

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](#) [中文](#)

[Para más información ...](#)

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

Una nueva forma de pensar sobre los ensayos para prevenir la enfermedad de Huntington

¿Podemos probar fármacos para retrasar o prevenir la aparición de la EH? Un estudio sugiere que es posible.



Por [Dr Jeff Carroll](#) 12 de diciembre de 2017 Editado por [Dr Ed Wild](#) Traducido por [Asunción Martínez](#) Publicado originalmente el 27 de octubre de 2017

Un nuevo análisis de datos clínicos de los estudios TRACK-HD y COHORT propone una forma de diseñar ensayos clínicos diseñados para retrasar la aparición de la EH, en lugar de tratar los síntomas después de que ocurran.

¿Cuál es el historial de ensayos clínicos en la EH?

Los ensayos clínicos son experimentos realizados para ver si un nuevo tratamiento puede influir en el curso o la gravedad de la EH. La comunidad EH ha realizado muchos ensayos clínicos en los últimos 20 años (¡casi un centenar!), algunos de los cuales han identificado medicamentos para mejorar los síntomas (tetrabenazina y deutetabenazina), pero ninguno (¡todavía!) que prevenga o detenga la aparición de EH.

Un medicamento para retrasar o prevenir la enfermedad de Huntington sería genial. Esta nueva investigación sugiere una forma de probar dichos medicamentos de manera eficiente.

Hasta la fecha, casi todos los ensayos de fármacos para retrasar el proceso de la enfermedad se han llevado a cabo en personas que ya tienen síntomas de la EH, y solo unos pocos ensayos pequeños han intentado retrasar o prevenir el inicio de la EH en personas que portan la mutación, pero todavía no tiene síntomas.

¿Qué es un objetivo?

Para entender por qué es difícil ejecutar pruebas de prevención, y lo que este nuevo artículo nos enseña, debemos pensar en algo llamado **objetivo**. Un objetivo, en un [ensayo clínico](#), es el resultado que intentamos estudiar. Para muchos estudios de EH que se centran en los síntomas del movimiento, el objetivo es una puntuación que describe cuales son los síntomas del movimiento de un participante. Otros objetivos pueden centrarse en diferentes cosas, como la depresión en un medicamento diseñado para ayudar con los síntomas del estado de ánimo o el funcionamiento general de un medicamento destinado a desacelerar la progresión.

Para que una prueba sea exitosa, los investigadores deben definir el objetivo de su estudio antes de tiempo. Luego ejecutan el estudio, miden su objetivo predeterminado y determinan si su terapia cambió su objetivo o no.

La reciente prueba First-HD de deutetrabenazina es un buen ejemplo. Los investigadores determinaron previamente que medirían los síntomas del movimiento en grupos de pacientes con EH tratados con deutetrabenazina, y definieron exactamente la cantidad de mejoría que se debería ver para una prueba exitosa. Al final, el medicamento sí mejoró los síntomas, el ensayo “cumplió su objetivo” y la FDA aprobó el medicamento para la EH.

Ahora imagine que desea evitar o retrasar la aparición de la EH, en lugar de tratar un síntoma. Toma a su grupo de personas que portan la mutación de la EH pero todavía no tienen síntomas. Se les administra el medicamento experimental, y luego ... ¿qué? Por definición, los voluntarios todavía no tienen síntomas de la EH, por lo que no hay síntomas que observar. ¿Cómo podemos saber si el medicamento está funcionando?

Préstamo de estudios de cáncer

«Los investigadores pudieron demostrar que un medicamento razonablemente potente para prevenir la aparición de la EH podría ser probado en menos de 400 personas »

Este problema no es exclusivo de la EH: muchas enfermedades tienen dificultades similares para diseñar ensayos preventivos. En el cáncer, por ejemplo, el objetivo de un nuevo tratamiento podría ser retrasar la aparición de algún evento, como una cirugía o incluso la muerte, en lugar de tratar un síntoma específico. Los investigadores del cáncer, en particular, han utilizado este tipo de [ensayo clínico](#) recientemente, que se conoce con el nombre técnico de **supervivencia libre de progresión**.

La matemática detrás de la supervivencia libre de progresión es un poco complicada, pero la idea es muy simple. El objetivo de dicho estudio es establecer el tiempo promedio que tarda un evento predefinido en ocurrir. En la EH, ese evento podría ser el diagnóstico formal de los síntomas por un médico. También podría ser el momento hasta que algún otro evento ocurra, como el desarrollo de una cierta cantidad de síntomas de movimiento.

Aplicando esta idea a la EH, los investigadores que quieran ejecutar un ensayo para retrasar la aparición de la EH tomarían dos grupos de voluntarios sin síntomas, le darían a un grupo un fármaco experimental, le darían al otro grupo un [placebo](#) y verían cuánto tarda el evento en suceder en cada grupo.

Este tipo de diseño suena genial, en teoría, pero ¿funcionaría en realidad para la EH?

Nuevo análisis

Afortunadamente en la EH, tenemos excelentes fuentes de datos para que investiguen los investigadores. Dos estudios a largo plazo con portadores de la mutación de la EH, TRACK-HD y COHORT, se diseñaron para rastrear los cambios en las personas que portan la mutación de la EH, incluidas las que aún no tienen síntomas. Si bien hubo algunas diferencias entre los estudios, la idea central fue lo suficientemente similar entre los estudios para hacer comparaciones útiles.

Un equipo de investigadores, dirigido por Jeff Long (Universidad de Iowa) y Sarah Tabrizi (University College London), decidió utilizar estos conjuntos de datos existentes para comprender si un tipo de prueba **de supervivencia libre de progresión** funcionaría en la EH.

Necesitamos diseñar ensayos clínicos cuidadosamente, para que puedan probar los medicamentos de manera efectiva en el menor número posible de personas, en el menor tiempo posible

Por supuesto, para este análisis, los investigadores no tienen un medicamento mágico que retrase la aparición de la EH. Sin embargo, pueden usar los datos de TRACK-HD y COHORT en una especie de simulacro de análisis de lo que sucedería si existiera tal droga, y si tuviese un rango de efectos, de pequeño a grande.

Usando su experiencia en los ensayos clínicos con EH, los investigadores asumieron que un ensayo que use estos nuevos objetivos de supervivencia libres de progresión duraría 3 años y que aproximadamente 1 de cada 10 participantes abandonaría. Teniendo en cuenta estas suposiciones, los investigadores pudieron demostrar que un medicamento razonablemente potente para prevenir el inicio de la EH podría ser probado en menos de 400 personas. Eso parece realmente alcanzable, lo cual es una gran noticia.

Mensaje para llevar a casa

Este nuevo análisis nos enseña algunas cosas importantes. Primero, es importante que las familias EH se involucren en cualquier investigación que puedan. Los participantes en TRACK-HD y COHORT no tenían idea de que sus datos se utilizarían con este inteligente nuevo análisis cuando se ofrecieron como voluntarios para estas investigaciones. El proceso de investigación es acumulativo, y todo lo que aprendemos sobre la enfermedad de Huntington de los pacientes nos permite presionar más, aplicar nuevas herramientas y hacer nuevas ideas.

En segundo lugar, esta investigación proporciona evidencia excelente de que la comunidad EH podría completar con éxito un

ensayo de supervivencia libre de progresión. La comunidad ha llenado una cantidad de pruebas de hasta 400 personas, lo que demuestra a los potenciales patrocinadores de los ensayos que esto es algo que podemos lograr.

Mientras tanto, la búsqueda de un medicamento para probar con este tipo de prueba continúa. Este año y el siguiente son emocionantes para los medicamentos, sobre todo los medicamentos reductores de huntingtina. Con suerte, en poco tiempo, un ensayo para prevenir la aparición de la enfermedad de Huntington incorporará estos nuevos métodos para el diseño de ensayos clínicos.

Ed Wild, quien editó este artículo, es investigador principal en UCL Huntington's Disease Center, donde trabaja la profesora Tabrizi, autora principal de la investigación discutida. El Dr. Wild no participó en la investigación y no discutió el artículo con la Profa. Tabrizi o cualquier otra persona involucrada en el trabajo. [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)



Más información

[Artículo original publicado en JAMA Neurology por Long y sus colegas. \(para conseguir el artículo completo hay que suscribirse o pagarlo\)](#)

Temas [observacional desarrollo de fármacos ensayo clínico](#)

[Más ...](#)

Artículos relacionados

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

28 de enero de 2019

[Primero Dolly y ahora Piglet; confirmado un nuevo modelo knock-in de cerdo para la enfermedad de Huntington](#)

09 de agosto de 2018

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

03 de agosto de 2018

[Anterior](#)[Siguiente](#)

- Glosario
- **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/247>

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.