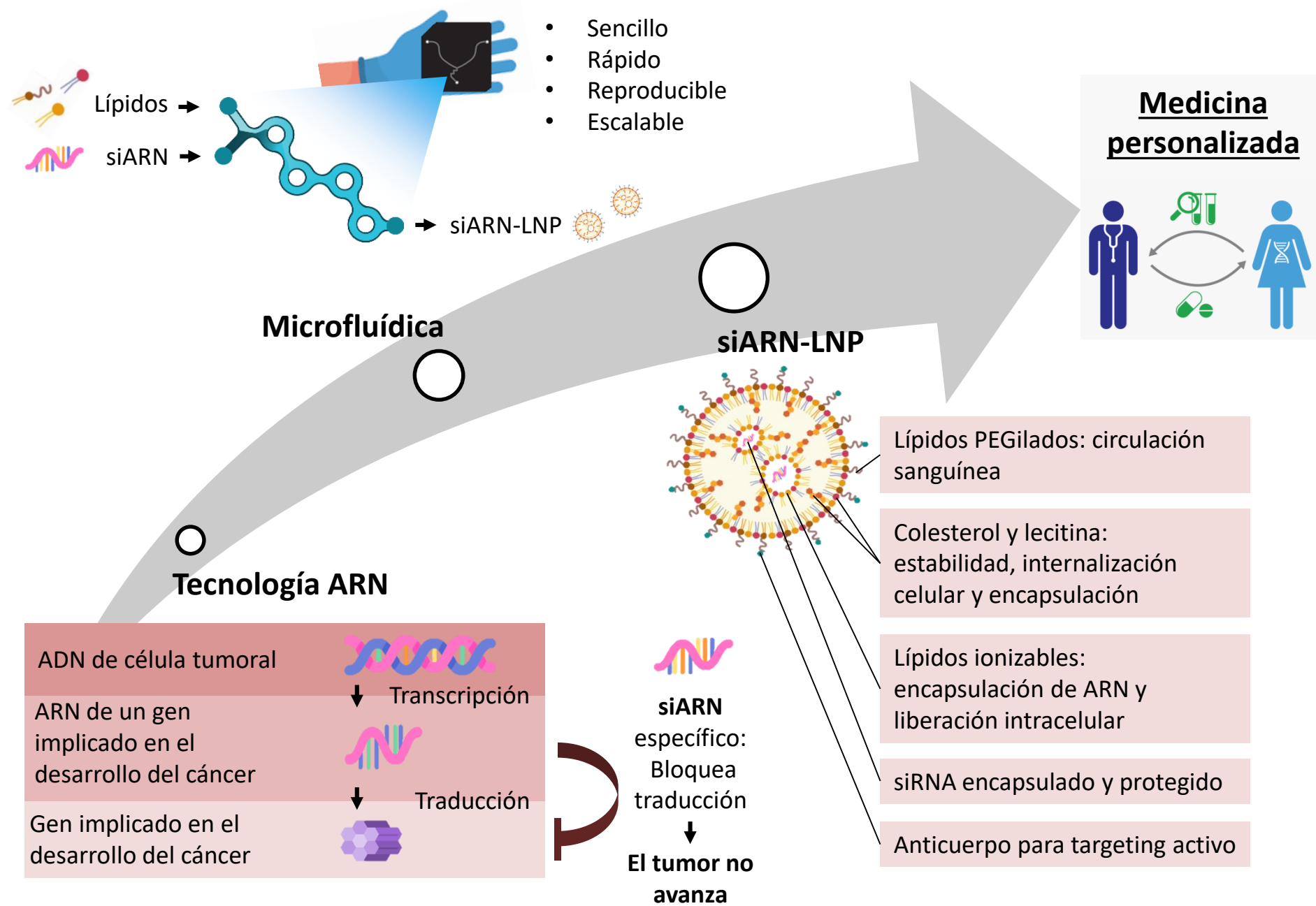


siARN-LNP dirigidas



- siARN contra genes tumorales
 - Anticuerpos contra células tumorales
- ↓
- ✓ Toxicidad reducida en células sanas
 - ✓ Administración intravenosa

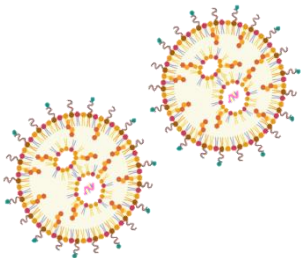
2. ESTRATEGIA CIENTÍFICA – Proyecto NanoRC



NanoRC

1. Desarrollar LNP cargadas con siARN (siARN-LNP):

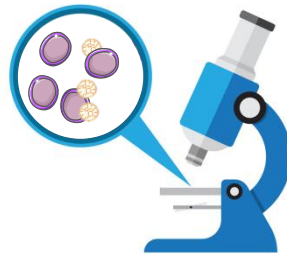
- Selección de genes diana y síntesis de siARN
- Selección de biomoléculas para targeting activo
- Encapsulación del siARN



2. Estudiar *in vitro* la toxicidad y eficacia de las siARN-LNP:

Modelos de células humanas:

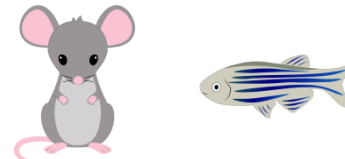
- Toxicidad en células sanas
- Eficacia en células cancerosas



3. Validación la toxicidad y eficacia de las siARN-LNP:

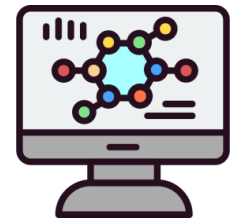
Modelos preclínicos en ratones y peces cebra

- Estudios farmacocinéticos
- Estudios de biodistribución
- Estudios de eficacia



4. Caracterización -ómica de las siARN-LNP:

- Secuenciación ARN
- Caracterización proteómica y fosfoproteómica
- Análisis avanzado con herramientas bioinformáticas



NanoRC

Organizaciones



Universidad de Navarra



Clínica Universidad de Navarra



Cima Universidad de Navarra



NAVARRABIOMED
FUNDACIÓN MIGUEL SERVET



ADIttech
COORDINADOR SINAI
Sistema Navarro de I+D+i

Principales competencias

- Fabricación y caracterización de LNP
- Toxicidad y eficacia *in vivo* e *in vitro*
- Diagnóstico genético usando Big Data
- Terapia avanzada en mieloma múltiple
- Especialistas en tumores hematológicos
- Tecnología ARN
- Integración de datos multiómicos
- Estrategias ómicas
- Investigación médica aplicada especializada en peces cebra
- Coordinación de proyectos
- Incorporación de la variable género

Sinergias

Equipo multidisciplinar



Investigación de excelencia



Medicina traslacional (del laboratorio a los pacientes)

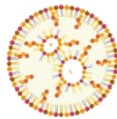


5. RESULTADOS ESPERADOS E IMPACTO EN LA SOCIEDAD

NanoRC

Resultados esperados

- Desarrollar un nuevo tratamiento para mieloma múltiple basado en:
 - LNP que encapsulen ARN.
 - Medicina personalizada.



- Completar la fase preclínica.



- Progresar en el desarrollo de la tecnología de ARN y de LNP:
 - Generar propiedad intelectual que añade valor al ecosistema científico de Navarra nacional e internacionalmente.



- Crear colaboraciones entre entidades académicas, clínicas y farmacéuticas que promuevan la transferencia de conocimiento.



Impacto en la sociedad

- Ofrecer una nueva línea de tratamiento para pacientes con mieloma múltiple.
- Proporcionar evidencia a favor de terapias paciente-céntricas.



- Los resultados derivados de NanoRC se pueden extrapolar a otras enfermedades:
 - Otros tipos de cáncer.
 - Enfermedades infecciosas.



- Creación de una red de trabajo robusta en nanomedicina, un campo con gran potencial y aplicaciones reales.

