



Universidad de Jaén

miRNA como herramientas moleculares modulando diferenciación y regeneración muscular

Institución: Universidad de Jaén

Investigadora principal: Dra. Amelia Aránega Jiménez

En las distrofias musculares, la atrofia muscular progresiva y debilidad se asocian a menudo con el agotamiento del potencial de regeneración del músculo. Recientemente ha sido puesto de manifiesto que el desgaste muscular en la Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) no es solo causado por la fragilidad de las fibras musculares, sino que también se ve agravado por un fallo en la regeneración muscular debido a **una disfunción intrínseca de las células encargadas de regenerar el músculo (células satélite)**. Por lo tanto, un punto crítico para el desarrollo de estrategias eficaces para el tratamiento de trastornos musculares es la optimización de enfoques para dirigir el potencial de las células satélite de músculo con el fin de aumentar la capacidad de regenerar tejido perdido.

Los *miRNAs* son pequeñas moléculas de *RNA* no-codificante que tienen la capacidad de modificar el comportamiento celular mediante el control de la expresión génica. En el contexto de la regeneración muscular, la evidencia científica emergente apoya que los *miRNAs* juegan un papel crítico en el músculo esquelético, ya que son necesarios para el desarrollo y la diferenciación de este tejido. Además, la desregulación de *miRNAs* en las enfermedades degenerativas del músculo sugiere que las terapias basadas en genes de *miRNAs* pueden ser eficaces en el tratamiento de trastornos relacionados con los músculos.

Datos previos obtenidos por nuestro grupo de investigación han puesto de manifiesto el papel de los *miRNAs* en el control del comportamiento de las células satélite para generar células con potencial regenerativo, poniendo de manifiesto su potencial para ser utilizados como posible herramienta terapéutica para modular la regeneración muscular en DMD.

En este proyecto pretendemos desarrollar herramientas moleculares de fácil manipulación, como los *miRNAs*, como instrumentos terapéuticos para incrementar la capacidad regenerativa de las células satélite en DMD. Pensamos que este abordaje presenta una serie de ventajas sobre otras aproximaciones terapéuticas planteadas previamente para DMD:

- 1.- Representa un planteamiento terapéutico novedoso de la DMD, abordando un problema fisiopatológico que otros tratamientos previos no habían contemplado como es el fallo en la **regeneración muscular** como consecuencia de los defectos intrínsecos que presentan las células que regeneraran el músculo **en DMD**.

2.- Debido a que los *miRNAs* presentan la ventaja de ser moléculas de muy pequeño tamaño y de gran accesibilidad para alcanzar el interior celular, pretendemos conseguir un **abordaje terapéutico poco intervencionista y sencillo**. La finalidad última del desarrollo de este proyecto es poder modular la regeneración muscular en DMD con una simple inyección intramuscular de *miRNA*.