

Neurociencias prepara el ensayo clínico con pacientes para lograr el fármaco contra la ELA - Diario Información - 17/12/2017



Salvador Martínez, en primer término, en el laboratorio de Neurociencias, donde investigan terapias para frenar la ELA. RAFA ARJONES

La gran desconocida que mata las motoneuronas

► «No sabemos qué es lo que causa la ELA, por lo que no lo podemos atacar», indica el director del Instituto de Neurociencias, Salvador Martínez. «Realizamos ensayos genéticos y tóxicos porque sabemos que las neuronas mueren por una alteración genética o porque algún agente tóxico las mata. En el caso de la ELA mueren las motoneuronas», indica. «Lo único que sabemos es que es más frecuente en personas que realizan una gran actividad física, pero no el motivo», añade. «El problema es que cuando llega el diagnóstico muchas neuronas ya están muertas y queda poca reserva funcional», lamenta. Las consecuencias son la pérdida paulatina de movilidad afectando al final al habla y a la respiración.

Neurociencias prepara el ensayo clínico con pacientes para lograr el fármaco contra la ELA

► La terapia con células madre por vía intramuscular ha funcionado en ratones y no produce daño en humanos, por lo que los investigadores quieren probar su beneficio clínico en el Hospital General de Alicante

SOL GIMÉNEZ

■ Un posible tratamiento para frenar los síntomas que produce la Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) mejorando y alargando la calidad de vida de los pacientes. Ese es el objetivo de un grupo de investigadores del Instituto de Neurociencias, con su director, Salvador Martínez, a la cabeza. Para ello van a optar a dos convocatorias de ayudas con las que pueden acometer un ensayo clínico con personas.

Sus estudios con terapias avanzadas génicas y celulares abren una puerta a la esperanza en el tratamiento de esta enfermedad incurable que afecta a unas 4.000 personas en España y de la que cada año se diagnostican 900 casos nuevos. «Se trata de retrasar el avance de la ELA y la aparición de síntomas graves que acaban con la calidad de vida de los enfermos, es decir, de cronificar la enfermedad como pasa con el cáncer, no de curarla», señala Martínez.

El reto ahora es realizar un ensayo clínico con pacientes tras demostrar primero con ratones y después con un número muy reducido de personas que el trata-



Investigadoras que trabajan en el proyecto de terapia celular. RAFA ARJONES

miento con células madre sacadas de la médula ósea del propio paciente funciona y no produce daños. «En la fase preclínica y la fase uno del ensayo hemos visto

que la terapia celular administrada por vía intramuscular mejora el músculo que la recibe comparándolo con el que no la recibe», explica el responsable de la investi-

gación. Por eso ahora quieren pasar a la fase dos. Esta fase, cuyo objetivo es demostrar el beneficio clínico de la terapia, se realizaría en el Hospital General de Alicante

y en el Virgen de la Arrixaca de Murcia -donde se llevó a cabo la fase uno- y en ella podrían participar entre 20 y 40 pacientes. Martínez precisa que en este ensayo se pincharían dos músculos, uno con la terapia celular y otro sin ella y sería «doble ciego», es decir que ni el paciente ni el propio médico sabría en qué músculo se ha inyectado la terapia. Los resultados se compararían y se realizaría un seguimiento a los pacientes durante dos años.

El problema es que un ensayo de este tipo es caro. «Con menos de 200.000 euros no lo podemos realizar porque se producen gastos médicos en los hospitales», calcula el director del Instituto de Neurociencias, centro mixto del CSIC y la Universidad Miguel Hernández de Elche (UMH).

La buena noticia es que el Instituto de Salud Carlos III acaba de abrir una convocatoria de ayudas precisamente para ensayos clínicos no comerciales en fase dos por valor de un millón de euros tras años de «sequía» por la crisis. Y la Fundación Luzón -fundada por el alto directivo de banca Francisco Luzón, enfermo de ELA- también ha convocado ayudas para la investigación por valor de 500.000 euros. A ambas opta Neurociencias, que sabrá a mediados de enero si ha resultado beneficiaria y puede realizar el ensayo.

Si el equipo de Martínez consigue probar el beneficio clínico de la terapia todavía quedaría una tercera fase de ensayo multicéntrico para probar la medicación en un gran número de pacientes, incluso a nivel internacional, y si ésta resulta positiva ya se puede considerar terapia y todos los enfermos tendrían derecho a recibir el tratamiento en cualquier hospital.