

## DESCUBRIMIENTO Y DESARROLLO DE FÁRMACOS PARA ENFERMEDADES RARAS UTILIZANDO MODELOS DE DROSOPHILA Y DE RATÓN, MEDIANTE EL DISEÑO DE TERAPIAS DE ÚLTIMA GENERACIÓN Y DEL REPOSICIONAMIENTO DE FÁRMACOS

### ABSTRACT

El proyecto de investigación "Desarrollo nuevos tratamientos, o identificación de usos innovadores de medicamentos ya existente, para diferentes enfermedades raras (ERs)", desarrollado por el Grupo de Genómica Traslacional Humana de la Universitat de València, se estructura en varias etapas con gran potencial para su transferencia a la sociedad.

Para la cuatro ERs en las que trabajamos actualmente hemos establecido un proceso, con etapas bien definidas, que comienza con la creación o adquisición de modelos biomédicos relevantes, como *Drosophila melanogaster* o líneas celulares de pacientes, seguida de la ejecución de cribados farmacológicos, y finalmente, tras identificar moléculas prometedoras (hits), establecemos etapas de mejora (hit-to-lead). Dos son los tipos de moléculas que desarrollamos: nuevos tratamientos **basados en oligonucleótidos antisentido terapéuticos**, capaces de modular la expresión génica y corregir procesos patológicos: **reutilización de fármacos ya aprobados** (reposicionamiento), explorando atajos experimentales que aceleren la llegada de terapias a los pacientes.

Además, buscamos impulsar la creación de registros de pacientes, empresas y colaboraciones internacionales, fundamentales para trasladar los avances del laboratorio a la práctica clínica y finalmente al paciente, acompañadas de actividades para afianzar la transferencia del conocimiento (patentes, contacto con inversores, generación de producto mínimo viable).

La divulgación de cómo se desarrolla un fármaco, desde la poyata al paciente, es vital para llegar al público que lo demanda. Nuestra propuesta define un proyecto ilustrado donde se generarán formatos tipo infografía, cómic o póster en formato impreso y/o digital. Este proyecto no solo busca mejorar la salud y bienestar de las personas con ERs, sino también acercar la ciencia a la sociedad mediante formatos accesibles y atractivos. Para ello, se diseñará una actividad de transferencia acompañada de ilustraciones y/o cómics, que facilitarán la comprensión de los retos y logros de la investigación, fomentando la sensibilización y el apoyo a la innovación biomédica.