

Una nueva y prometedora terapia para tratar la esclerosis múltiple y la neuromielitis óptica

## **Empieza el ensayo clínico de una técnica pionera a nivel mundial para tratar la esclerosis múltiple, impulsado por la Obra Social "la Caixa" y la Fundación GAEM**

- La esclerosis múltiple (EM) afecta a 50.000 pacientes en España y a 2,5 millones en el mundo. Actualmente no existen terapias que curen esta enfermedad. Las que existen tienen numerosos efectos secundarios y son eficaces en las fases iniciales, pero no con la enfermedad avanzada.
- La terapia antígeno específica, con células dendríticas tolerizadas, es una terapia personalizada, lo que la hace más eficaz y con menor riesgo de efectos secundarios para los pacientes de EM y de neuromielitis óptica (NMO). Y cuenta con el aval de expertos de primera línea internacional como los profesores Lawrence Steinman de la Universidad de Stanford, Roland Martin de la Universidad de Zúrich y Pere Santamaria de la Universidad de Calgary.
- El tratamiento con células dendríticas tolerizadas, dirigido por el Hospital Clínic de Barcelona, ya ha sido probado con éxito en animales. El ensayo en pacientes se realizará de julio a diciembre de 2015, posteriormente se llevarán a cabo los ensayos en el ámbito europeo, y se espera que a mediados de 2018 pueda llegar a ser aplicado en pacientes con EM y NMO.
- La investigación parte de la experiencia previa de la terapia con células dendríticas, que ha destacado por su buena tolerancia y resultados prometedores con otra enfermedad autoinmune, la enfermedad de Crohn.

**Barcelona, 21 de julio de 2015.** Enric Banda, director del Área de Ciencia y Medio Ambiente de la Fundación Bancaria "la Caixa"; Vicens Oliver, presidente de la Fundación GAEM, y Daniel Benítez e Irati Zubizarreta, investigadores del ensayo

clínico del IDIBAPS – Hospital Clínic de Barcelona, han explicado hoy en el Palau Macaya de la Obra Social "la Caixa" la nueva terapia antígeno específica, con células dendríticas, para pacientes de esclerosis múltiple (EM) y de neuromielitis óptica (NMO).

La Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) acaba de aprobar el ensayo clínico de esta terapia en humanos. La investigación sobre la terapia antígeno está dirigida por el Hospital Clínic de Barcelona e impulsada por la Fundación Grupo de Afectados de Esclerosis Múltiple (GAEM), y cuenta con el impulso de la Obra Social "la Caixa". Este tratamiento supone un gran avance para la comunidad científica y para los pacientes de EM y NMO, ya que constituye una técnica pionera a nivel mundial para obtener más eficacia y la minimización de los efectos secundarios.

### **Novedades de la terapia antígeno específica con células dendríticas**

La investigación proviene de una decisión conjunta entre la Fundación GAEM y los investigadores del IDIBAPS – Hospital Clínic de Barcelona, liderados por el Dr. Pablo Villoslada y el Dr. Daniel Benítez. Esta tecnología ha sido desarrollada por el grupo de investigación de la Unidad de Digestivo del Hospital Clínic de Barcelona, dirigido por el Dr. Julià Panés. Este mismo grupo realizó un ensayo clínico en 2011 con células dendríticas tolerizadas en pacientes con enfermedad de Crohn, obteniendo unos resultados significativos. Así pues, se aprovechó el mismo protocolo y la experiencia generada para adaptarlo a la EM y a la NMO, porque estas patologías y la enfermedad de Crohn tienen en común que son enfermedades autoinmunes. Aun así, en la enfermedad de Crohn la diana es desconocida, y en la EM y la NMO solo se conoce en parte, de forma que la tolerancia va mucho más dirigida.

La terapia antígeno específica con células dendríticas representa un gran progreso en la investigación de la EM y la NMO, y tiene como objetivo modular las defensas de los pacientes de una forma muy específica y selectiva, para frenar la inflamación que causan las dos patologías, sin alterar el resto de defensas. Este tratamiento consiste en aislar y madurar en el laboratorio (sala blanca) un tipo de glóbulos blancos de la sangre, las células dendríticas, y enfrentarlas a porciones de proteínas de la mielina y de los astrocitos contra los que el sistema inmune de los pacientes reacciona de forma patológica.

La maduración de estas células las dirige a suprimir la respuesta inflamatoria, en vez de promoverla. Y lo hace de una forma específica solo para estas dianas, las proteínas del cerebro. De este modo, se frena la respuesta inflamatoria de cada paciente contra las proteínas cerebrales, sin afectar a otras respuestas del sistema

inmune necesarias para defenderse de las infecciones comunes o del cáncer. Al emplear células del mismo paciente y distintas porciones de proteínas del cerebro, se conseguirá un tratamiento personalizado, más eficaz y sin efectos secundarios.

Además, las características que se esperan de este tratamiento se fundamentan en el modelo animal, denominado *encefalitis autoinmune experimental*, en el que ya se han obtenido resultados positivos para el tratamiento de la EM y la NMO.

Doce pacientes con EM o NMO participarán en el ensayo clínico, y entre los criterios para ser incluidos en la prueba destacan los siguientes: edad comprendida entre 18 y 65 años, duración de la enfermedad superior a un año y grado de discapacidad entre 3,0-8,5 de la escala ampliada de estado de discapacidad (EDS, del inglés Expanded Disability Status Scale). Asimismo, algunos de los criterios para quedar excluidos de la prueba son: haber recibido tratamiento con corticoides o haber tenido un brote de la enfermedad durante el último mes; sufrir alguna enfermedad sistémica grave o tener antecedentes personales de cáncer; mujeres en edad fértil que no utilizan métodos anticonceptivos eficaces, embarazadas o lactantes.

Los resultados esperados del ensayo son mostrar una seguridad excelente (ausencia de efectos adversos moderados o graves) e identificar la eficacia del tratamiento en la respuesta del sistema inmune a las proteínas cerebrales. De esta forma podrían determinarse las dosis y el régimen terapéutico más adecuado para poder realizar un ensayo clínico de fase 2-3 en los próximos años que demuestre la eficacia del tratamiento y permita su aprobación para uso clínico.

### **Aplicación de la terapia en otras patologías**

Este mismo mes de julio se iniciará el ensayo clínico con 12 pacientes de EM y NMO para demostrar la eficacia y la seguridad de la terapia. Los investigadores prevén finalizar la investigación a finales de 2015. En el caso de que se cumplan todas las expectativas, será necesario realizar nuevos ensayos en el ámbito europeo, y se espera que a mediados de 2018 pueda ser aplicada en pacientes con EM y NMO.

El desarrollo de esta investigación no solo supone un gran avance para estas patologías, sino que se espera obtener resultados significativos de la terapia en humanos para aplicarla en otras enfermedades autoinmunes y reumatológicas, como las encefalitis autoinmunes, la artritis reumatoide, la psoriasis, etc.

## **La Obra Social "la Caixa"**

tiene un presupuesto de 500 millones de euros destinados a atender las principales necesidades de la sociedad. La superación de la pobreza y la exclusión, el fomento del empleo entre colectivos con dificultades, el envejecimiento activo de las personas mayores, el apoyo a la educación y la investigación, y la difusión de la cultura y el conocimiento son algunas de sus líneas de actuación prioritarias. En 2014, más de 9,5 millones de personas participaron en las actividades impulsadas por la Obra Social "la Caixa" en toda España

## **La Fundación GAEM**

La Fundación GAEM, con sede en el Parque Científico de Barcelona, se caracteriza por promover la investigación y la innovación, y tiene como principal objetivo conseguir la curación de la EM y la NMO. Con este fin impulsa proyectos de investigación mediante el modelo de aceleradora focalizada en EM y NMO, que permite identificar proyectos potentes, mejorarlos mediante la ayuda de mentores y del Comité Científico de la fundación, y acompañarlos en la búsqueda de financiación. Este modelo, que supone una nueva corriente en los Estados Unidos, actualmente está empezando a desarrollarse en Europa, y la Fundación GAEM es pionera en esta aproximación.

## **¿Qué es la esclerosis múltiple (EM)?**

La EM es una enfermedad degenerativa, crónica e inflamatoria del sistema nervioso central, que destruye la sustancia protectora (mielina) de las fibras nerviosas, encargada de aislar los nervios y de permitir que los impulsos nerviosos se transmitan correctamente.

La persona afectada de EM ve reducida su movilidad, llegando en los casos más severos a la invalidez. Se manifiesta en gente joven, en edades comprendidas entre 20 y 40 años. Es la segunda causa de discapacidad entre los adultos más jóvenes, después de los accidentes de tráfico. En España, existen alrededor de 50.000 personas afectadas de EM, de las que 7.000 se encuentran en Cataluña. En todo el mundo, existen 2.500.000 casos diagnosticados. La EM afecta aproximadamente a 1 de cada 1.000 personas, en particular mujeres.

## **¿Qué es la neuromielitis óptica (NMO)?**

La NMO o enfermedad de Devic es una forma de enfermedad desmielinizante, como la EM. Es una enfermedad rara (con una frecuencia menor de 1-2 por millón de habitantes), que afecta a todas las razas, especialmente asiáticos y africanos, al contrario que la EM, y más grave que esta. La NMO se caracteriza por brotes

graves de neuritis óptica (que pueden producir ceguera) y de mielitis (que suelen producir paraplejía o, incluso, tetraplejía). Por ello, los pacientes pueden ir acumulando secuelas graves debido a los ataques. No obstante, la NMO siempre se manifiesta en brotes y nunca es progresiva.

**Para más información:**

**Departamento de Comunicación de la Obra Social "la Caixa"**

Irene Roch: 934 046 027 / 669 457 094 / [iroch@fundaciolacaixa.es](mailto:iroch@fundaciolacaixa.es)  
[www.lacaixa.es/obrasocial](http://www.lacaixa.es/obrasocial)

**Departamento de Comunicación de la Fundació GAEM**

Lorena Rodríguez: 935 190 300 / [comunicacion@fundaciongaem.org](mailto:comunicacion@fundaciongaem.org)  
[www.fundaciongaem.org](http://www.fundaciongaem.org)