Título del Proyecto	Desarrollo de terapias para el tratamiento de enfermedades raras metabólicas congénitas - TERARMET
Nº de expediente asignado	RTC-2014-2207-1
Abstract	Terarmet, se centra en el estudio y desarrollo de nuevas terapias para el tratamiento de la enfermedad de Fabry y de la Mucopolisacaridosis Tipo III también conocida como el Síndrome de Sanfilippo. Ambas enfermedades están asociadas a trastornos del metabolismo de las moléculas complejas (almacenamiento lisosomal). Estas patologías devienen de un defecto genético que provoca la carencia de una o varias enzimas responsables del metabolismo a nivel lisosomal de algunos tipos de moléculas, por lo que estas se van acumulando en las células hasta provocar su mal funcionamiento, generando síndromes degenerativos y una muerte precoz. Actualmente no existe ningún tratamiento comercial para el caso de la enfermedad de Sanfilippo mientras que el tratamiento de la enfermedad de Fabry presenta una escasa eficiencia a un altísimo coste. Así pues, una vez situado este escenario, resulta evidente que existe una necesidad fundamental de investigación y desarrollo para obtener nuevas terapias, o mejorar las existentes, para este tipo de enfermedades generalmente olvidadas o postpuestas frente a otras de mayor incidencia o mayor impacto económico. Los objetivos generales del proyecto Terarmet están basados en el desarrollo de nuevas formas de terapia para las enfermedades citadas, basadas en tecnologías punteras y que puedan ser extrapolables a otras enfermedades que tengan una causa similar.
Entidad Financiadora	Ministerio de Economía y Competitividad (MINECO)
Convocatoria:	Retos Colaboración 2014
Importe de la ayuda	152.417€
Fechas de ejecución del proyecto	2014-2017

