

3ª Conferencia: 22 de Marzo, "Nuevas Terapias de la ATAXIA". Moderadora de la sesión: la Dra. Eulalia Bazán, Servicio de Investigación del Hospital Ramón y Cajal de Madrid.

Dr. ALBERTO MARTÍNEZ SERRANO, Centro de Biología Molecular Severo Ochoa.

Habló sobre la terapia celular con células provenientes de ratones abortados, de las posibilidades que se están consiguiendo, de los múltiples inconvenientes todavía no resueltos, y de todo lo relacionado con la terapia celular. Aunque lamentó no hacerse suficiente investigación básica sobre este tema en proporción a las expectativas creadas, se congratuló del enorme número de excelentes investigadores y de laboratorios que han tomado como tema central esta clase de investigaciones, lo cual repercutirá positivamente en ir solucionando los problemas actuales.

Células embrionarias: Hace 3 o 4 años se implantaron en ratas células inmaduras capaces de generar células maduras en el cerebelo, algunas de las cuales se mantenían (tremenda capacidad de proliferación): De momento llevan con estas células 5 años y aún no han perdido su capacidad de procrear, o sea, es alentador.

Estas células se sacan del interior del blastocito (células troncales). Estos tipos de células, implantadas, provocan tumores cerebrales constituidos por muy diversos tipos de tejidos (realmente los tejidos que aparecen en el embrión).

Células del sistema nervioso: Estas células pierden la capacidad de proliferación (difíciles de cultivar). Son obtenidas del cordón fetal, pero la ventaja es que no generan vísceras. Estas células se modifican por sí solas, y solamente alcanzan año y medio de vida.

Dr. FRANCISCO WANDOSELL, Centro de Biología Molecular Severo Ochoa.

Expuso algunos aspectos de la terapia génica, sus investigaciones con el virus del herpes como vector para introducir genes en las neuronas, y la posibilidad de introducir los de la frataxina y del IGF1. Estos trabajos actuales están dando resultados muy satisfactorios en ratas. Estudian mecanismos de neurodegeneración. Remarca la importancia de tener modelos de ratones transgénicos para generar nuevos fármacos. Actualmente ése ya no es un problema en el caso de la Ataxia de Friedreich.

El problema de los fármacos contra las ataxias está en que éstos tienen que pasar la barrera hematoencefálica, cosa que no es fácil.

Actualmente, hay muchos laboratorios trabajando en terapia génica. Con ella, utilizando virus modificados para que sean capaces de llevar el gen hasta el núcleo celular, pero sin capacidad de producir enfermedad (es decir quitarles la patogeneidad), se pretende dar a la célula la proteína que le falta para restituir la función perdida. Se está trabajando con esta

técnica en ratones transgénicos de Ataxia de Friedreich y de otras enfermedades del cerebro. Se ha implantado en el interior del cerebelo, concretamente en la zona llamada oliva inferior, el virus una sola vez y funciona durante 40 a 60 días (más días no siguieron comprobándolo), ya que el virus se transmite de una a tres neuronas sin generar muerte en ninguna.

Una de las ventajas de esta tecnología, cuando se mejore el vector (el virus portador del gen) para las enfermedades del sistema nervioso, es que las neuronas no se reproducen por lo que no es tan complicado como en otras células, que al generarse nuevas células, no se reproduce también el gen introducido previamente. Otra ventaja es que el gen trasplantado no se integra en el cromosoma, pero se regula de la misma forma que si estuviera formando parte del cromosoma.



Dr. ENRIQUE ENRÍQUEZ, Neurorrehabilitador del Hospital de La Laguna (Tenerife).

El Dr. Enríquez dio una brillante conferencia sobre las técnicas de rehabilitación utilizadas habitualmente y cómo en determinados movimientos, estos pueden mejorarse por repetición, y cómo ha tenido casos de personas con cáncer de cerebelo, que una vez éste curado, se han rehabilitado totalmente. Es decir, para él la rehabilitación se ha de hacer en cualquier situación y circunstancia para mejorar o al menos para mantener las capacidades residuales de los enfermos de ataxia y poder permanecer el mayor tiempo posible con autonomía personal.



Dr. PIERRE RUSTIN, Investigador, Hospital Necker Enfants Malades.

El Dr. Rustin basó su metodología en una breve exposición seguida un turno para contestar a las preguntas realizadas por los asistentes a la reunión.

Habló de los efectos de la idebenona y que actúa donde tiene que actuar. Sobre la función de la frataxina explicó que, aunque no está definitivamente determinada, parece que es una señal celular de que hay un problema en la oxidación.

Respecto al posible nuevo fármaco que se estaba probando en Nueva Zelanda, llamado "mitoquinona", dice que no ha dado los resultados que esperaban y que, por tanto, queda descartado como un futuro nuevo fármaco para frenar los síntomas de la Ataxia de Friedreich.

Su grupo está trabajando con varias sustancias para intentar formar un gran antioxidante, pero esto llevará años. Se quiere intentar dar a los pacientes de Ataxia de Friedreich idebenona combinada con otras moléculas que refuercen el efecto de ésta, para así poder observar si hay mayor mejoría que con la idebenona sola.

Han observado que en algunos casos aislados, y sin que se conozcan los motivos, los pacientes a pesar de tomar dosis de 10 mg/kg/día, al realizarles análisis de sangre, no había residuos del fármaco. No conocen a qué puede haber sido debido: a que no se haya producido la absorción del medicamento, o bien que el hígado lo haya destruido.

También comentó que el ensayo más grande realizado con idebenona en Ataxia de Friedreich ha tenido lugar en Francia (112 pacientes). Este gran ensayo ha sido el que ha obtenido un mejor resultado favorable. Otro estudio, realizado por alemanes, lo ha hecho por muy poco tiempo y los resultados han sido negativos, pero cree que ni por pequeño número de pacientes ni por la escasa duración del tratamiento puede considerarse un criterio científico.

Las jornadas fueron clausuradas por D.^a Lola Rosique (en representación de los pacientes), D.^a Carmen Laguna (como Secretaria de la Asociación de Ataxias de Fuenlabrada), y D.^a Teresa Fernández González y D.^a Lucila Corral (como representantes de la Corporación Municipal de Fuenlabrada).