

Tendencias

Terapia con células madre logra frenar avance de males neurodegenerativos

R A partir de médula ósea del propio paciente, científicos lograron generar células que producen proteína que protege el cerebro.

R Tras realizar con éxito pruebas en animales, comenzarán estudio clínico en humanos con pacientes de Estados Unidos e Israel.

R La misma técnica podría ser utilizada para tratar otros males degenerativos, como parkinson y alzheimer.

Cecilia Yáñez

Stephen Hawking (**en la foto**) tenía 20 años, cuando comenzó a sentir los primeros síntomas de la enfermedad que hoy lo tiene en silla de ruedas y dependiendo de un programa computacional para comunicarse con el mundo exterior. Por entonces, se sentía cansado y algo torpe en sus movimientos. Al año siguiente y después de dos semanas de exámenes, los médicos le diagnosticaron Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA), una enfermedad degenerativa sin causa conocida, que ataca a las neuronas encargadas del movimiento, que permiten a las personas caminar, hablar o manipular objetos, entre otras actividades. Primero disminuye gradualmente su funcionamiento y luego las destruye, provocando en el paciente una parálisis muscular progresiva que termina en su muerte.

Hasta ahora, diversos trabajos con células madre -entre ellos, uno chileno- han intentado detener su avance, dotando al paciente de nuevas neuronas que repongan aquellas que mata la enfermedad. Ahora, un equipo de científicos de la U. de Tel Aviv dio un paso fundamental en el tratamiento de esta enfermedad, al crear una terapia con células madre que no sólo podría ser útil para los pacientes con ELA, sino también para que los que tienen parkinson.

El trabajo, que lleva más de 10 años de investigación, ya fue probado en ratones con éxito y ahora comenzarán las primeras pruebas en pacientes con ELA de Estados Unidos e Israel.

Protectores del cerebro
La técnica creada por los científicos Daniel Offen y Eldad Melamed permite convertir células madre obtenidas de la médula espinal del paciente en astrocitos: un tipo de célula capaz de producir las proteínas que protegen el cerebro humano de enfermedades neurodegenerativas.

En el laboratorio, los científicos comprobaron en animales que el trasplante de astrocitos no sólo mejoró la sobre-

vida de los roedores con esclerosis lateral amiotrófica, sino que retrasó significativamente el avance de la disfunción motora.

Esto se debería a que los astrocitos producen neuroprotectores que juegan un papel clave en esta enfermedad y también en otros males neurodegenerativos como el Parkinson, Huntington y alzheimer, por lo que esta terapia que comienzan ahora a probarse en pacientes de ELA de EE.UU. e Israel, podría ser útil para estos otros males.

De hecho, la investigación es la primera en demostrar su eficacia en varios modelos de enfermedades neurodegenerativas. "En animales, hemos sido capaces de demostrar que las células madre de médula ósea pueden prevenir la degeneración en el cerebro después de inyectarle neurotoxinas", dice Offen, en el *Journal of Stem Cells Reviews and Reports*.

Prometedor avance
Claudio Hetz, del Centro de Estudios Moleculares de la Célula (CEMC) y académico de la Facultad de Medicina de la U. de Chile, dice que la nueva terapia es muy prometedora, ya que no sólo cambia la línea de investigación al usar células del propio paciente, lo que evita que el cuerpo lo rechace, sino que el foco del tratamiento. "Hasta ahora, los estudios con células madre buscaban generar nuevas neuronas. Este, en cambio, viene a mejorar el bienestar de las neuronas que ya están".

Offen confirma esa tesis. Dice que la ventaja de la nueva terapia es que no sólo intenta aliviar los síntomas de la enfermedad -como lo hacen los tratamientos disponibles actualmente-, sino que busca reparar los daños provocados por la patología degenerativa.

Aunque no se entregan mayores detalles de cómo es la nueva terapia, ya que está en proceso de patentamiento, se sabe que los científicos lograron transformar las células madre extraídas de la médula ósea en astrocitos sin manipular el material genético de la célula misma. **b**



RR Stephen Hawking, en la foto, pertenece al 10% de pacientes con ELA cuyo origen es genético.

LAS CLAVES

Células madre del propio paciente

Cuando las células que se trasplantan son del propio paciente, se evita el rechazo que el organismo puede desarrollar ante un elemento extraño.

Nivel cognitivo normal

Los pacientes con ELA no ven afectada su actividad cognitiva, por lo que son plenamente conscientes de su deterioro físico. La parálisis total aparece sólo al final de la enfermedad.

De tecnología a producto

El trabajo de los investigadores de Tel Aviv se ha convertido en un producto clínico llamada NurOwn™, propiedad de la empresa BrainStorm Cell Therapeutics.

LAS CIFRAS

300

pacientes en Chile se calcula que sufren de ELA. En el 80% de los casos esta enfermedad es mortal.

Investigación en Chile

RR Hace tres años, un equipo de la UC trató a cuatro pacientes de ELA con células madre extraídas de su médula ósea que se podían convertir en neuronas. Lograron mejorar sus funciones motoras perdidas por un tiempo. Italianos habían hecho lo mismo en siete pacientes, con resultados a corto plazo. Actualmente, investigadores del Centro de Estudios Moleculares de la Célula (CEMC) trabajan en una terapia para disminuir

los síntomas de ELA y mejorar la calidad de vida de estos pacientes.

Según explica Claudio Hetz, director del Laboratorio de Estrés Celular del CEMC, una de las vías que están desarrollando es el uso de una molécula presente en algunos anfibios y plantas, conocida como trehalosa. Consumida como alimento o inyectada en la zona peritoneal se dirige directamente al cerebro y activa el proceso de autofagia de las neuronas

motoras, momento en el que éstas comienzan a limpiarse a sí mismas de las proteínas que se han acumulado y que dificultan su funcionamiento. Este equipo también trabaja en activar el mismo proceso de autofagia, pero mediante un virus modificado en laboratorio que actúe como medio de transporte para llevar un gen que al activarse, inicie el proceso de autolimpieza de las neuronas. En ambos casos, han realizado pruebas en animales.

5

años en promedio viven los pacientes después que son diagnosticados con ELA. En la mayoría de los casos se trata de hombres de más de 50 años.