
Jesús S. Mora
Director

Delia Chaverri
María Hernández
Javier Mascías
Neurólogos

Yolanda Morán
Enfermera

Saúl Marín
Teresa Salas
Psicólogos

Susana Chajma
Rehabilitadora

Miguel Avenza
Ana I. Macías
Fisioterapeutas

Almudena Cordon
Logopeda

Esther Mongil
Terap. Ocupacional

Gumer Fernández
Nieves González
Nutricionistas

Jorge Carbó
Miriam Romero
Gastroendoscopistas

Begoña Sánchez
Irene Bregón
Neumólogas

Jesús Oliván
Marisa Cubero
Neurofisiólogos

Isabel Rodríguez
Trabajadora Social

Miguel Glez. Muñoz
Ana Rguez. Mahillo
*Bioquímica y
Genética Molecular*

Monserrat Carrillo
Ayudas Técnicas

Agustina Lázaro
Carmeli Gutierrez
Auxiliares Clínicas

NUEVO ENSAYO CLINICO EN PACIENTES CON E.L.A.

NOTA INFORMATIVA DE LA UNIDAD DE E.L.A. DEL HOSPITAL CARLOS III DE MADRID

Acaba de iniciarse un ensayo clínico multinacional para determinar la eficacia y seguridad de un nuevo fármaco, **dexpramipexole**, en 804 pacientes con esclerosis lateral amiotrófica (ELA) de 80 centros de EEUU, Canadá, Australia y Europa. En España participan el **Hospital Carlos III** y La Paz de Madrid, y los hospitales de Bellvitge y Val d'Hebron de Barcelona. Las empresas farmacéuticas promotoras del ensayo son las norteamericanas Biogen y Knopp.

El dexpramipexole es un nuevo fármaco que ha mostrado **propiedades protectoras neuronales** en diversos estudios de cultivos celulares y animales modelo. Su efecto parece deberse al **aumento de eficiencia de las mitocondrias**, las fábricas de energía celular. En los pacientes con ELA las mitocondrias de las motoneuronas, las células nerviosas que mueven los músculos, sufren un considerable estrés y desgaste energético que puede llevar al colapso celular.

En un ensayo clínico preliminar de fase II, fase en el que el primer objetivo es determinar la tolerancia y seguridad de diferentes dosis de una nueva molécula, el dexpramipexole mostró buena tolerancia y seguridad y, además, una tendencia a **enlentecer el deterioro funcional y a aumentar la supervivencia de los pacientes**, a la dosis de 150 mg dos veces al día. El limitado número de pacientes participantes y tiempo de estudio hace que sus resultados no sean definitivos.

Por ello se realiza el actual ensayo clínico de fase III, diseñada para determinar de forma definitiva si el dexpramipexole es beneficioso o no para los pacientes con ELA, siguiendo las **Normas Internacionales de Buena Práctica en Investigación Clínica**.

Afirmaciones sobre la eficacia de un supuesto tratamiento que no haya sido estudiado siguiendo las Normas Internacionales de Buena Práctica son, cuando menos, inciertas. Por desgracia, en la ELA y en otras enfermedades graves, las afirmaciones inciertas son frecuentes, y se anuncian tratamientos que no han demostrado su eficacia.

Para que sea posible el análisis de resultados, los pacientes participantes deben tener ciertas características clínicas comunes, son los criterios de inclusión y exclusión de un ensayo. Los más relevantes en el ensayo actual son que el tiempo transcurrido desde el **primer síntoma de debilidad sea menor de dos años**, que la capacidad respiratoria lenta sea superior al 65%, que no padezca otra enfermedad grave que pueda interferir en el tratamiento, y que sea capaz de ingerir la medicación por vía oral. Existen otros criterios que evalúa el investigador durante la visita inicial.

Cada paciente participante en el estudio recibirá el **tratamiento experimental de 12 a 18 meses**, durante los cuales debe ser evaluado en el centro cada dos meses por medio de escalas funcionales y mediciones de la fuerza muscular. Asimismo, se le harán análisis de sangre periódicos para vigilar la seguridad del fármaco.

El dextramipexole pertenece a un novedoso grupo de moléculas que actúan de forma neuroprotectora sobre las mitocondrias, las fábricas de energía celular. Es la **segunda molécula con acción sobre la mitocondria que se ensaya en la ELA**. La otra es *olesoxime*, de la empresa francesa Trophos. La posible eficacia de olesoxime en la ELA se está estudiando desde hace más de un año en un ensayo de fase III en 500 pacientes europeos de Francia, Alemania, Reino Unido, Bélgica y España. La Unidad de ELA del Hospital Carlos III de Madrid participa como único grupo español siendo, con 67 pacientes, el centro con mayor número de participantes. Sus resultados deben conocerse este otoño.

Personas y teléfonos de información:

Teresa Salas: 91 453 2595 por las mañanas

Yolanda Morán: 91 453 2799 por las mañanas

Madrid, 20 de abril de 2011