

Novedades en la investigación de la EH. En lenguaje sencillo. Escrito por científicos. Para toda la comunidad EH.

Se ha publicado un nuevo artículo con más información sobre este tema: FDA: es necesario otro ensayo clínico para que el Huntexil sea aprobado para la EH x

Huntexil como tratamiento de los síntomas de la enfermedad de Huntington: ¿Y ahora qué?



Dos ensayos clínicos, uno en Europa y otro en EEUU sugieren que un Nuevo fármaco, Huntexil, puede mejorar los movimie

Por Dr Ed Wild el 18 de enero de 2011

Editado por Dr Jeff Carroll; Traducido por Asunción Martínez

Publicado originalmente el 16 de noviembre de 2010

El 2010 ha sido un gran año para una pequeña compañía farmacológica danesa llamada NeuroSearch y su fármaco experimental, llamado Huntexil, cuyo objetivo es mejorar los movimientos y la coordinación de las personas con síntomas de EH. ¿Qué nos han demostrado los dos ensayos clínicos de NeuroSearch – MermaiHD en Europa y HART en EEUU – y cuál es su consecuencia más probable?

¿Qué es Huntexil?

Huntexil - también conocido como ACR16 y como pridopidina - es un fármaco descrito como un estabilizador de la dopamina. La dopamina es un elemento químico que actúa en algunas regiones cerebrales que son importantes para el movimiento y la coordinación. En la enfermedad de Parkinson se observa un claro déficit de dopamina y reemplazar la dopamina proporciona mejoría sintomática, al menos durante algún tiempo. El problema en la EH es más complicado: en algunas áreas del cerebro parece que hay déficit de dopamina mientras que en otras puede que haya dopamina en exceso.

Este desequilibrio parece tener su reflejo en dos elementos comunes en la EH que suelen ocurrir a la vez. El primero es un exceso de movimientos involuntarios llamado corea. El segundo es una pérdida de movimientos voluntarios que produce rigidez, falta de coordinación, problemas de equilibrio y caídas.

Los tratamientos que disminuyen la dopamina ya están disponibles para los síntomas relacionados con el exceso de movimiento - fármacos como la tetrabenacina, la risperidona y la olanzapina. Pero éstos pueden empeorar la rigidez, el equilibrio y los movimientos voluntarios. Dado que hay muchos pacientes a los que les resulta más molesta la pérdida de los movimientos voluntarios que el exceso de movimiento, los tratamientos actuales no son ideales para muchos pacientes. Sin embargo, en el momento actual no hay tratamientos eficaces para tratar de manera eficaz los movimientos voluntarios.

Aquí es donde hace su aparición el Huntexil. Dado que es un estabilizador de la dopamina, aumentaría la dopamina en las áreas cerebrales donde no hay suficiente dopamina y la disminuiría en las áreas donde hay mucha dopamina, por lo que el efecto general sería devolver al cerebro sus niveles normales de dopamina.

El estudio MermaiHD

El estudio MermaiHD era un proyecto conjunto de NeuroSearch y del Grupo Europeo de EH. Se incluyeron 437 pacientes con EH en 8 países europeos con un seguimiento de 6 meses. Se probaron dos dosis diferentes de Huntexil frente a placebo (una pastilla que no contiene ningún fármaco). El estudio era “doble ciego” lo que significa que ni los pacientes ni sus doctores sabían qué tratamiento se les estaba administrando.

Los efectos del Huntexil se evaluaron utilizando una escala modificada del movimiento (llamada mMS) que se centraba en los movimientos voluntarios. En el grupo que tomaba Huntexil en mayor dosis hubo una pequeña disminución de la puntuación, lo que sugirió alguna mejora a los 6 meses.

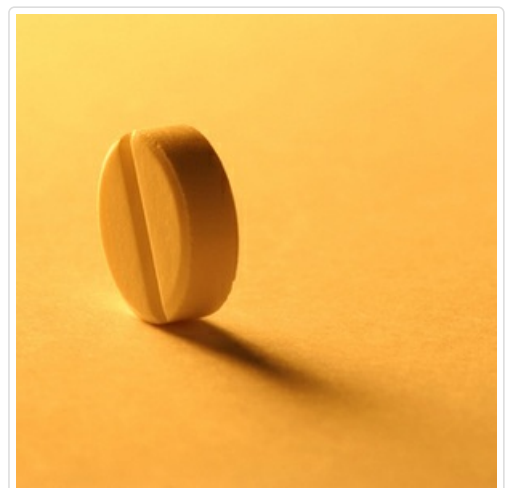
Los estadistas utilizan una técnica llamada análisis de significancia para saber si el resultado es debido al azar o si realmente es el resultado del efecto del fármaco. El análisis de significancia mide si un resultado es “sorprendente”: cuanto más sorprendente es el resultado más probable que se deba al fármaco.

Por desgracia, la mejora en los movimientos voluntarios no eran lo suficientemente “sorprendentes” como para ser estadísticamente significativos, según los criterios previamente definidos por los que diseñaron el proyecto y las agencias reguladoras - por lo que el estudio no demostró un beneficio general sobre los movimientos voluntarios.

Aún así, se vio una mejora general de la función motora en los pacientes que tomaban Huntexil, que fue estadísticamente significativa y en un análisis posterior en el que se analizaba también el efecto del número de repeticiones CAG sobre la función motora se alcanzó el nivel de “sorpresa” suficiente como para que el resultado sea considerado estadísticamente significativo.



Los problemas de equilibrio y de coordinación son muy difíciles de tratar en este momento en la EH.



Un tratamiento mejor para los síntomas de la EH podrían significar una gran diferencia para algunos enfermos con EH.

En general, aunque hubiera sido deseable obtener un mayor efecto del fármaco y un resultado “significativo” utilizando la escala principal, los resultados del estudio MermaiHD son esperanzadores dado que ningún otro fármaco había mostrado antes ninguna mejoría sobre los movimientos voluntarios en la EH.

El estudio HART

El estudio HART era un estudio de seguimiento que NeuroSearch llevó a cabo junto con el Huntington Study Group. Incluyó a 227 voluntarios con un seguimiento de 3 meses, por lo que era menor y más corto que el estudio MermaiHD, puesto que no pretendía probar si el Huntexil era eficaz, si no que pretendía probar diferentes dosis para ver cuál era mejor.

Al estudiar diferentes dosis, el estudio también pretende determinar la relación “dosis-respuesta”, es decir, si a mayores dosis, mayores mejoras.

Al igual que en el estudio MermaiHD, los pacientes tratados en el estudio HART obtuvieron, en general, mejores puntuaciones en la escala motora. De nuevo, el estudio no mostró la mejoría significativa que se esperaba en la función motora - lo cual no es de extrañar puesto que era más pequeño y más corto. Se encontró una relación entre la dosis y la respuesta lo que sugiere que el fármaco actúa tal y como se esperaba.

NeuroSearch ha analizado todos los datos de los dos estudios conjuntamente y en este “meta-análisis” se ha visto que hay una mejoría significativa en los movimientos voluntarios a los 6 meses.

¿Y ahora qué?

Hasta ahora, Huntexil ha sido probado en dos grupos diferentes de pacientes y parece ser seguro, con pocos efectos secundarios. Este es un buen comienzo para cualquier fármaco. Lo mejor hubiera sido que los resultados en la medida principal hubieran sido positivos y no lo ha sido por poco. Pero la mejoría en la función motora observada en ambos estudios y los resultados obtenidos del meta-análisis sobre la función voluntaria sugieren que puede ser que Huntexil sea una opción terapéutica para los síntomas en la EH.

Los científicos siempre son cautelosos a la hora de utilizar nuevos tratamientos porque su utilización en la vida real puede mostrar problemas que no ocurren en los ensayos clínicos. Algo a tener en cuenta es que la mejoría observada en los estudios es una media de todo el grupo. En la “vida real” puede ser que Huntexil sea muy eficaz en algunos pacientes y menos eficaz en otros.

Es también digno de mención que en el momento actual Huntexil es solo visto como un posible tratamiento para los síntomas de la EH, pero no como un tratamiento capaz de enlentecer el daño cerebral que produce la enfermedad. Si Huntexil tiene dicho efecto, llevará bastante



tiempo demostrarlo, posiblemente varios años.

En una entrevista con HDBuzz, el Jefe de Ciencias Clínicas de NeuroSearch, Joakim Tedroff, manifestó que se mantienen cautelosamente optimistas acerca de cómo obtener que se apruebe el Huntexil y esté disponible para los pacientes con EH. “Creo que será aprobado”, dijo. El proceso de aprobación siempre es lento y lleva varios meses o años, incluso para fármacos que han probado su eficacia sin duda. NeuroSearch ahora tiene que convencer a las agencias reguladoras de los medicamentos de que la evidencia combinada de sus estudios es lo suficientemente convincente como para que el Huntexil sea aprobado.

HDBuzz les mantendrá informados de lo que ocurra y de las últimas noticias.

Los autores no tienen ningún conflicto de intereses que declarar Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes

Glosario

estadísticamente significativo Con poca probabilidad de que haya sido debido al azar, según el análisis estadístico

enfermedad de Parkinson enfermedad neurodegenerativa que, como la EH, implica problemas de coordinación motora

repeticiones CAG trozo de la cadena de ADN, al principio del gen de la EH, que contiene la secuencia CAG repetida muchas veces y es anormalmente larga en personas que desarrollarán EH.

dopamina Un compuesto químico (neurotransmisor) que está involucrado en el control del movimiento, el estado de ánimo y la motivación

eficacia Una medida de si un tratamiento funciona o no

placebo Un placebo es una falsa medicina que no contiene ingredientes activos. El efecto placebo es un efecto psicológico que hace que la gente se sienta mejor aunque estén tomando una pastilla que no funciona.

corea Movimientos involuntarios, irregulares 'nerviosos' que son frecuentes en la EH

© HDBuzz 2011-2017. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una Licencia Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported.

HDBuzz no proporciona consejo médico. Para más información visite hdbuzz.net

Generado el 16 de julio de 2017 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/013>