



RESULTATS

25è RETORN SOCIAL DE LA RECERCA
CÀNCER

ESTRATÈGIA TERAPÈUTICA PER A LA LEUCÈMIA BASADA EN LA DISRUPCIÓ DELS LISOSOMES

Dr. Francesc Solé Ristol

Institut de Recerca Contra la Leucèmia Josep Carreras

Dr. Jordi Esteve Reyner

Institut Clínic de Malalties Hematològiques i Oncològiques, Institut d'Investigacions Biomèdiques August Pi i Sunyer (IDIBAPS)

Quin era l'objectiu del projecte?

Estudiar la implicació dels lisosomes en la patogènesi de la leucèmia mieloide aguda i determinar-ne el potencial com a diana terapèutica. És a dir, identificar el paper dels lisosomes en l'inici i el manteniment de la leucèmia mieloide aguda en humans i identificar molècules que es puguin modular farmacològicament com a noves estratègies terapèutiques.

Què ha descobert?

S'ha descrit el lisosoma com un orgànul susceptible de ser modulats farmacològicament per utilitzar-lo com a diana terapèutica en la leucèmia mieloide aguda. De fet, la proteïna LPTM4B és una molècula prometedora per ser inhibida, com a nova aproximació terapèutica per a aquesta malaltia. S'ha identificat una família de compostos amb un efecte terapèutic antileucèmic molt prometedori, i s'han nominat dues molècules per al desenvolupament clínic futur que són compatibles amb la realització d'assajos clínics en pacients.

Quina aplicació pràctica tindrà el resultat aconseguit?

Els dos compostos líders (*lead compounds*) descrits (EDK-87 i EDK-88) tenen unes propietats fisicoquímiques i farmacològiques òptimes per realitzar el desenvolupament clínic regulatori necessari per poder ser estudiats en assajos clínics.