

## Nuevo ensayo clínico de Prana Biotech en la enfermedad de Huntington con PBT2: toda la verdad

Estudio de Prana Biotech con PBT2 en la EH: lo que sabemos y qué relación hay entre el cobre y la proteína mutada



Por Dr Ed Wild

29 de abril de 2012

Editado por Dr Jeff Carroll

Traducido por Asunción Martínez

Publicado originalmente el 03 de octubre de 2011

**P**rana Biotech ha anunciado que va a realizar un estudio en fase 2 en pacientes con enfermedad de Huntington en Australia y los EE.UU.. Esto es lo que sabemos hasta ahora acerca de la prueba, la empresa, la droga y la relación entre el cobre y la proteína huntingtina mutada.

### PBT2 un ensayo clínico anunciado

Un nuevo ensayo clínico internacional de un fármaco que podría enlentecer la progresión de la enfermedad de Huntington está empezando a causar interés. Cuando el comienzo del estudio coincide con el Congreso Mundial de Huntington y la compañía farmacéutica que realiz el estudio tiene su sede en la ciudad donde se celebra el Congreso, los titulares están asegurados.



*No, no es esa clase de cobre.*

Por lo que es probable que ya haya oído hablar del ensayo clínico internacional que va a llevar a cabo la compañía **Prana Biotech** con el fármaco **PBT2** a finales de 2011 en Australia y en los EE.UU.. Estamos aquí para darle el mayor número de detalles posible sobre el ensayo clínico y el fármaco, así como el análisis de la evidencia disponible sobre el fármaco PBT2 en la enfermedad de Huntington.

### El ensayo clínico

Los ensayos clínicos con fármacos en seres humanos se dividen en tres fases.

**Fase 1** es cuando se administra el fármaco a voluntarios sanos por primera vez. En la **fase 2**, el fármaco se administra a pacientes con síntomas por primera vez, pero el objetivo principal es comprobar que es seguro y no empeora las cosas. Los ensayos clínicos en **fase 3** son mucho más grandes, con cientos de voluntarios y tienen por objeto proporcionar las pruebas necesarias para obtener la aprobación de un medicamento.

El ensayo clínico de Prana con PBT2 en la EH es un ensayo en **fase 2** - por lo que va a ser muy pequeño en términos generales, con la participación de un centenar de voluntarios. En un comunicado de prensa, la compañía dice que tiene previsto que participen unos **15 centros** en Australia y en los EE.UU. - lo que implica un promedio de seis ó siete voluntarios por centro. En el ensayo clínico participarán personas con enfermedad de Huntington inicial. En términos generales, esto significa que las personas tienen síntomas de EH, como por ejemplo movimientos involuntarios, bastante leves y que no le impiden caminar, trabajar o funcionar en su casa.

Cada voluntario con EH participará en el estudio durante **seis meses**, pero dado que la empresa todavía no ha proporcionado el protocolo del ensayo completo, no podemos saber a cuántos voluntarios se les dará el medicamento y a cuántos se les dará la pastilla de placebo, que no contiene fármaco. Tampoco sabemos qué pruebas se utilizarán para evaluar el efecto del fármaco y si el ensayo incluirá cosas como una resonancia magnética del cerebro.

Otra incógnita es qué centros serán seleccionados para participar en el ensayo clínico en Australia y en los EE.UU. Sabemos que el Hospital General de Massachusetts en Boston, EE.UU. y la Universidad Johns Hopkins en Baltimore han sido confirmados como participantes. Teniendo en cuenta que Prana está en Melbourne, nos sorprendería si Melbourne no está incluido como un centro de Australia.

La compañía ha anunciado que se espera que los resultados estén para **finales de 2013**.

Dado que es un ensayo en fase 2, los objetivos principales son los de asegurar que el medicamento es "seguro y bien tolerado" - en otras palabras, que no causa un empeoramiento de los síntomas o cualquier otro efecto secundario inesperado, y averiguar cuál es la mejor dosis para realizar estudios en fase 3. Pero la compañía también espera que los ensayos en fase 2 nos dará alguna sugerencia sobre si PBT2 puede cambiar la enfermedad en la dirección correcta, para dar la confianza necesaria para continuar con los caros ensayos en fase 3.

## La compañía

«Si los metales pueden ayudar a las proteínas a hacer el bien, ¿puede que también contribuyan a los daños causados por las proteínas anormales? »

Prana Biotech es una compañía farmacéutica relativamente pequeña, fundada en Melbourne en 1997. Según la filosofía hindú, "prana" es una fuerza poderosa y misteriosa, que sostiene la vida. Sin embargo, la investigación de Prana es bastante más terrenal: se centra en las interacciones

entre las proteínas - las máquinas moleculares que llevan a cabo las funciones más importantes de nuestras células - y los metales.

La idea de que nuestros cuerpos se basan en metales puede sonar extraño, pero todos estamos familiarizados, al menos de los dibujos animados de Popeye, con la idea de que el hierro es esencial para la salud. Lo mismo es cierto en relación a muchos otros metales, a veces llamados los 'elementos traza'.

## Proteínas y metales: amigos inesperados

El hierro es un buen ejemplo de una importante interacción entre las proteínas y los metales. Nuestra sangre lleva el oxígeno del aire que respiramos a nuestros órganos, dentro de los glóbulos rojos. Estas células son de color rojo debido a que contienen una proteína llamada hemoglobina roja. Pero el poder de transporte de oxígeno de la hemoglobina se basa en una pequeña cantidad de hierro, encerrado en el interior de la proteína. La falta de hierro provoca anemia, lo que hace que la gente pálida y sin aliento, porque su sangre no puede transportar suficiente oxígeno.

Los investigadores son cada vez más conscientes de que muchas proteínas necesitan un poco de ayuda de los metales para hacer su trabajo. Pero también sabemos que las proteínas pueden ir mal, y causar daño. La proteína huntingtina mutada, producida en las células de las personas con un gen expandido de la EH, es un ejemplo perfecto, pero hay muchos otros: el Alzheimer y el Parkinson son enfermedades en las que las proteínas provocan daños y forman agregados en las células cerebrales.

Así que si los metales pueden ayudar a las proteínas a hacer el bien, ¿puede que también contribuyan a los daños causados por las proteínas anormales? Cada vez más, los investigadores piensan que sí y esa es la respuesta por la que Prana está apostando.

## Cobre, PBT2 y Alzheimer

Prana está particularmente interesada en el papel desempeñado por el **cobre** en los efectos nocivos de proteínas anormales. PBT2 fue desarrollado como tratamiento para la enfermedad de Alzheimer, donde la proteína que causa daño, "amiloide", se vuelve más pegajosa cuando se le unen átomos de cobre. El PBT reduce la cantidad de cobre que se adhiere al amiloide.

En 2008 un estudio de fase 2 de PBT2, publicado en Lancet Neurology, el tratamiento de pacientes de Alzheimer con PBT2 pareció reducir la cantidad de proteína amiloide en el líquido cefalorraquídeo que rodea el cerebro, y el medicamento no causó efectos secundarios graves. Prana está planeando nuevos estudios para estudiar los efectos de PBT2 en los niveles de amiloide en el cerebro, y trabajar hacia un gran ensayo en fase 3 en el Alzheimer.

## ¿Qué pasa con la enfermedad de Huntington?



*PBT2 pretende prevenir que el cobre se una a la proteína huntingtina mutada - un posible paso adelante en la enfermedad de Huntington.*

Los posibles efectos del cobre en la enfermedad de Huntington no se han estudiado con tanto detalle como en la enfermedad de Alzheimer. Lo que sí sabemos, sin embargo, es que los depósitos de cobre se han encontrado en las regiones cerebrales más afectadas, y la proteína huntingtina tiene varias áreas a las que se pueden unir los átomos de cobre.

En la Conferencia Internacional sobre la Enfermedad de Alzheimer y Trastornos Relacionados en el año 2010, el profesor Robert Cherny de Prana Biotech presentó los datos de un ensayo de PBT2 en un modelo de ratones con EH. Los animales que recibieron el medicamento mostraron mejor control del movimiento y vivieron alrededor de un 40% más que los ratones no tratados. Este éxito en los ratones EH es la base para que Prana lleve a cabo un ensayo clínico en pacientes con enfermedad de Huntington.

## **PBT2 y el cobre en su contexto**

Es refrescante ver a un jugador nuevo, como Prana entrar en el campo de la investigación de la enfermedad de Huntington, porque es difícil imaginar cómo vamos a encontrar y probar los tratamientos para frenar la EH sin las compañías farmacéuticas.

Debido a que la cautela es un buen condimento para el optimismo, vale la pena mencionar un par de cosas acerca de PBT2.

A pesar de que los resultados de PBT2 en los ratones con EH son alentadores, no se puede negar el hecho de que, hasta ahora, todos los medicamentos que han funcionado en el ratón con EH no han demostrado beneficios en los ensayos con seres humanos. Por supuesto, esto es cierto hasta que el primer fármaco funcione en los pacientes - y puede que PBT2 sea dicho fármaco. Pero dado que ningún modelo de ratón es un modelo perfecto de la enfermedad de Huntington humana, muchos investigadores creen que un nuevo medicamento debe ser probado en varios modelos diferentes de animales antes de realizar ensayos con seres humanos.

Teniendo en cuenta las 'diez reglas de oro' para leer una noticia sobre la EH, también hemos de tener en cuenta que los resultados de Prana en ratones con la EH fueron anunciados en una conferencia científica, pero que aún no han sido publicados en una revista revisada por pares científicos - en la que los resultados han de ser examinados por expertos independientes antes de ser aceptados.

Por último, entendemos que cualquier persona con EH o en situación de riesgo quiere saber lo que pueden hacer ahora para dar a su cerebro una oportunidad para luchar mejor. Sin embargo, nos gustaría señalar que si el cobre es importante en la EH, no es porque haya demasiado cobre en el cerebro o el cuerpo en general. Por lo tanto, no hay ninguna razón para creer que la falta de cobre en la dieta o tomar suplementos para eliminar el cobre, sería beneficioso para las personas con la mutación de la EH.

Con estas advertencias en mente, esperamos con interés recibir más detalles de la prueba a medida que surjan, y nosotros los mantendremos informados de los principales acontecimientos.

---

*Los autores no tienen ningún conflicto de intereses que declarar [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)*

---

## GLOSARIO

**proteína huntingtina** Proteína producida por el gen de la EH

**resonancia magnética** técnica que utiliza campos magnéticos potentes para producir imágenes detalladas del cerebro en humanos y animales vivos.

**ensayo clínico** Experimentos muy bien planeados diseñados para responder determinadas preguntas sobre cómo afecta un fármaco a humanos

**agregados** Grupos de proteínas que se forman dentro de las células en la enfermedad de Huntington y otras enfermedades degenerativas

**amiloide** La principal proteína que se acumula en el cerebro de los pacientes con enfermedad de Alzheimer

**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.

---

© HDBuzz 2011-2018. 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](http://hdbuzz.net)

Generado el 19 de junio de 2018 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/051>

Algunas partes de esta página todavía no han sido traducidas. Se muestran a continuación en el idioma original. Estamos trabajando para traducirlo todo lo antes posible.