



Novedades en la investigación de la EH.

En lenguaje sencillo. Escrito por científicos.

Para toda la comunidad EH.

[Novedades](#) [Glosario](#) [Sobre](#)
[Sobre](#)

[Las personas](#) [Preguntas frecuentes](#) [Legal](#) [Financiación](#) [Compartir](#) [Estadística](#) [Temas](#) [Contacto](#)

[Siga](#)

[Siga](#)

[Twitter](#) [Facebook](#) [Fuentes RSS](#) [Correo electrónico](#)

[Buscar en HDBuzz](#)


Buscar en HDBuzz 

 [español](#)

[español](#) 

[čeština](#) [dansk](#) [Deutsch](#) [English](#) [español](#) [français](#) [italiano](#) [Nederlands](#) [norsk](#) [polski](#) [português](#) [svenska](#) [русский](#)  [中文](#) 

[Para más información ...](#)

 **¿Está buscando un logo?** Puede descargar nuestro logo y consulte [compartir la página](#) para informarse sobre cómo utilizarlo.

Más allá de los titulares: Los resultados del ensayo clínico con cistamina

Los resultados de la fase 2/3 del ensayo clínico no resultaron concluyentes para el uso de la cistamina en la EH.



Por [Melissa Christianson](#) 09 de enero de 2016 Editado por [Dr Jeff Carroll](#) Traducido por [Asunción Martínez](#) Publicado originalmente el 18 de diciembre de 2015

A principios de diciembre, la compañía farmacéutica Raptor publicó los resultados de un [ensayo clínico](#) donde se estudiaba un fármaco llamado cistamina en la enfermedad de Huntington. Los titulares en los medios de comunicación son fuertes por eso HDBuzz quiere contar lo que realmente significan estos resultados para la comunidad Huntington.

¿Los ensayos clínicos y las granadas?

Aunque no lo parezca los ensayos clínicos y las granadas tienen algo en común. Al igual que conseguir los sabrosos granos del corazón de una granada requiere que se retire con cuidado la piel y las membranas, conseguir llegar a los resultados de un [ensayo clínico](#) requiere diseccionar con cuidado las noticias.

Al igual que llegar al corazón de una granada requiere diseccionar con cuidado la cáscara y de las membranas, llegar al corazón de los resultados de ensayos clínicos requiere diseccionar cuidadosamente las noticias.

Imagen por: [Freelimages](#)

Ambos trabajos pueden ser complicados y farragosos, pero ¡no te preocupes! HDBuzz está aquí para ayudarte a ver tras el torbellino de las noticias y encontrar los hechos y entender lo que significan los resultados para la comunidad de la enfermedad de Huntington (EH).

Ya hemos escrito varias guías generales explicando [lo que es un ensayo clínico](#) y [cómo interpretar las noticias sobre ellos](#). De

todos modos, cada vez que empieces a leer sobre un [ensayo clínico](#), debes recordar por qué se ha realizado dicho estudio para empezar: **para comprobar si dicho fármaco mejora la EH**.

En este artículo vamos a aferrarnos a esta perspectiva al revisar los recientes resultados que aparecen en la prensa sobre el [ensayo clínico](#) recientemente realizado en la EH.

Un poco de historia

Los resultados que estamos analizando aquí provienen de un [ensayo clínico](#) en fase 2/3 para la EH dirigido por la Farmacéutica Raptor. En este estudio se probó la cistamina, un medicamento que ya superado algunos problemas previos en el proceso de aprobación de medicamentos, como tratamiento para retrasar la aparición de los síntomas en la EH. HDBuzz ha seguido este estudio desde su inicio y hemos escrito acerca de sus fundamentos en un [artículo anterior](#).

Por las pruebas de laboratorio sabemos que la cistamina - también conocida como RP103 - hace un montón de cosas buenas en el cerebro. Puede dejar de pegar proteínas que ensucian el cerebro, ayudar en la reparación de las células cerebrales, aumentar los niveles de una sustancia química que mantiene las células cerebrales sanas, y eliminar el exceso de metales tóxicos para el cerebro. En teoría, cualquiera (o todos) estos efectos podrían ayudar a retrasar la progresión de los síntomas de la EH en los seres humanos.

Debido a su duración, Raptor dividió este [ensayo clínico](#) en particular en dos partes. En la primera mitad, los participantes fueron asignados al azar para tomar cistamina o [placebo](#) dos veces al día. En la segunda mitad, a los que tomaban [placebo](#) se les administró cistamina (y las personas que ya estaban tomando cistamina siguieron tomándolo). De este modo se aseguró de si el fármaco tenía algún efecto beneficioso, lo seguirían tomando.

Al igual que muchos otros ensayos clínicos en la EH, el estudio de Raptor preguntó un montón de preguntas sobre si y cómo el fármaco afecta a los síntomas de la enfermedad de Huntington. La más importante de estas preguntas, a la que nos referimos como **objetivo primario** y que sirve como el estándar para medir el éxito global del estudio, se centró en los síntomas motores. En concreto, el objetivo primario consistía en demostrar si tomar cistamina frenaría la progresión de los síntomas motores que normalmente se producen en la enfermedad de Huntington. El estudio también evaluó si la cistamina afectó a otras cosas, como la función en general, la independencia y la seguridad.

Los resultados finales no alcanzaron la meta por poco

Lamentablemente, el estudio de Raptor estuvo cerca de conseguir llegar a su objetivo principal.
Imagen por: [Freelimages](#)

El estudio CYST-HD ha finalizado y sus resultados finales están disponible. A principios de diciembre, Raptor emitió un comunicado con un breve resumen de los resultados.

Para cualquier [ensayo clínico](#), los resultados más importantes son las relacionadas con la variable principal. Recuerde, este parámetro determina si nosotros - y agencias gubernamentales como la FDA que son en última instancia responsables de aprobar un medicamento para su uso en la EH - consideran el estudio un éxito o un fracaso total.

Por desgracia, el estudio CYST-HD no llegó a cumplir su objetivo primario. A pesar de que los síntomas motores en las personas que tomaron cistamina tendían a avanzar más lentamente que los de las personas que tomaron [placebo](#), este efecto no fue lo suficientemente grande o consistentes como para ser considerado [estadísticamente significativo](#) (luego explicaremos esto).

Además, si bien los efectos del fármaco sobre los síntomas motores eran más pronunciados cuando Raptor miró sólo un subconjunto específico de los participantes del estudio, seguían sin ser estadísticamente significativos.

Sin embargo, en combinación con algunas de las otras pruebas del estudio relativas a las medidas funcionales y a la independencia, estas sugestivas tendencias implican que la cistamina puede afectar sutilmente a la EH de una forma que no se evidencia en el análisis principal del estudio.

¿Ser [estadísticamente significativo](#) realmente importa?

Para dar sentido a lo que esta mezcla de resultados significa para la comunidad EH, es importante tener en cuenta nuestro punto de vista desde el principio de este artículo: **realizamos ensayos clínicos para probar si un medicamento mejora la EH**.

Todos nosotros - investigadores, compañías farmacéuticas, y en especial la comunidad de pacientes - realmente queremos encontrar medicamentos que modifiquen la EH. Sin embargo, este deseo a veces puede ponernos en peligro de apostar por tendencias que no son reales o, peor aún, apostando en un medicamento que no funciona realmente.

La estadística ayuda a mitigar estos riesgos y nos dice si los resultados que vemos en un [ensayo clínico](#) son creíbles o por el contrario probablemente debidos a una casualidad.

Armados con el conocimiento adquirido del estudio CYST-HD, Raptor cree que ha aprendido lo suficiente para diseñar un nuevo estudio con una mayor posibilidad de éxito.
Imagen por: [Freelimages](#)

Cuando decimos que los resultados en la variable principal en el estudio de Raptor no eran “estadísticamente significativos”,

entonces, esto va a misa. Esto significa que los efectos del fármaco en estudio podrían fácilmente haber sido una casualidad. Matemáticamente hablando, la cistamina no afectó a los síntomas de Huntington de forma diferente que un [placebo](#). Por lo tanto, incluso después de los 3 años de duración del estudio, **todavía no tenemos evidencia de que la cistamina mejore la EH**.

¿Y ahora a dónde vamos?

A pesar de que el estudio de Raptor no alcanzó su objetivo primario, todavía podemos sacar dos conclusiones interesantes y potencialmente importantes del mismo.

En primer lugar, el estudio nos dio indicios dispersos de que la cistamina podría retrasar sutilmente algunos síntomas de la EH en algunos individuos. Por lo tanto, sería posible centrarnos en estos efectos, tal vez mirando en una población de pacientes ligeramente diferente o haciendo diferentes preguntas acerca de cómo el fármaco afecta a los síntomas de la EH. En segundo lugar, el estudio confirmó que la cistamina tiene un buen perfil de seguridad en pacientes con EH, lo que significa que no causa efectos secundarios intolerables en las personas que lo toman.

Armado con este nuevo conocimiento, Raptor cree que puede haber aprendido lo suficiente para diseñar un nuevo estudio con cisteamina con una mayor posibilidad de éxito (es decir, un estudio en el que la cistamina frenaría la progresión de los síntomas más que lo hace un [placebo](#)).

No podemos predecir el futuro, así que no sabemos si un ensayo de este tipo sería un éxito. Sin embargo, la historia nos dice que el camino hacia cisteamina es difícil. Otros candidatos a fármacos para la EH, como la creatina y la CoQ10, que han fallado en los ensayos clínicos principales no les ha ido bien en las rondas posteriores de las pruebas clínicas. Estamos, pues, templando nuestro entusiasmo hacia un nuevo estudio con cistamina de forma moderada.

Mensaje para casa

Por supuesto que estamos decepcionados de que los resultados del estudio CYST-HD no fueran más positivos, pero es importante recordar que cada [ensayo clínico](#) en EH - incluso los que fracasan - nos proporcionan conocimiento y experiencia para hacer mejores ensayos futuros. Mirando más allá de los titulares para entender lo que los resultados de los ensayos clínicos realmente significan nos ayudará a pasar de falsos comienzos y hacia un tratamiento efectivo de la EH.

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



Temas
[Humano síntomas ensayo clínico](#)
[Más ...](#)

Artículos relacionados

[Los niños también pueden padecer enfermedad de Huntington](#)

18 de marzo de 2019

[Primeros síntomas de la EH y qué regiones del cerebro los controlan](#)

28 de enero de 2019

[Noticias decepcionantes del estudio LEGATO-HD sobre el uso de laquinimod en la enfermedad de Huntington](#)

03 de agosto de 2018

[Anterior](#)[Siguiete](#)

- Glosario
- **estadísticamente significativo** Con poca probabilidad de que haya sido debido al azar, según el análisis estadístico
- **ensayo clínico** Experimentos muy bien planeados diseñados para responder determinadas preguntas sobre cómo afecta un fármaco a humanos
- **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.
- [Puede encontrar más definiciones en el glosario](#)

Novedades en la investigación de la EH.

En lenguaje sencillo. Escrito por científicos.

Para toda la comunidad EH.

HDBuzz

[Novedades](#)

[Destacados con anterioridad](#)

[Sobre](#)

[Colaboradores financieros de HDBuzz](#)

[Páginas que han incorporado el contenido de HDBuzz](#)

[**new_to_research**](#)

Las personas

[Conoce al equipo](#)

[Ayúdanos a traducir](#)

Siga HDBuzz

Suscríbase a nuestro resumen mensual por correo electrónico escribiendo su e-mail a continuación o elija otra opción en nuestra [lista de correo](#)



© HDBuzz 2011-2019. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una [Licencia Creative Commons](#).

HDBuzz no proporciona consejo médico. Por favor, consulte nuestros [Condiciones de uso](#) para más información.

© HDBuzz 2011-2019. 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 13 de abril de 2019 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/209>

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.