

Nuevo tratamiento para enfermedades relacionadas con fragilidad ósea

La presente invención se refiere al reposicionamiento de un medicamento en su nuevo uso como tratamiento de enfermedades relacionadas con fragilidad ósea, prioritariamente pacientes pediátricos con Osteogénesis Imperfecta.

INFORMACIÓN DE CONTACTO

OTC – Oficina Transferencia Conocimiento

944 53 68 49

otc@bioef.eus

Tipo de desarrollo

Nuevo tratamiento: Fármaco.

Descripción

La Osteogénesis Imperfecta (OI) es una enfermedad rara representada por un grupo heterogéneo de entidades caracterizados por un aumento de la fragilidad ósea (“enfermedad de los huesos de cristal”).

La mayoría de los niños con OI sufren repetidas fracturas óseas de forma espontánea, durante su actividad cotidiana o tras sufrir mínimos traumatismos que conllevan a la aparición de severas deformidades de los huesos largos y columna, y a un déficit importante del crecimiento.

No existe un tratamiento curativo para la OI. En la actualidad el tratamiento está principalmente encaminado a mejorar los síntomas. La cirugía ortopédica es fundamental en el tratamiento de las fracturas.

El equipo ha identificado un fármaco (**autorizado para otra indicación terapéutica**) que ha demostrado mejorar la microarquitectura y propiedades mecánicas óseas en dos modelos de ratón que recapitulan fenotipos de OI moderado y grave.

Aplicación

- Tratamiento de pacientes con Osteogénesis Imperfecta (enfermedad rara).
- Tratamiento de pacientes con enfermedades asociadas a la baja densidad ósea.

Mercado oportunidad

La presente invención consiste en el reposicionamiento de un fármaco ya autorizado, ahora orientado al tratamiento de la osteogénesis imperfecta, una enfermedad rara con opciones terapéuticas limitadas. Esta estrategia permite reducir costes y tiempos de desarrollo, aprovechando datos previos de seguridad y eficacia.

El mercado global para tratamientos de osteogénesis imperfecta se estima en más de 740 millones de dólares en 2024, con un crecimiento proyectado hasta casi 900 millones en 2032. El reposicionamiento en enfermedades raras ha demostrado tasas de éxito superiores al 24% en ensayos clínicos impulsados por organizaciones especializadas. Esta invención se posiciona como una solución innovadora con alto potencial de adopción clínica y comercial.

Equipo

Clara I. Rodríguez, Arantza Infante, Blanca Gener y Natividad Alcorta.

Laboratorio de Células Madre y Terapias Avanzadas

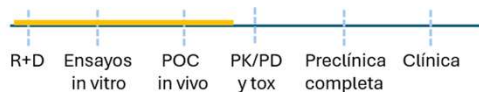


Ventajas

- Reposicionamiento de un fármaco ya aprobado y en uso en práctica clínica con otra indicación, seguro.
- Estrategia terapéutica curativa, no meramente paliativa.

Estado Desarrollo

Estado de desarrollo (TRL 4)



Oferta de colaboración

- Compañía interesada en la licencia y comercialización del desarrollo.

Propiedad Industrial

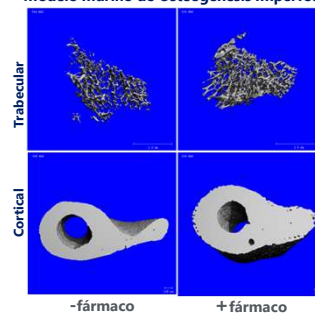
- Patente Europea Prioritaria: EP25382112

PCT/EP2026/053333

Fecha de Prioridad: 11/02/2025

Titular: Administración General de la Comunidad Autónoma de Euskadi

Modelo murino de Osteogénesis Imperfecta



New treatment for diseases related to bone fragility

The present invention relates to the repositioning of a drug for its new use as a treatment for diseases related to bone fragility, primarily paediatric patients with osteogenesis imperfecta.

CONTACT INFORMATION

KTO- Knowledge Transfer Office

944 53 68 49

otc@bioef.eus

Type of development

New treatment: Drug.

Description

Osteogenesis imperfecta (OI) is a rare disease represented by a heterogeneous group of entities characterised by increased bone fragility ('brittle bone disease').

Most children with OI suffer repeated spontaneous bone fractures during their daily activities or after minor trauma, leading to severe deformities of the long bones and spine, and significant growth deficits. There is no cure for OI. Currently, treatment is aimed solely at improving symptoms. Orthopaedic surgery is essential in the treatment of fractures.

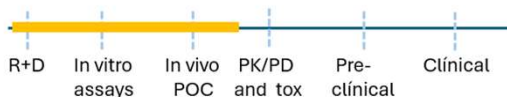
The team has identified a drug (**authorised for another therapeutic indication**) which has been shown to improve bone microarchitecture and mechanical properties in two murine OI models that emulate a moderate and a severe phenotype.

Advantages

- Repositioning of a drug already approved and in clinical use with another indication, safe.
- Curative therapeutic strategy, not merely palliative

Development stage

Development stage (TRL 4)



Available for

- Company interested in the license and commercialisation of the development.

Use

- Treatment of patients with osteogenesis imperfecta (rare disease).
- Treatment of patients with diseases associated with low bone density.

Market opportunity

This invention involves the repurposing of an already authorized drug for a new indication: the treatment of osteogenesis imperfecta, a rare disease with limited therapeutic options. This strategy significantly reduces development time and costs by leveraging existing safety and efficacy data.

The global market for osteogenesis imperfecta treatments is estimated at over \$740 million in 2024, with projections nearing \$900 million by 2032. Drug repurposing in rare diseases has shown clinical trial success rates above 24%, especially when driven by specialized organizations. This invention is well positioned for clinical adoption and commercial success.

Research Team

Clara I. Rodríguez, Arantza Infante, Blanca Gener and Natividad Alcorta.

Stem Cells and Advanced Therapies Group



Industrial Property

- European Patent (EP22835856.0)

PCT/EP2026/053333

Priority date : 11/02/2025

Applicant: Administration of the Autonomous Community of the Basque Country.

Osteogénesis Imperfecta murine model

