EuroBuzz 2014: segundo día

Informe de HDBuzz sobre el segundo día de ciencia en la reunión del Grupo Europeo de EH en Barcelona

Por Dr Jeff Carroll | 29 de octubre de 2014 | Editado por Professor Ed Wild

Traducido por Asunción Martínez
Publicado originalmente el 20 de septiembre de 2014

Esta es la segunda retransmisión en directo de Ed y Jeff desde la reunión EHDN 2014. Mañana haremos nuestro último resúmen y pronto os haremos llegar un video con nuestras actuaciones en el escenario.

07:59 - los científicos que estudian la EH, al igual que muchas personas que trabajan en campos de alta tecnología, se están ahogando en los datos generados por sus experimentos

08:00 - La sesión científica de hoy comienza con una conferencia sobre “biología de sistemas”, técnicas computacionales para ayudar a entender los datos, por Christian Neri

Ralf Reilmann y otros investigadores anuncian CINCO nuevos ensayos clínicos para la EH

08:02 - **Christian Neri** abre el segundo día del EHDN14. Neri dice que la biología de sistemas puede vincular los experimentos realizados en diferentes especies animales. Él llama a los vínculos entre las especies ‘genes cremallera’. ¿Cómo podemos entender algo si

los ordenadores generan gigabytes o incluso terabytes de datos de los experimentos sobre la EH? El equipo de Neri no sólo trabaja con sus propios “grandes datos”, sino que utilizan técnicas para analizar los datos generados por los científicos de todo el mundo.

08:58 - A continuación se celebra una sesión sobre ensayos clínicos. Prepárense para una noticia emocionante.

09:02 - Ahora comienza una sesión emocionante sobre el presente y el futuro de los ensayos clínicos en la EH, ¡por lo que estamos todos aquí! EHDN ha creado un grupo de trabajo dedicado a los ensayos clínicos, un grupo de expertos para ayudar a diseñar y realizar ensayos clínicos en la EH. El grupo de trabajo de los ensayos clínicos del EHDN está pensado para ayudar a los nuevos grupos a diseñar y realizar buenos ensayos para la EH.

09:23 - **Bernhard Landwehrmeyer** presenta en la reunión el estado en el que se encuentra el estudio “Pride-HD” con pridopidina. La Pridopidina, antes conocida como “Huntexil” mostró mejoría motora en 2 estudios anteriores (HART y MermaiHD). El estudio Pride-HD está dirigido por Teva Pharmaceuticals y está respaldado por EHDN.

09:34 - **Jan Vesper** está realizando un estudio sobre la “estimulación cerebral profunda” en la EH - estimulando unas regiones específicas del cerebro con electrodos. Han implantado electrodos en 6 pacientes que fueron seguidos durante 12 meses, algunos de los cuales mostraron mejoría de los síntomas motores. A partir de estos resultados, Vesper está comenzando un estudio más grande con 40 pacientes en 4 países europeos llamado HD-DBS.

09:42 - **Ralf Reilmann** expone el estudio de EHDN llamado ‘Legato-HD’, un ensayo clínico con un fármaco llamado Laquinimod administrado a pacientes con EH. Laquinimod es un medicamento que bloquea un proceso llamado ‘inflamación’, que ocurre en el cerebro de los pacientes con EH. Laquinimod ha sido probado en pacientes con esclerosis múltiple, otra enfermedad en la que hay inflamación y muerte de neuronas. Legato-HD se ha diseñado para estudiar si Laquinimod es seguro en pacientes con EH y si mejora los síntomas motores. El estudio incluirá participantes con síntomas iniciales de la EH. El estudio TRACK-HD ha ayudado a diseñar el estudio LEGATO-HD y otros ensayos clínicos. Si bien el estudio se centra en los síntomas motores, también se llevarán a cabo una serie de pruebas de imagen cerebral. Ralf Reilmann dice “En EHDN, todos estamos involucrados en todos los ensayos”.

> **«¡Qué sesión! Se ha hablado de muchos nuevos estudios. Es un buen tiempo para la investigación sobre la EH. »**

09:53 - **Christina Sampaio**, de la Fundación CHDI, hace una actualización de una clase de medicamentos llamados “inhibidores de PDE10”. Actualmente hay 2 compañías farmacéuticas (Omeros y Pfizer) que están interesadas en fármacos inhibidores de PDE10. El estudio Omeros incluirá 120 pacientes con EH en los EE.UU., con el objetivo principal de

establecer si es seguro, pero también mirará a los síntomas de la EH. El estudio de Pfizer ("APACHE") incluirá 56 pacientes en Francia, e incluye imágenes de la función cerebral. Un segundo ensayo de Pfizer comenzó hace 2 días, llamado "Amarylis", e incluirá pacientes en los Estados Unidos, Canadá, Alemania y Polonia. En una primera fase del estudio Amarylis se realizan imágenes del cerebro, lo que permite a los investigadores ver el efecto del fármaco en el cerebro de los pacientes.

10:05 - **Sarah Tabrizi** expone la situación del primer estudio sobre silenciamiento del gen de la EH en seres humanos, ¡una noticia realmente emocionante! Isis Pharmaceuticals ha desarrollado unos medicamentos llamados "oligonucleótidos antisentido" que disminuyen el nivel de la proteína de la EH. Cuando se administran estos "ASOs" en el cerebro de modelos de ratón con EH, mejoran. Isis ha desarrollado un medicamento específico, llamado "HttRx", que está pensando para administrarlo a los pacientes con EH mediante infusión en el líquido cefalorraquídeo. Actualmente, Isis está terminando estudios de toxicidad en animales lo cual es importante para asegurarse de que el medicamento es seguro antes de administrarlo en seres humanos.

10:11 - **Sarah Tabrizi**: El primer estudio está "centrado en la seguridad", diseñado para asegurar que la administración de ASOs en el cerebro no perjudica a los pacientes. La inyección de un fármaco en el líquido cefalorraquídeo ya se utiliza en estudios de cáncer. Los ASOs que se administran en el líquido cefalorraquídeo llegan al cerebro. El plan es administrarlos de manera intermitente, en lugar de hacerlo de forma constante. Isis está trabajando en otra enfermedad, la atrofia muscular espinal (AME), con la administración de medicamentos similares a los niños con técnicas similares. A los niños con AME se les ha administrado un fármaco muy similar al HttRx y fue seguro. A más de 70 pacientes con AME se les ha dado ASOs en el líquido cefalorraquídeo sin que hubiera efectos adversos. El estudio del tejido cerebral de un paciente con AME y tratado con ASOs demuestra que estos fármacos se propagan ampliamente por el cerebro. El estudio de silenciamiento del gen está previsto que comience en el primer semestre del 2015 y se centrará en la seguridad por encima de todo. Los ASOs no penetran muy bien en el cuerpo estriado, una región del cerebro de particular interés en la EH, pero se extienden ampliamente en la corteza. El objetivo del primer estudio de los ASOs en la EH es asegurarse de que sean seguros.

10:17 - ¡Guau, qué sesión! Se están exponiendo tantos estudios emocionantes. ¡Es un gran momento para la investigación en la EH!

12:06 - A lo largo de la tarde se habla de los síntomas de la EH fuera del cerebro, una parte poco estudiada, pero importante, en la EH.

12:07 - **Gill Bates** del King College de Londres presenta sus conclusiones sobre las alteraciones en el músculo del corazón en ratones con EH. Ella ha estado interesada durante mucho tiempo en los síntomas de la EH en todo el cuerpo y utiliza modelos de ratón de la enfermedad para su estudio. Cuando se observa de cerca la EH en el laboratorio, se

ven cambios en los ratones con EH en una serie de tejidos - la grasa, la piel, el hígado y otros órganos. Los ratones con EH tienen cambios en su función cardíaca con el tiempo, en comparación con los ratones sin EH. Pero ¿qué importa esto? ¿los pacientes con EH tienen problemas de corazón? Existe cierta evidencia de que los pacientes con EH con frecuencia mueren de enfermedad cardíaca y tienen la función cardíaca ligeramente alterada.

En Barcelona se celebra la reunión plenaria del Grupo Europeo de Huntington del 2014

12:18 - **Gill Bates** también está interesada en los cambios en los músculos esqueléticos de los ratones con EH, en los que se reduce la masa muscular a medida que envejecen. En general, conocemos bien cómo se alargan y se contraen los músculos, pero ¿este conocimiento puede ayudarnos a entender lo que está pasando en la EH? Está usando fármacos experimentales en sus ratones para tratar de ver si se puede evitar la pérdida de masa muscular, que se observa en la EH. Los ratones con EH tratados no pierden nada de peso, mientras que los ratones no tratados pierden una cantidad significativa. Los músculos de los ratones tratados no se deforman, mientras que sí lo hacen los músculos de los ratones EH. Sorprendentemente, los ratones con EH tratados con medicamentos que mejoren la función muscular realizan mejor las pruebas de movimiento.

12:40 - **Maria Björkqvist** de la Universidad de Lund es otra investigadora dedicada a la EH. Björkqvist ha estado examinando las muestras de tejido adiposo tomadas de pacientes con EH, para ver si la mutación las modifica. Se ven diferencias en la activación y desactivación de algunos genes en el tejido adiposo de los pacientes con EH. Los cambios asociados al tejido adiposo de los pacientes con EH podrían ser importantes porque muchos pacientes con EH pierden peso.

13:01 - **Michael Orth** de Ulm presenta los resultados del primer estudio molecular 'multi-tejido' o estudio MTM de la EH. El estudio MTM tomó muestras de piel, sangre, grasa y tejido muscular de los mismos pacientes, para estudiar los efectos de la mutación. Lo que

Orth ha observado hasta ahora, es que el tejido muscular de los pacientes con EH ¡es completamente normal! Pero puede haber cambios sutiles todavía por encontrar. Establecer lo que es normal en la EH es tan importante como encontrar lo que es anormal.

16:29 - Estamos preparando algo especial para nuestra actuación en el escenario dentro de una media hora

17:09 - Acabamos con el Prof. Bernhard Landwehrmeyer (presidente del Grupo Europeo de la enfermedad de Huntington) al que le lanzamos un pastel en la cara en apoyo de la lucha contra la EH http://youtu.be/CjvcnnUoJ9E

17:18 - Otro pastel a la cara del Dr Jeff Carroll (co-fundador de HDBuzz) en apoyo de la lucha contra la enfermedad de Huntington http://youtu.be/LD9SpD1Plyg

---

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

---

GLOSARIO

estimulación cerebral profunda estimulación directa del cerebro utilizando impulsos eléctricos mediante diminutos electrodos

esclerosis múltiple una enfermedad cerebral y de la médula espinal en la que el daño es producido por episodios inflamatorios. Al contrario que en la EH, la EM no es hereditaria

Objetivo principal La pregunta fundamental en un ensayo clínico

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

inflamación Activación del sistema inmune, que se cree que está implicado en el proceso de la EH

PDE10 una proteína cerebral que puede ser un buen objetivo de fármaco y biomarcador para la enfermedad de Huntington. El PED10 se encuentra exclusivamente en las partes del cerebro donde las neuronas mueren en la EH.

ASOs Un tipo de tratamiento mediante el silenciamiento del gen con moléculas de ADN diseñadas para desactivar el gen

© HDBuzz 2011-2024. 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 11 de enero de 2024 — Descargado desde https://es.hdbuzz.net/175

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.