

## ¿Podría un "servicio de transporte al cerebro" hacer llegar los fármacos para la enfermedad de Huntington a donde se necesitan?



El "transporte cerebral" de Roche hace que los fármacos pasen la barrera ¿podría funcionar con el silenciador génico?

Por Dr Jeff Carroll el 31 de enero de 2014

Editado por Dr Ed Wild; Traducido por Asunción Martínez

Publicado originalmente el 20 de enero de 2014

---

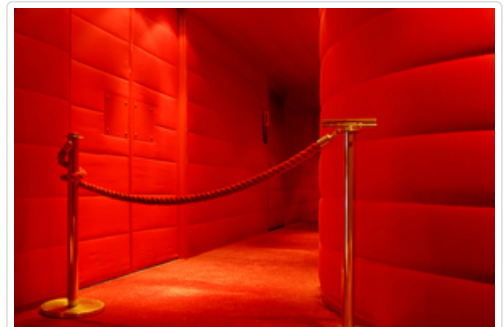
*El gigante farmacéutico Roche describió recientemente una nueva tecnología de administración de fármacos que ellos llaman el "transporte al cerebro". ¿Por qué se ha mencionado la enfermedad de Huntington en tantos comunicados de prensa acerca de esta tecnología y qué podemos esperar conseguir con este nuevo avance?*

### Barrera hematoencefálica

El desarrollo de cualquier nuevo fármaco es una tarea difícil, con unos índices de fracaso muy altos. Los estudios sugieren que, dado el número de costosos ensayos de medicamentos que son negativos, los costes de cada éxito se elevan a ¡mil millones de dólares para llegar al mercado!

Si si esto suena mal, es aún más difícil en el caso de los científicos que quieren desarrollar fármacos para enfermedades cerebrales como la enfermedad de Huntington. En parte, esto es debido a la enorme complejidad del cerebro y a sus muchos misterios todavía por resolver. Pero otra complicación es la existencia de algo llamado la *barrera hematoencefálica* la cual actúa como un exigente filtro, o un portero estricto de un club nocturno, que excluye a la mayoría de las sustancias del cerebro si no están en la 'lista de invitados'.

Dada lo importante que es el cerebro para nuestra supervivencia y lo frágiles que son nuestros cerebros, la barrera hematoencefálica es una defensa importante contra las sustancias tóxicas y las criaturas extranjeras para que no consigan llegar al cerebro. El inconveniente de este enorme muro entre el cerebro y la sangre es que es muy difícil diseñar fármacos que entren en el cerebro.



El cerebro es muy estricto a la hora de dejar pasar componentes químicos a través de la barrera hemática. Muy pocas sustancias se encuentran en la lista de invitados del cerebro.

Parcialmente como consecuencia de esta barrera, la falta de efecto de los medicamentos para

enfermedades cerebrales es aún mayor de lo que es para otras enfermedades.

## Anticuerpos para la enfermedad de Alzheimer

Teniendo en cuenta la cantidad de personas que se ven afectadas por ella, la enfermedad de Alzheimer es un blanco tentador para el desarrollo de fármacos para las compañías farmacéuticas. Cualquier empresa especializada que tuviera la suerte de desarrollar un fármaco eficaz para la enfermedad de Alzheimer podría cosechar enormes ganancias.

Una teoría importante entre los científicos que trabajan en la enfermedad de Alzheimer es que los problemas de memoria y de pensamiento que las víctimas sufren son causadas por la acumulación de unos agregados de proteínas que se llaman **placas**. Estas placas se acumulan en el espacio entre las células del cerebro y parecen estar asociadas con la muerte y el mal funcionamiento de las células del cerebro que las rodean.

En modelos de ratón de la enfermedad de Alzheimer podemos eliminar estas placas cerebrales tomando prestada una técnica del sistema inmunológico. Cuando nuestros cuerpos son invadidos por los organismos causantes de enfermedades, nuestro cuerpo se defiende mediante el desarrollo de un **anticuerpo**, que es esencialmente un sensor a la medida que reconoce al invasor y llama al sistema inmune para eliminarlo.

Los científicos han desarrollado anticuerpos que reconocen las placas que se encuentran en el cerebro de pacientes con enfermedad de Alzheimer y les ayudan a eliminarlas. Al menos en ratones, esto se traduce en una mejora en el pensamiento y de la memoria.



El transporte funciona, aumenta la entrada del anticuerpo en el cerebro y ayuda a eliminar las placas cerebrales en los ratones tratados.

## ¿Por qué necesitamos un transporte al cerebro?

Problema resuelto, ¿no? Bueno, no. En primer lugar, no está claro a partir de los ensayos que se han realizado hasta el momento si la reducción de placas en el cerebro humano va a ser tan beneficiosa para los pacientes con enfermedad de Alzheimer, ya que se ha realizado en ratones.



En segundo lugar, los anticuerpos son moléculas grandes y la barrera hematoencefálica no los deja entrar en el cerebro cuando son inyectados en el torrente sanguíneo. Aunque no está claro que esta sea la razón por la que estos fármacos han fallado en la enfermedad de Alzheimer, esta limitación ciertamente no ayuda.

El gigante farmacéutico Roche acaba de describir una nueva tecnología que ellos llaman el **transporte al cerebro**, que está diseñado para ayudar a resolver este problema. En un artículo reciente describen la aplicación de esta técnica en una terapia con anticuerpos para la enfermedad de Alzheimer.

Debido a que el cerebro necesita nutrientes específicos y otras sustancias de la sangre, existe una forma de bombeo activo de estas sustancias deseadas en el cerebro. Mediante el secuestro de una de estas vías específica - la que lleva el hierro al cerebro - Roche espera poder colar una molécula del fármaco a través de la barrera hematoencefálica.

Los científicos de Roche tomaron un anticuerpo que elimina las placas para la enfermedad de Alzheimer y lo colocaron en el servicio de transporte al cerebro, con la esperanza de que sería transportado al interior del cerebro junto con el hierro. Y funcionó, aumentando la cantidad de anticuerpos que entraron en el cerebro y ayudaron a eliminar las placas cerebrales en los ratones tratados.

De hecho, los científicos han estado utilizando este truco en el laboratorio durante décadas. Lo que Roche ha desarrollado es una manera más eficiente de conseguir que el transporte al cerebro vaya de la sangre al cerebro, donde es necesario.

## ¿Qué tiene esto que ver con la EH?

Muchas notas de prensa anuncian la posible aplicación de esta tecnología a otras enfermedades, como la enfermedad de Huntington. Ya en abril de 2013 Roche emocionaba a la comunidad EH con el anuncio de un gran acuerdo con Isis Pharmaceuticals, una compañía de biotecnología de California que trabaja en los fármacos silenciadores del gen de la EH.



El “transporte cerebral” de Roche une una molécula del fármaco a otra que está en la “lista de invitados” del cerebro, favoreciendo que entre desde la sangre.

Al igual que los anticuerpos que las compañías farmacéuticas han desarrollado para la enfermedad de Alzheimer, los fármacos silenciadores del gen que Isis y otras empresas están desarrollando para la EH son grandes, y tendrá problemas para cruzar la barrera hematoencefálica. Esperamos que futuros estudios demuestren que el transporte al cerebro de Roche pueda acelerar la entrada de fármacos antisentido y tal vez otros, en el cerebro, donde se necesitan para la EH.

## Para llevar a casa

Este estudio describe una buena herramienta que añadir a la caja de herramientas que tienen los investigadores que luchan por conseguir que grandes moléculas entren en el cerebro. En teoría, podría ser muy útil para los tratamientos para la EH, como el silenciamiento del gen que dependen de moléculas grandes que tienen dificultades para llegar al cerebro. Hasta ahora, nadie ha probado el transporte al cerebro para entregar los fármacos específicos para la EH, ya sea en modelos animales o en los seres humanos, pero seguro que será prioritario en la agenda de Roche y de sus colaboradores.

---

*El Dr. Carroll ha colaborado desde el punto de vista científico con Isis Pharmaceuticals, que se*

*menciona en este artículo. Esta compañía continúa proporcionando apoyo no económico a la investigación de su laboratorio, pero no ha tenido ninguna influencia en la redacción o en el contenido de este artículo. El Dr. Wild no tiene ninguna relación con Isis o con Roche. Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes*

---

## **Glosario**

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

---

© 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](http://hdbuzz.net)

Generado el 23 de julio de 2017 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/154>