

La inhibición de la calpaina, posible estrategia en el tratamiento de la atrofia muscular espinal

Un nuevo estudio en ratones y células humanas muestra el efecto beneficioso de la inhibición de la calpaina en el tratamiento de la atrofia muscular espinal, la enfermedad genética letal más común en bebés. Afecta a uno de cada 6.000-10.000 neonatos y se caracteriza por la pérdida de motoneuronas espinales debido a la mutación del gen SMN.

SINC

2/7/2020 10:54 CEST



Grupo de investigación de la Unidad de Señalización Neuronal. / IRBLleida

La [Unidad de Señalización Neuronal](#) del Instituto de Investigación Biomédica de Lleida ([IRBLleida](#)) y la Universidad de Lleida ([UdL](#)) han hecho un avance importante en el tratamiento terapéutico de la **atrofia muscular espinal**, que conduce a la debilidad y a la atrofia muscular progresiva y representa la **enfermedad genética letal** más común en bebés.

Su [investigación](#), realizada en **ratones y células humanas** y publicada en *Cell Death & Disease*, demuestra el efecto beneficioso de la **inhibición de la**

calpaina en el tratamiento de este tipo de atrofia. Se trata de una **enzima** que descompone las proteínas en unidades más pequeñas y que está implicada en **lesiones neuronales, trastornos neurodegenerativos** y procesos de **envejecimiento neuronal**.

El análisis de la médula de ratones con atrofia muscular espinal tratados con calpeptina, un inhibidor de la calpaina, mostró un aumento de la supervivencia de neuronas y la mejora de la función motora

La atrofia muscular espinal, que afecta a **uno de cada 6.000-10.000 neonatos**, es una enfermedad neurodegenerativa de la infancia que se caracteriza por la pérdida de **motoneuronas espinales** debido a la mutación del gen SMN (*Survival Motor Neuron*). La disminución de la proteína SMN provoca la degeneración de los axones y la muerte de estas neuronas.

“El análisis de la médula espinal de ratones con atrofia muscular espinal tratados con **calpeptina**, un inhibidor de la calpaina, mostró un aumento de la **proteína SMN**, además de prolongar su supervivencia y mejorar la función motora. Esto indica que puede tener un efecto beneficioso por el tratamiento de la enfermedad”, explica **Rosa M. Soler**, responsable del grupo de investigación y profesora de la UdL.

Solicitud de patente

El grupo de investigación también ha solicitado una **patente** del uso de la calpeptina para el tratamiento de la atrofia muscular espinal. “Esta patente supone un avance en el desarrollo de una terapia farmacológica sistémica y de fácil administración que puede utilizarse en combinación con los actuales tratamientos, mejorando los efectos”, afirma Soler.

Referencias:

de la Fuente, S., Sansa, A., Hidalgo, I. et al. Calpain system is altered in survival motor neuron-reduced cells from in vitro and in vivo spinal

muscular atrophy models. Cell Death Dis 11, 487 (2020).

<https://doi.org/10.1038/s41419-020-2688-5>

de la Fuente S, Sansa A, Periyakaruppih A, Garcera A, Soler RM. Calpain Inhibition Increases SMN Protein in Spinal Cord Motoneurons and Ameliorates the Spinal Muscular Atrophy Phenotype in Mice. Mol Neurobiol. 2019;56(6):4414-4427. <https://doi:10.1007/s12035-018-1379-z>

Esta investigación se ha realizado gracias a una ayuda del Instituto de Salud Carlos III, Fondo de Inversiones Sanitarias, Unión Europea, Fondo Europeo de Desarrollo Regional (FEDER) "Una manera de hacer Europa" (PI17/00231 y PI17/00134). También gracias el programa CERCA de la Generalitat de Cataluña y una ayuda "Ayudas de Promoción de la Investigación en Salud 2018" (IRBLLEIDA-Diputación de Lleida) por la primera autora, Sandra de la Fuente, que también ha recibido una ayuda de formación en investigación de la Universitat de Lleida. Alba Sansa y Ana Garcerá también han recibido una ayuda de la UdL.

Derechos: **Creative Commons**.

TAGS

ATROFIA MUSCULAR ESPINAL | CALPEPTINA | CALPAINA | PROTEÍNA SMN |

Creative Commons 4.0

Puedes copiar, difundir y transformar los contenidos de SINC. [Lee las condiciones de nuestra licencia](#)

