Noticias del Congreso sobre Terapias para la EH 2013: Día 2

Día 2 de nuestra cobertura del Congreso sobre Terapias para la Enfermedad de Huntington

Por Dr Ed Wild el 22 de agosto de 2013
Editado por Dr Jeff Carroll; Traducido por Laura Medialdea Marcos
Publicado originalmente el 10 de abril de 2013

Nuestro segundo informe diario del Congreso Anual sobre Terapias para la Enfermedad de Huntington en Venecia, Italia. Pueden twittear @HDBuzzFeed, hacer comentarios en Facebook o utilizar HDBuzz.net para remitirnos sus preguntas, comentarios y consultas.

09:09 - ¡Buenos días! Jeff y Ed publicarán las noticias en este segundo día del congreso sobre terapias para la enfermedad de Huntington.

09:14 - Le recuerdo a cualquier que se lo perdiera ayer: Se han invertido 30 millones de dólares en investigación sobre fármacos para la EH - ver nuestro artículo sobre el acuerdo entre Isis y Roche de ayer.

09:17 - La primera sesión trata sobre la proteína huntingtina: ¿qué es, qué hace y cómo causa daño?

Se presentaron más de cien proyectos en la sesión de pósters el miércoles por la tarde.

09:26 - El **Dr. Hilal Leshuel** del EPFL en Francia, fabrica proteínas en su laboratorio empleando diversas técnicas, por lo que puede manipularlas y estudiarlas. Ha utilizado estas técnicas para estudiar la proteína principal que interviene en la enfermedad de Parkinson, la alfa-sinucleína. Él puede etiquetar artificialmente sus proteínas fabricadas y ver cómo las células las utilizan de manera diferente en función de la etiqueta que lleven. La adición de una etiqueta llamada ubiquitina a la alfa sinucleína evita que las proteínas se peguen entre sí y formen agregados (la huntingtina también hace esto). Utilizando técnicas desarrolladas para la enfermedad de Parkinson, su laboratorio puede estudiar ahora directamente modificaciones químicas de la proteína de la EH. **Lashuel** dice que simples modificaciones químicas en la proteína de la EH normal pueden hacer que ésta actúe como la proteína mutada, es decir, que se formen “agregados”.

10:06 - **Gerardo Morfini**: Los pacientes con EH sufren pérdida de la “sustancia blanca” del cerebro, que se compone de axones y es importante comprender por qué ocurre. ¡**Morfini** está estudiando los axones de calamar! Son enormes, es mucho más fácil trabajar con ellos que con

los de humanos o de ratón. Ha descubierto que la proteína EH mutada provoca atascos en los axones frenando el tráfico de las neuronas. Está buscando fármacos que aumenten la velocidad del tráfico en los axones, para poder combatir así los efectos de la proteína EH mutada. **Morfini** quiere entender cómo los “axones” - la parte larga de las neuronas que transmiten mensajes a otras neuronas - mueren en la EH.

10:39 - **James Surmeier** trata de entender qué células específicas del cerebro son las primeras en morir en la EH, ¿qué las hace tan vulnerables? Para ello está usando microscopios y técnicas de última generación para estudiar las conexiones individuales - sinapsis - entre las neuronas, en ratones con EH. Ha observado que las conexiones entre las células del cerebro mejoran con un fármaco que pronto va a ser probado en pacientes con EH.

11:41 - **Philip Gregory** trabaja con Sangamo, una empresa que desarrolla herramientas para editar el ADN de los pacientes con EH y así eliminar la mutación. **Gregory** dice que Sangamo está tratando de perfeccionar sus herramientas para editar el gen EH mutado y dejar sólamente el gen EH normal. **Gregory** dice que la edición de genes de la EH mutados funciona en cerebros de ratones vivos, no sólo en células - buenas noticias para avanzar hacia ensayos con pacientes.

12:10 - **David Corey** está trabajando en nuevas maneras de “silenciar” el gen de la EH mutado. Quiere encontrar herramientas para reducir los niveles del gen EH mutado, preservando al mismo tiempo el gen normal que tiene funciones importantes. Su equipo tiene tres clases de fármacos con composiciones químicas diferentes y todos hacen lo mismo, ayudan a las células a reducir los niveles del gen EH mutado.

14:56 - Ahora estamos en la sesión de pósters, donde se presentan y discuten más de cien proyectos interesantes sobre la EH.

16:18 - **El Dr. Steve Goldman**, de la Universidad de Rochester está dando el discurso de apertura sobre nuevos modelos celulares para la comprensión de la enfermedad de Huntington. Nos dice que hasta hace poco se pensaba que el cerebro no podía generar nuevas neuronas, pero, hasta cierto, punto sí se puede (al menos en ratones). Estamos empezando a comprender cómo dirigir la producción de nuevas neuronas en el cerebro, incluso en ratones con EH. En ratones con EH, se ha observado que las nuevas neuronas producidas por las propias células madre del cerebro son capaces de reemplazar a las células perdidas en cierta medida. **Goldman** trató ratones con EH utilizando virus que introducen instrucciones para hacer nuevas neuronas y observó que viven más tiempo que los ratones no tratados (el trabajo de Goldman será publicado en breve en la revista “Cell Stem Cell” ¡y sin duda escribiremos un artículo HDBuzz sobre él!). Ya se había intentado sustituir células cerebrales por células madre de embriones antes, pero no funcionaba bien,

> « El grupo de Corey tiene tres clases de fármacos con composiciones químicas diferentes y todos hacen lo mismo: ayudan a las células a reducir los niveles del gen EH mutado. »

probablemente porque no sabíamos cómo cuidar a las células, alimentarlas o convertirlas en neuronas y conseguir que establecieran las conexiones adecuadas tras implantarlas en un cerebro con EH. **Goldman** dice que ahora estamos adquiriendo una mejor comprensión de cómo los trasplantes de células podrían funcionar (pero aún no estamos listos para nuevos ensayos clínicos). El cerebro contiene muchos tipos de células, las neuronas que dirigen el pensamiento son las más famosas, pero hay un montón de otro tipo de "células de apoyo". Un tipo de célula de "apoyo" se llama astrocito. Las células de embrión humano que se inyectan en el cerebro de un ratón pueden sustituir a las propias células del ratón. En la EH podría ser bueno trasplantar células madre embrionarias y esperar que reemplacen a los astrocitos del paciente con EH. Los astrocitos ayudan a desarrollar la actividad eléctrica de las neuronas, así que tener astrocitos sanos podría ser bueno para un cerebro con EH. Hay que tener en cuenta que estos experimentos con humanos y ratón no se han probado aún en ratones con EH, sólamente en ratones sanos por el momento. Pero hay cosas innovadoras. **Goldman** y otros tienen mejores recetas para generar "neuronas espinosas medianas" a partir de células madre. Estas son los que mueren temprano en la EH.

18:12 - **George Yohrling** del HDSA anuncia un programa de Becas de Investigación sobre Biología Humana. Se financia la investigación centrada en el paciente con EH.

Conclusiones

Es el final del segundo día y nos estamos adentrando cada vez más en el territorio de las ideas y los enfoques que se dirigen directamente al tratamiento de la EH, ahora o en el futuro. Sabemos, por conversaciones con familiares, lo frustrante que es escuchar constantemente que los tratamientos están cada vez más cerca, ya que todos los miembros de una familia con EH quieren oír que tenemos un tratamiento que funciona ahora. Lo único que podemos hacer es hacernos eco de las palabras de Robert Pacifici, director científico de CHDI: "Los fármacos están llegando".

Hoy hemos oído hablar de muchos tratamientos, algunos **muy** cerca de ser ensayos clínicos, otros más exploratorios y experimentales. Los cazadores de fármacos llaman a esto una "tubería llena", que simboliza un floreciente y saludable programa de investigación, con el potencial de ofrecer medicamentos diseñados para la EH que realmente podrían funcionar y deberían seguir mejorando con cada año que pasa. Mañana, en el último día de la reunión, los científicos de CHDI darán noticias muy esperadas acerca de sus programas internos que persiguen algunos de los objetivos más candentes para la terapia de la enfermedad de Huntington.

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

Glosario

enfermedad de Parkinson enfermedad neurodegenerativa que, como la EH, implica

problemas de coordinación motora
proteína huntingtina Proteína producida por el gen de la EH
células madre células que se pueden convertir en diferentes tipos de células
terapias tratamientos
agregados Grumos de proteínas que se forman dentro de las células en la enfermedad de Huntington y otras enfermedades degenerativas
Sinapsis lugar de la conexión entre dos neuronas en el cerebro
embrión fase más temprana del desarrollo de un bebé, cuando éste sólo está formado por unas pocas células.

© 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 27 de abril de 2017 — Descargado desde https://es.hdbuzz.net/124