

uniQure obtiene luz verde para reanudar las pruebas de la terapia génica en la EH

Tras una pausa de 3 meses debido a problemas de efectos secundarios, uniQure compartió la buena noticia de que su prueba de la terapia génica AMT-130 para la EH continuará según lo planeado, con nuevas medidas de seguridad



Por [Dr Leora Fox](#)

25 de marzo de 2023

Editado por [Dr Rachel Harding](#)

Traducido por [Asunción Martínez](#)

Publicado originalmente el 3 de noviembre de 2022

En agosto de 2022, uniQure anunció una pausa en el reclutamiento para su nuevo ensayo clínico con AMT-130, una terapia génica para la EH administrada mediante cirugía cerebral. La decisión se tomó después de que 3 de los 14 participantes que habían recibido una dosis alta del medicamento experimentaron efectos secundarios graves después del procedimiento. La Junta de Monitorización de Seguridad de Datos (DSMB) del ensayo, un panel independiente de expertos que rastrean la seguridad del medicamento durante el ensayo, ha estado revisando cuidadosamente los datos de seguridad desde agosto. Recientemente determinaron que las cirugías con dosis altas pueden continuar de nuevo, con un poco de monitorización adicional de los participantes. Hablemos de esta noticia y lo que significa para AMT-130 en el futuro.

¿Qué es AMT-130?

AMT-130 es la primera terapia génica diseñada para la enfermedad de Huntington. Las terapias génicas utilizan material genético creado por el hombre para disminuir el daño causado por un gen defectuoso o ausente. AMT-130 es una terapia de “una sola inyección”, lo que significa que solo debe administrarse una vez y los efectos son permanentes.



Esta esperanzadora noticia de uniQure muestra que un obstáculo en la investigación clínica

no siempre es el final del camino para ese fármaco o terapia.

Imagen por: [TaraPatta](#)

En el caso de AMT-130, las instrucciones para bloquear el mensaje genético de la huntingtina están empaquetadas dentro de un virus inofensivo. Este virus se administra en diferentes partes del cerebro a través de una cirugía con agujas ultrafinas, de modo que el fármaco se propaga por todo el cerebro.

El resultado es que muchas células cerebrales producen menos proteína huntingtina, con el objetivo de retrasar la progresión de la enfermedad de Huntington. AMT-130 puede reducir la huntingtina en animales con éxito, y hay un ensayo en curso en personas.

Un resumen de lo que sabemos sobre el estudio

Desde mediados de 2020, uniQure ha estado realizando una prueba de seguridad, conocida como estudio de Fase I/II, de AMT-130. Este es un estudio muy pequeño, en el que participaron 26 personas en los EE. UU. y otras 15 en Europa.

En EEUU se administra placebo, lo que significa que 10 de los que se someten a la cirugía tendrán un procedimiento “simulado”, en el que no recibirán AMT-130. De los 16 que reciben AMT-130, 6 personas recibirán una dosis baja y 10 una dosis alta. En Europa, no hay placebo, y 6 personas recibirán una dosis baja y 9 una dosis alta de AMT-130.

En junio de 2022, uniQure compartió una actualización positiva sobre el primer año de datos del grupo de dosis baja del ensayo de EE. UU. La dosis baja de AMT-130 parecía segura con efectos secundarios limitados, y hubo signos tempranos de reducción de la huntingtina en algunos participantes para los que había datos disponibles.

Luego, en agosto, llegaron noticias más complicadas: en el grupo de dosis alta, 3 personas experimentaron problemas neurológicos graves después de la cirugía. Por recomendación de la Junta de Monitorización de Seguridad de Datos (JMSD), uniQure detuvo nuevas cirugías de dosis alta. En ese momento, 24 de los 26 participantes planificados del ensayo en EE. UU. ya se habían sometido a cirugía y 10 de 15 en Europa. Anunciaron que se tomaría una decisión sobre los próximos pasos más adelante en el otoño, para darle a la JMSD la oportunidad de revisar los datos más a fondo.

Lo que aprendimos de la actualización reciente

Desde agosto, la JMSD ha estado realizando una revisión más exhaustiva de los datos. El 2 de noviembre, uniQure compartió un comunicado de prensa, así como una declaración dirigida a las familias con EH. Primero, compartieron que los efectos secundarios graves ahora han desaparecido en esos tres participantes con dosis alta. En segundo lugar,

informan a la comunidad que las cirugías con dosis alta restantes se llevarán a cabo según lo planeado. Los 2 participantes estadounidenses restantes ya se han incluido en la prueba, y uniQure espera incluir a los 5 participantes europeos finales para la primera mitad de 2023.

Finalmente, uniQure compartió lo que la JMSD recomendó para las cirugías restantes: después del procedimiento, los participantes serán monitorizados más de cerca durante 2 semanas, incluida una visita en persona el día 7 después del procedimiento. Esto ayudará a los médicos del estudio a decidir si recetar medicamentos para ayudar a controlar cualquier reacción inmunitaria en las semanas posteriores a la cirugía. Esto es probablemente lo que causó los efectos secundarios graves, como hinchazón, confusión y dolores de cabeza.

Avanzando y esperando más noticias

El mensaje general para la comunidad EH es que el estudio de AMT-130 de uniQure procederá según lo planeado. Lo que esto significa es que uniQure todavía está en camino de anunciar los últimos datos del estudio de EE. UU. en el segundo trimestre de 2023. Con más datos, es probable que obtengamos una mejor idea de si AMT-130 podría probarse de manera segura en un ensayo más amplio para la EH, uno que probaría su eficacia en el entrecimiento de los síntomas de la EH.

La forma en que se implementó y levantó esta pausa en el estudio demuestra la importancia de la monitorización independiente de los datos, que se reañiza en cada ensayo clínico. En este caso, la pausa permitió a la JMSD investigar más a fondo y recomendar cambios que mantendrían a los participantes más seguros. Eso es absolutamente primordial para todos los que nos beneficiamos de la investigación médica, especialmente para las personas valientes que son las primeras en recibir una terapia experimental sin precedentes.

Sobre todo, esta noticia trae esperanzas renovadas e ilustra que un obstáculo en la investigación clínica no siempre es el final del camino.

La Dra. Leora Fox trabaja en la Huntington's Disease Society of America, que tiene relaciones y acuerdos de confidencialidad con compañías farmacéuticas, incluida uniQure. La Dra. Rachel Harding no tiene conflictos de intereses que declarar. [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)

GLOSARIO

Proteína huntingtina Proteína producida por el gen de la EH

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

terapias tratamientos

eficacia Una medida de si un tratamiento funciona o no

Placebo Un placebo es una medicina falsa 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.

© HDBuzz 2011-2025. 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 15 de mayo de 2025 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/337>