

Título del Proyecto	<b>Atrofia muscular en envejecimiento y patologías neurometabólicas hereditarias: aproximación al diagnóstico e intervención. Parte 2: Aproximaciones a terapia basadas en el uso de iPSCs</b>
Nº de expediente asignado	PI15/00484
Abstract	<p>El objetivo general de este proyecto coordinado es ahondar en la fisiopatología de la atrofia muscular asociada al envejecimiento ('sarcopenia') y a distintas enfermedades neurometabólicas hereditarias, así como en las causas biológicas que condicionan la capacidad de respuesta al ejercicio de ancianos. Se proponen también diferentes estrategias terapéuticas contra la atrofia muscular con terapias génicas (telomerasa, TERT) y celulares (células madre pluripotenciales inducidas, iPSCs) en sinergia con ejercicio físico. Los objetivos concretos de este subproyecto (SP2) son: 1) Generar iPSCs de un paciente con enfermedad de McArdle utilizando métodos no integrativos (en coordinación con SP1); 2) Corregir su defecto genético utilizando el sistema de edición genómica CRISPR/CAS9. 3) Diferenciar las iPSCs corregidas a precursores miogénicos de músculo esquelético (PMME) que servirán para realizar un modelo preclínico de la enfermedad (en coordinación con SP3). 4) Realizar un estudio piloto con una quimioteca comercial de fármacos en precursores miogénicos obtenidos de iPSCs de McArdle con el fin de identificar fármacos de tratamiento, que serían validados in vivo en el modelo de ratón de McArdle (en coordinación con SP3). 5) Generar iPSCs de un modelo murino de envejecimiento acelerado SAMP8 con el fin de obtener PMME sin marcas de senescencia, que permitirán realizar aproximaciones de trasplante autólogo para intentar corregir la atrofia muscular asociada a envejecimiento (en coordinación con SP3).</p>

Entidad Financiadora	Instituto de Salud Carlos III
Convocatoria:	Proyectos de Investigación en Salud – Conv. AES 2015
Importe de la ayuda	179.382,5€
Fechas de ejecución del proyecto	01/01/2016-13/01/2017 (cambio de centro a Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital 12 de octubre)
	Estas ayudas están financiadas por el Instituto de Salud Carlos III y cofinanciadas por FEDER, Programa Operativo Crecimiento Inteligente 2014-2020 “Una manera de hacer Europa”
	  <p><i>"Una manera de hacer Europa"</i></p>
Enlaces	<a href="https://www.ciberisciii.es/areas-tematicas/grupo-de-investigacion?id=17099">https://www.ciberisciii.es/areas-tematicas/grupo-de-investigacion?id=17099</a>

