
PlantaDoce.

Empresa

Oryzon Genomics se alía con el Centro Seaver para avanzar contra el autismo

La biofarmacéutica de fase clínica estudiará los efectos de la inhibición de LSD1 en modelos animales deficientes para el gen Shank3.

PlantaDoce
6 abr 2021 - 09:53



Oryzon Genomics avanza contra el autismo. La biofarmacéutica de fase clínica, centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias para enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, ha anunciado el inicio de una colaboración preclínica sobre autismo con investigadores del Centro Seaver de Investigación y Tratamiento del Autismo en la Facultad de Medicina Icahn en el Hospital Mount Sinaí de Nueva York.

1 / 3

<https://www.plantadoce.com/empresa/oryzon-genomics-se-alia-con-el-centro-seaver-para-avanzar-contra-el-autismo>

El presente contenido es propiedad exclusiva de PLANTADOCE EDICIONES, SLU, sociedad editora de PlantaDoce (www.plantadoce.com), que se acoge, para todos sus contenidos, y siempre que no exista indicación expresa de lo contrario, a la licencia Creative Commons Reconocimiento. La información copiada o distribuida deberá indicar, mediante cita explícita y enlace a la URL original, que procede de este sitio.

PlantaDoce.

Las deleciones o mutaciones en el extremo del cromosoma 22 conducen a un defecto del gen Shank3 y producen en los seres humanos una variedad de autismo conocida como síndrome de Phelan-McDermid (PMS, por sus siglas en inglés). **El 80% de las personas con PMS presentan un trastorno del espectro autista (TEA).**

En estos pacientes, la incapacidad de la copia restante del gen Shank3 de producir suficiente proteína Shank3 para el funcionamiento neuronal normal (haploinsuficiencia) puede ser responsable de la mayoría de los síntomas neurológicos (retraso del desarrollo, autismo y ausencia del habla) asociados con este trastorno.

Un trabajo reciente publicado por investigadores estadounidenses ha demostrado que el complejo LSD1-Hdac2 está implicado en el PMS y que, en modelos animales deficientes en Shank3 que recapitulan muchos síntomas del síndrome humano, la inhibición de LSD1 restaura la electrofisiología neuronal y rescata los déficits de aprendizaje. **Esta colaboración explorará los efectos de vafidemstat en modelos animales desarrollados** y caracterizados en el Centro Seaver para el autismo, un centro de referencia mundial.

Oryzon Genomics llevará a cabo esta investigación en el Hospital Mount Sinaí de Nueva York

Vafidemstat es un inhibidor selectivo de la LSD1, activo por vía oral, que se encuentra en fase II de desarrollo clínico y que ha mostrado un muy buen perfil de seguridad y ha demostrado su eficacia en la reducción de la agitación y la agresividad en estudios clínicos en pacientes con la enfermedad de alzheimer, el trastorno límite de la personalidad (TLP), el trastorno por déficit de atención e hiperactividad (TDAH) y el TEA.

Actualmente, Vafidemstat está siendo explorado en un ensayo clínico de fase IIb en TLP (estudio Portico) y la empresa está preparando también un ensayo de Fase IIb en esquizofrenia (estudio Evolution). La empresa también está explorando el uso de vafidemstat en el campo de la psiquiatría de precisión.

Fundada en 2000 en Barcelona, Oryzon es una biofarmacéutica de fase clínica especializada en epigenética. El programa LSD1 de la compañía tiene en la actualidad

PlantaDoce.

dos moléculas en ensayos clínicos de fase II, vafidemstat e iadademstat. Además, Oryzon cuenta con programas en curso para el desarrollo de inhibidores contra otras dianas epigenéticas. **La compañía posee también una fuerte plataforma tecnológica para la identificación de biomarcadores** y valida biomarcadores y dianas para una variedad de enfermedades oncológicas y neurológicas.