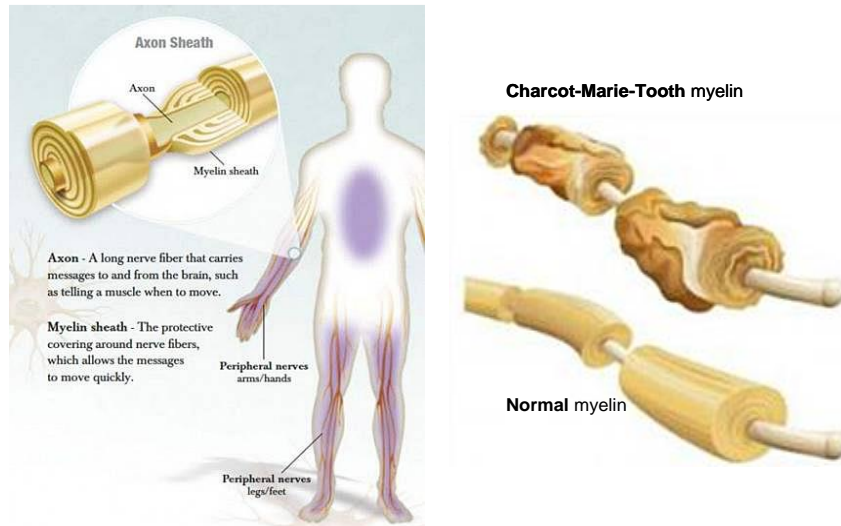


## Peptidi derivati dal GAP24 per l'uso nel trattamento della forma X della neuropatia periferica di Charcot-Marie-Tooth



### Descrizione dell'invenzione

Questo metodo riguarda il trattamento *in vivo* della forma X della neuropatia di Charcot-Marie-Tooth (CMTX1) tramite peptidi derivanti dalla sequenza del peptide commerciale GAP24. La CMTX1 è causata da mutazioni genetiche della proteina connessina 32 (Cx32), la quale forma canali ionici di estrema importanza nella mielina dei nervi motori e sensitivi. Il peptide GAP24 potrebbe ripristinare la funzione sana dei canali in soggetti malati recanti mutazioni della Cx32 (in particolare perdite del C-terminale), eliminando l'effetto inibitorio della mutazione. L'invenzione si dimostra efficace in test *in vitro* effettuati su cellule HeLa.

### A che bisogno risponde

Ad oggi non è disponibile una cura per la CMTX1, quindi l'invenzione si propone come primo e unico strumento terapeutico per il trattamento di questa malattia. La CMTX1 è una neuropatia motoria e sensoriale ereditaria, caratterizzata dalla progressiva atrofia dei muscoli degli arti inferiori e superiori con alterazione della percezione tattile che nelle forme più gravi deve essere trattata con antidolorifici. A livello dei nervi periferici si osserva una progressiva demielinizzazione e perdita di neuroni, in particolar modo nei pazienti maschi e nelle femmine omozigote per la mutazione in quanto il gene della Cx32 è presente solo sul cromosoma X.

### Esigenze del mercato/dimensioni del mercato e applicazioni



Il mercato target riguarda i fornitori di terapie ai malati, come il Sistema Sanitario Nazionale e le strutture sanitarie private. Non sono presenti altri trattamenti in grado di curare la CMTX1, quindi sarebbe l'unico trattamento disponibile sul mercato. Se da un lato il numero di pazienti CMTX1 con mutazioni adatte alla terapia è estremamente basso (stimato in 1 su 500mila), il vantaggio economico per l'azienda produttrice del peptide consisterebbe nel fatto che il trattamento dovrebbe necessariamente essere somministrato per tutta la vita del paziente, molto probabilmente con frequenza giornaliera, in quanto è noto che i peptidi sono molecole organiche che vengono rapidamente degradate dalle cellule del corpo.

### Commercializzazione/stato di avanzamento

Al momento gli inventori stanno studiando l'efficacia terapeutica del peptide su modello animale recante la mutazione R220X della Cx32. Inoltre, sono allo studio varianti del GAP24 (anch'esse coperte dal presente brevetto) che lo rendano più efficace e facilmente veicolabile all'interno del corpo allo scopo di raggiungere le cellule bersaglio (cellule di Schwann).

**Titolarietà del brevetto:** Università di Padova

**Inventori Proponenti:** Carrer Andrea; Bortolozzi Mario; Leparulo Alessandro

**Status del brevetto:** Pendente

Interessato a scoprire di più su questo ed altri brevetti o vuoi ricevere maggiori informazioni sui progetti innovativi sviluppati dall'Università di Padova? Contatta Unismart Padova Enterprise, la società di Ateneo responsabile di valorizzare i risultati della ricerca tecnico-scientifica.

[www.unismart.it/contatti](http://www.unismart.it/contatti)

