

# Terapias con células madre en la EM



Producido en asociación entre







# Sumario

¿ Introducción	2
¿ Qué es la EM?	3
¿ Qué son las células madre?	4
¿ En qué consiste la terapia con células madre?	5
¿ Cómo pueden ayudar las células madre en la EM?	5
¿ Qué tipos de células madre se pueden usar para tratar la EM?	6
¿ Qué tipos de células madre son apropiadas para qué tipo de EM?	7
¿ Preguntas frecuentes	11
¿ Otros recursos útiles	16
¿ Participantes en el grupo de consenso sobre células madre	17

# Terapias con células madre en la EM

Las células madre como posible tratamiento de la esclerosis múltiple (EM) atraen mucho interés científico y mediático. Algunos informes científicos revelan hallazgos clínicos alentadores, pero se necesita trabajar mucho para probar si son efectivos y seguros para las personas con EM.

El uso de células madre en la EM es todavía experimental. No existe ninguna terapia con células madre comprobada y disponible para tratar la EM en ninguna parte del mundo.

### Acerca de este folleto

Este folleto se escribió para y conjuntamente con personas afectadas por EM. En el mismo, apuntamos a explicar los asuntos claves que giran en torno a las células madre y la EM.

Analizamos los beneficios que alguien puede esperar de una terapia con células madre y los diferentes tipos de células madre que se están investigando para tratar la EM. Destacamos porqué es importante hacer ensayos bien controlados en esta área, mientras que recalcamos que disuadimos convincentemente a la gente con EM de acercarse a “clínicas de células madre” que ofrecen “terapias con células madre” sin ser parte de un ensayo clínico oficial.

### El rol de las organizaciones de beneficencia de EM en la investigación de células madre

En mayo del año 2009, las asociaciones de EM del Reino Unido y EE.UU. celebraron una reunión internacional en Londres para llegar a un consenso sobre terapias con células madre en la EM.

Apoyaron ese evento las asociaciones de EM nacionales de Italia, Francia, Canadá y Australia y la Federación Internacional de EM (FIEM).

Se hicieron presente veintisiete expertos en células madre y EM, y también diecisiete representantes de organizaciones de beneficencia. Entre los mismos había muchas personas afectadas por EM.

### Como resultado de esa reunión ahora contamos con:

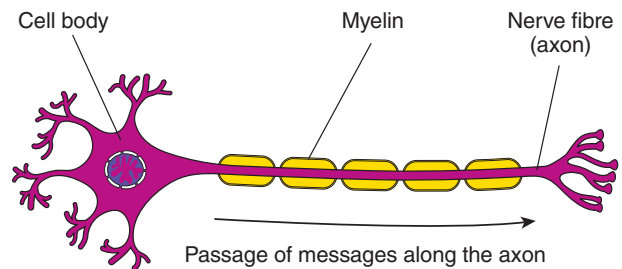
- Un acuerdo (“la declaración del consenso”) y directrices para investigadores y médicos clínicos. Esos documentos deberían fomentar la consistencia entre los estudios y acelerar el desarrollo de terapias potenciales.
- Este folleto informativo para personas afectadas por EM.

## Qué es la EM?

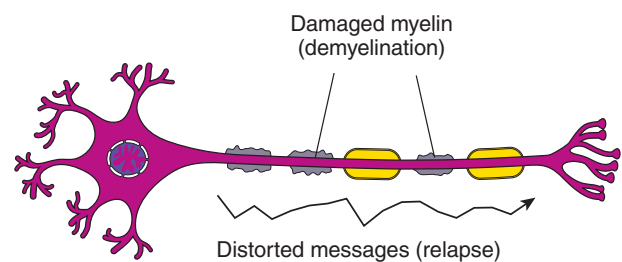
Se cree en general que la esclerosis múltiple es una condición autoinmune - el sistema inmunológico del cuerpo ataca por error, y posteriormente daña, la "vainas mielínicas" que protege a las células nerviosas del cerebro y médula espinal. Ese daño hace que los mensajes que llegan y salen del cerebro se demoren, distorsionen, o se detengan totalmente. Eso conduce a los síntomas de EM.

Se cree que el daño de la "vainas mielínicas" provoca "recaídas", o ataques de EM. Durante esos ataques, brotan los síntomas y pueden durar desde 24 horas hasta varios meses. Con el transcurso del tiempo, el daño o destrucción total de las fibras nerviosas en sí puede conducir a una "progresión" de la EM y un aumento de la incapacidad.

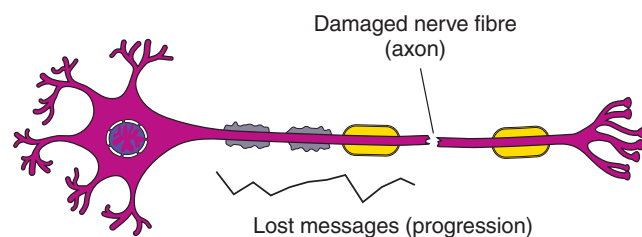
### Normal neuron



### Demyelination in MS



### Damage of nerve fibre in MS



## Existen tres tipos principales de EM

### EM remitente-recurrente (EMRR):

- Períodos de ataques agudos con síntomas de empeoramiento seguidos por la recuperación parcial o total (remisión)
- Alrededor de un 85 por ciento de personas con EM están diagnosticadas con EMRR.

### EM progresiva secundaria (EMPS):

- Después de un período inicial de EM remitente-recurrente, muchas personas desarrollan EM progresiva secundaria. La misma se caracteriza por una acumulación gradual de incapacidades, ya sea con o sin recaídas (EMPS con recaídas o sin recaídas).

### EM progresiva primaria (EMPP):

- Una acumulación gradual de incapacidad desde el comienzo, sin períodos distintivos de recaída ni remisión.
- Alrededor de un 10 a un 15 por ciento de personas con un diagnóstico de EM tienen esta forma de EM.

# Terapias con células madre en la EM

## ¿Qué son las células madre?

Hay dos conceptos que definen a las células madre:

- 1 Son capaces de “regenerarse” - lo que implica que pueden multiplicarse y reproducirse en grandes cantidades
- 2 Son capaces de “diferenciarse” - es decir, que pueden desarrollarse y transformarse en al menos dos tipos diferentes de células especializadas para cumplir una función específica.

Existe un número de diferentes tipos de células madre que se pueden reunir (o “cultivar”) en una variedad de fuentes. Todas son capaces de regenerarse. La diferencia entre las mismas reside en los tipos de células especializadas en que se pueden transformar; en cuánto se pueden “diferenciar”.

A continuación se describen cinco tipos de células madre

Stem cell	Source	Description
<b>Células madre adultas</b>	Componentes del humano adulto	Se encuentran en partes del cuerpo como ser la médula ósea y el cerebro. Son capaces de producir un número limitado de diferentes tipos de células especializadas. Eso depende de la parte del cuerpo en donde se cultivaron (por ejemplo, las células madre adultas desprendidas del cerebro producirán células cerebrales).
<b>Células madre embrionarias</b>	Embriones donados	Son capaces de producir la mayoría de tipos de células del cuerpo.
<b>Células madre fetales</b>	Fetos abortados donados	Se han desarrollado más que las células madre embrionarias y son un poco más especializadas; sus opciones son apenas más limitadas. Sin embargo, todavía son capaces de producir la mayoría de tipos de células del cuerpo.
<b>Células madre de la sangre del cordón umbilical</b>	Sangre del cordón umbilical donada	Son células madre parecidas a aquellas que se encuentran en la médula ósea. Son capaces de producir un número limitado de las células que se pueden encontrar en la sangre, por ejemplo, las células del sistema inmunológico.
<b>Células madre pluripotentes inducidas (iPS, por sus siglas en inglés)</b>	En algunas partes del cuerpo humano	Estas células madre se derivan de células totalmente especializadas y más viejas; por ejemplo, células de la piel, que se limitan naturalmente a ser únicamente células epidérmicas. Los científicos incentivan a que estas células limitadas actúen como células madre embrionarias nuevamente, y sean capaces de convertirse en cualquier tipo de célula humana. Esa es una técnica compleja que ha sido solo recientemente desarrollada y que está sujeta a muchas investigaciones en curso.

# ¿En qué consiste la terapia con células madre?

La terapia con células madre es un tratamiento que utiliza o tiene como objetivo el uso de células madre. Sirve generalmente para ayudar a reemplazar o reparar células o tejidos dañados, pero también puede usarse para evitar que ocurra el daño en primer lugar. La terapia con células madre puede consistir en el trasplante de células madre o en el suministro de medicamentos que se centren en las células madre ya existentes en el cuerpo.

Hay muy pocos tratamientos comprobados con células madre disponibles. La terapia con células madre usada más comúnmente es el trasplante de células madre en la médula ósea para tratar la leucemia, el linfoma y varios trastornos sanguíneos hereditarios.

**No existen tratamientos comprobados con células madre para la EM.**

# ¿Cómo pueden ayudar las células madre en la EM?

## Tratamientos

A partir de lo que sabemos hasta el momento sobre las células madre y la EM, existen dos formas principales de tratamientos potenciales para la EM que se pueden desarrollar:

**1 la inmunomodulación**, que evita el daño inmune del sistema nervioso

**2 la remielinización**, que consiste en reparar a la vaina mielínica que ya ha sido dañada

Esas dos terapias son consideradas como “neuroprotectoras” ya que el objetivo es proteger a las fibras nerviosas que se encuentran dentro de la vaina mielínica.

También se espera que finalmente las células madre puedan ayudar a reconstruir las fibras nerviosas perdidas. Eso podría reparar el daño causado en las etapas progresivas de la EM que resultan en la acumulación de incapacidad permanente. Sin embargo, hasta el momento no hay suficiente evidencia científica que demuestre que las células madre funcionen de esa forma. Los científicos a nivel mundial coinciden en que se necesita investigar mucho más sobre esta área desafiante y complicada antes de embarcarse en ensayos clínicos que apunten a la reconstrucción de las fibras nerviosas.

## Investigación en el laboratorio

Además de ser un tratamiento potencial para la EM en sí mismas, las células madre se pueden usar también para ayudar a identificar y desarrollar otros tratamientos nuevos para la EM. Las células madre son útiles porque son capaces de imitar aspectos de la EM en el laboratorio de modo que se pueden probar con más rapidez los medicamentos potenciales.

# Terapias con células madre en la EM

## ¿Qué tipos de células madre se podrían usar para la EM?

Hay varios tipos diferentes de células madre que han demostrado generar un beneficio potencial. Todas han sido estudiadas exhaustivamente en animales. Algunas de ellas ya se encuentran en las etapas iniciales de ensayos clínicos (ensayos que comprenden personas). Hasta que los ensayos no se hayan completado, no podremos saber con certeza si son efectivas o seguras.

### **Células madre hematopoyéticas (siglas en inglés: HSCs)**

Son células madre adultas que se encuentran en la médula ósea y la sangre. Son capaces de producir todas las células que forman la sangre y el sistema inmunológico.

Ya se utilizan para tratar la leucemia, el linfoma y varios otros trastornos sanguíneos heredados. Las células madre hematopoyéticas se están examinando en formas altamente activas de EM, donde se considera que pueden ayudar a prevenir el daño de la mielina al alterar la forma en que funciona el sistema inmunológico (“inmunomodulación”).

### **Células madre mesenquimales (siglas en inglés: MSCs)**

Son células madre adultas que se encuentran en varias partes del cuerpo incluyendo la médula ósea, el tejido epidérmico y graso. Producen células que ayudan a que otras células madre funcionen correctamente.

Las células madre mesenquimales se están examinando para tratar la EM. Se estima que pueden tener un efecto positivo a través de la “inmunomodulación” y que también podrían estimular los mecanismos de reparación propios del sistema nervioso para que reparen la mielina dañada (“remielinización”).

### **Células madre neurales (siglas en inglés: NSCs)**

Son las responsables de reparar a la mielina en el cerebro, pero cuando alguien tiene EM, las células madre neurales de esa persona no parecen funcionar bien, no se “activan” para reparar el daño que se ha provocado.

Existen dos enfoques que podrían corregir esa situación. Uno es a través del suministro de drogas para hacer que las células madre neurales ya existentes funcionen de forma más efectiva. El otro es a través del trasplante de células nuevas que repararán el daño que las células madre residentes del cerebro no pueden reparar.

Es probable que dentro de poco se comiencen a examinar las células madre neurales para tratar la EM. Se cree que las células madre neurales pueden tener efecto a través de la inmunomodulación y un efecto directo sobre la remielinización. Las células madre neurales se encuentran naturalmente en el cerebro, pero debido a la dificultad para el cultivo de células en el cerebro, se usan células madres fetales en los ensayos clínicos.

### **Células madre embrionarias y iPS (células madre pluripotentes inducidas)**

Las células madre embrionarias son capaces de producir naturalmente a todos los tipos de células del cuerpo. Las iPS también están diseñadas para hacer lo mismo.

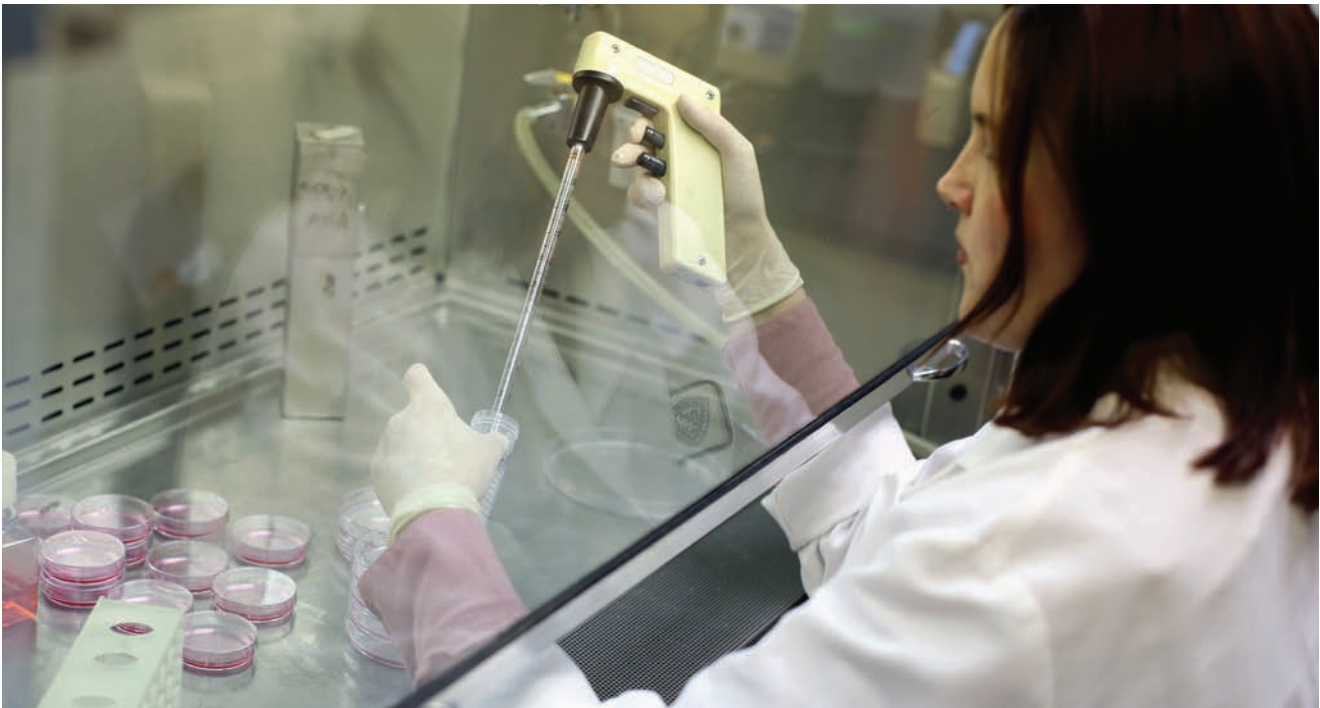
Esta es un área de investigación controversial e incierta ya que tanto las células madre embrionarias como las pluripotentes inducidas potencialmente pueden desarrollarse en tumores.

Sin embargo, se acepta en general que de corto a medio plazo, las células madre embrionarias y pluripotentes inducidas serán extremadamente útiles en el laboratorio, para identificar y examinar medicamentos potenciales antes de que se prueben en ensayos clínicos. Se exigen pruebas más seguras en los laboratorios antes de que esas células comiencen a ser examinadas como una terapia posible para la gente con EM.



# ¿Qué tipos de células madre son apropiadas para qué tipo de EM?

Sin primero hacer ensayos clínicos, es difícil predecir qué tipo de EM se beneficiaría con el trasplante de un tipo de célula madre en particular. Inicialmente, se examinarán las células madre en un número reducido de personas con el tipo de EM que responda positivamente con más probabilidad; eso es para demostrar que, en principio, las células madre funcionan. También es probable que quienes reciban primero las células madre sean las personas a las que las terapias existentes no les hayan hecho efecto. Sólo después de esos ensayos iniciales, se probarán tratamientos con células madre para analizar los beneficios en otros tipos de EM.



## Cómo se inyectan las células madre?

Al examinar las células madre como tratamiento potencial para la EM, se pueden inyectar de tres formas:

- intravenosa: inyectadas en la vena
- intratecal: inyectadas en el espacio alrededor de la columna vertebral
- intraparenquimal: inyectadas directamente en el cerebro

Es probable que el lugar donde se inyecten las células madre influya en cómo funcionan. Los métodos intratecales e intravenosos son, hasta el momento, los únicos usados para probar los tratamientos para EM, pero todos pueden cumplir un rol a medida que conocemos más acerca de las células madre.

# Terapias con células madre en la EM

Teniendo en cuenta la evidencia científica disponible, las siguientes tablas resumen el potencial probable de las diferentes células madre para cada tipo de EM y destacan lo que se está haciendo actualmente.

## EM remitente-recurrente

### **Células madre hematopoyéticas (siglas en inglés: HSCs)**

La inyección intravenosa de células madre hematopoyéticas es un tratamiento experimental usado, a veces, para la EM. Las células madre hematopoyéticas se extraen de la misma persona, también se las llama células madre “autólogas”. Esta terapia no está comprobada todavía y constituye un procedimiento riesgoso (con una tasa de mortalidad de uno a dos por ciento). Consecuentemente, sólo se utiliza para formas altamente activas de EM remitente-recurrente, las cuales no responden a las terapias disponibles.

Los ensayos clínicos (fase I, fase II, y fase III) están en marcha. El propósito de estos ensayos es evaluar la efectividad de las células madre hematopoyéticas como terapia para la EM y en identificar formas de reducir la tasa de mortalidad y demás efectos secundarios asociados.

El objetivo principal es la inmunomodulación, para evitar el daño inmune del sistema nervioso.

### **Células madre mesenquimales (siglas en inglés: MSCs)**

En ensayos clínicos (fase I) se investiga a las células madre mesenquimales autólogas inyectadas en forma intravenosa e intratecal. Sin embargo, es probable que esos ensayos se enfoquen en personas con EM progresiva secundaria en su etapa inicial. Las personas con EM remitente recurrente pueden beneficiarse a través de estos ensayos y esta forma de la enfermedad podría examinarse en una fecha posterior.

El objetivo principal es la inmunomodulación, pero es posible que las células madre mesenquimales puedan ayudar indirectamente con la remielinización, al reparar la mielina dañada.

### **Células madre neurales (siglas en inglés: NSCs)**

En un ensayo clínico (fase I) que estará en marcha dentro de poco tiempo, se investigará a las células madres neurales inyectadas en forma intratecal. Ese ensayo usará células madre neurales del feto, conocidas como células madre “alogénicas”. Sin embargo, es probable que esos ensayos se enfoquen en personas con EM progresiva secundaria en su etapa inicial, pero las personas con EM remitente recurrente pueden beneficiarse a través de esos ensayos y esta forma de la enfermedad podría examinarse más adelante.

El principal objetivo de usar células madre neurales intratecales es la remielinización. Quizás en el futuro, se hagan ensayos con células madre neurales inyectadas en forma intravenosa, donde el objetivo principal sea la inmunomodulación.

## EM progresiva secundaria

### **Células madre hematopoyéticas (siglas en inglés: HSCs)**

La inyección intravenosa de células madre hematopoyéticas es un tratamiento experimental usado, a veces, para la EM. Las células madre hematopoyéticas se extraen de la misma persona, también se las llama células madre “autólogas”. Es una terapia que todavía no está comprobada y constituye un procedimiento riesgoso (con una tasa de mortalidad de uno a dos por ciento). Consecuentemente, solo se utiliza para formas altamente activas de EM progresiva secundaria, las cuales no responden a las terapias disponibles.

Los ensayos clínicos (fase I, fase II, y fase III) están en marcha. El propósito de estos ensayos es evaluar la efectividad de las células madre hematopoyéticas como terapia para la EM y en identificar formas de reducir la tasa de mortalidad y demás efectos secundarios asociados.

El objetivo principal es la inmunomodulación, para evitar el daño inmune del sistema nervioso.

### **Células madre mesenquimales (siglas en inglés: MSCs)**

En ensayos clínicos (fase I) se investiga a las células madre mesenquimales autólogas inyectadas en forma intravenosa e intratecal. Probablemente, esos ensayos se enfoquen en personas con EM progresiva secundaria en su etapa inicial.

El objetivo principal es la inmunomodulación, pero es posible que las células madre mesenquimales puedan ayudar indirectamente con la remielinización, al reparar la mielina dañada.

### **Células madre neurales (siglas en inglés NSCs)**

En un ensayo clínico (fase I) que estará en marcha dentro de poco tiempo se investigará a las células madre neurales inyectadas en forma intratecal. Ese ensayo usará células madre neurales del feto, conocidas como células madre “alogénicas”. Probablemente, ese ensayo se enfoque en personas con EM progresiva secundaria en su etapa inicial.

El principal objetivo de usar células madre neurales intratecales es la remielinización. Quizás en el futuro, se hagan ensayos con células madre neurales inyectadas en forma intravenosa, donde el objetivo principal será la inmunomodulación.

### **Células madre embrionarias y iPS (células madre pluripotentes inducidas)**

A largo plazo, puede que estas células madre sean capaces de reconstruir a las fibras nerviosas que se perdieron con la EM progresiva. Sin embargo, actualmente no hay ensayos clínicos en marcha que utilicen las células madre embrionarias o pluripotentes inducidas para la EM. Es necesario seguir investigando para ayudar a averiguar los beneficios potenciales y la seguridad relacionada con estas células.

## EM progresiva primaria

### **Células madre hematopoyéticas (siglas en inglés: HSCs)**

No hay ensayos clínicos en marcha que utilicen células madre hematopoyéticas para la EM progresiva primaria así como tampoco existe evidencia científica que sugiera que las personas con EM progresiva primaria se beneficiarán con ese tratamiento.

### **Células madre mesenquimales (siglas en inglés: MSCs)**

Todavía no se sabe si las personas con EM progresiva primaria se beneficiarán con el uso de células madre mesenquimales; es necesario investigar más antes de comenzar con los ensayos clínicos.

### **Células madre neurales (siglas en inglés: NSCs)**

En un ensayo clínico (fase I) que estará en marcha dentro de poco tiempo se investigará a las células madre neurales inyectadas en forma intratecal. Ese ensayo usará células madre neurales del feto, conocidas como células madre “alogénicas”. Probablemente, ese ensayo se enfoque en personas con EM progresiva secundaria en su etapa inicial, y puede que conduzca a ensayos en el futuro para la EM progresiva primaria.

El principal objetivo de usar células madre neurales intratecales es la remielinización. Quizás en el futuro, se hagan ensayos con células madre neurales inyectadas en forma intravenosa, donde el objetivo principal será la inmunomodulación.

### **Células madre embrionarias y (iPS) células madre pluripotentes inducidas**

A largo plazo, puede que estas células madre sean capaces de reconstruir a las fibras nerviosas que se perdieron con la EM progresiva. Sin embargo, actualmente no hay ensayos clínicos en marcha que utilicen las células madre embrionarias o pluripotentes inducidas para la EM. Es necesario seguir investigando para ayudar a averiguar los beneficios potenciales y la seguridad relacionada con estas células.

## Preguntas frecuentes

### **Deberíamos estar investigando a las células madre?**

Sí. Los científicos de todo el mundo creen que existe suficiente evidencia para sugerir que las células madre reúnen un verdadero potencial como terapia para la EM. Esa evidencia proviene de investigaciones con animales y de un puñado de ensayos clínicos en etapas iniciales. Consideran que ahora es el momento para coordinar los esfuerzos en la investigación de células madre y para la lucha internacional que apoye a los ensayos clínicos con células madre para la EM.

### **¿Constituyen las células madre un tratamiento clínico comprobado para la EM?**

No. Actualmente no existen terapias con células madre comprobadas para la EM. Todas las terapias para la EM con células madre son en la actualidad terapias “aún no probadas”, “experimentales”. Eso significa que los doctores no saben si las células madre son efectivas para las personas con EM, y primordialmente, si son seguras. La única forma en que se puede ofrecer una terapia experimental legítima con células madre es a través de un ensayo clínico conducido adecuadamente.

### **¿Qué tan efectivas pueden ser las células madre?**

Debemos ser realistas en cuanto a nuestras expectativas relacionadas con el uso de células madre, y comprender lo que una terapia con células madre en particular puede llegar a lograr. Por ejemplo ¿tiene el potencial para lograr la inmunomodulación o remielinización o ambas?

Antes de que las células madre se conviertan en una opción viable para las personas con EM, las pruebas también deberán demostrar que su seguridad y efectividad son mejores que otras terapias ya disponibles.

### **¿Si recibo un trasplante de células madre, cuánto tiempo pasará hasta que empiece a hacer efecto?**

Después de que las células madre se hayan trasplantado en el cuerpo de alguna persona, tienen que dirigirse hacia el lugar indicado (por ej. el área del daño) y luego tener el efecto deseado. Ese proceso lleva tiempo y aunque es difícil predecir exactamente cuánto tiempo, es probable que tarde varias semanas o meses. Cualquier efecto positivo inmediato posterior al trasplante no será a causa de las células madre.

### **¿Se podría repetir la terapia con células madre?**

Es una posibilidad. Algunas células madre se podrían beneficiar si se repitiera el trasplante. En este momento, no hay evidencia a largo plazo de ensayos clínicos, por lo tanto es difícil decir si repetirlo sería necesario o seguro. Otros ensayos clínicos en un futuro lo analizarán en detalle.

### **¿Se podría usar la terapia con células madre al mismo tiempo que otras terapias?**

Todavía no lo sabemos. Este punto no se estudiará en los ensayos clínicos en su etapa inicial, ya que eso haría que sea muy difícil medir los efectos verdaderos de la terapia con células madre. Sin embargo, una terapia combinada podría ser efectiva para la EM y es probable que se analice en un futuro.

### **¿Es necesario que las células madre se inyecten siempre para hacer una diferencia?**

Este folleto informativo se relaciona principalmente con los asuntos en torno al trasplante de células madre - en donde se han reunido a las células madre, para luego inyectarlas en el cuerpo. Sin embargo, podría ser posible, activar a las células madre que ya se encuentran presente en el organismo a través del uso de medicamentos. Así se podría promover la neuroprotección. Actualmente no hay ensayos clínicos que lo estén examinando, pero es probable que eso ocurra en un futuro.

# Terapias con células madre en la EM

## Cómo se suministran las terapias con células madre?

En un comienzo las células madre se reunirán (o cultivarán) ya sea en la persona con EM en sí, o a través de una fuente donante (células madre fetales, por ejemplo). Luego, generalmente se prepararán para ser trasplantadas en un laboratorio, conforme a los reglamentos estrictos de las Buenas Prácticas de Manufacturas (BPM).

Cuando las células madre estén listas, se podrán trasplantar en el cuerpo. Hay varias formas diferentes de trasplantar a las células madre, y cada una probablemente concluya en un resultado diferente:

- intravenosa: inyectadas en la vena
- intratecal: inyectadas en el espacio alrededor de la columna vertebral
- intraparenquimal: inyectadas directamente en el cerebro

Si las células madre provienen de un donante (células madre alogénicas) el mismo cuerpo del receptor puede llegar a rechazarlas. Para reducir el riesgo de que eso ocurra, a menudo se utilizan medicamentos poderosos para desactivar al sistema inmune por un momento después del trasplante.

## ¿Cuándo tendremos células madre a nuestra disponibilidad para el tratamiento clínico comprobado de la EM?

Es muy difícil de predecir, pero no es probable que sea dentro de unos pocos años. Sin embargo, se están examinando células madre para la EM en varios países. Los descubrimientos de estos ensayos servirán de ayuda para futuros ensayos clínicos y ofrecerán orientación acerca de lo beneficioso que pueden ser las células madre para la gente con EM.

## ¿Cómo se desarrolla un nuevo tratamiento médico?

Usualmente se inicia con varios años de ciencia de laboratorio (estudios pre-clínicos) para demostrar el potencial de una terapia en particular en modelos de laboratorio (incluyendo animales). En esta etapa también se evalúa la seguridad.

Una vez que una terapia potencial parece prometedora en los modelos de EM de laboratorio, tiene que ser examinada en varias fases de ensayos clínicos (fases I, II y III). Cada una de esas fases ofrece mayor evidencia para probar su efectividad y seguridad. Ese es un proceso riguroso y necesario para asegurar que todos los medicamentos sean efectivos y los asuntos de seguridad hayan sido identificados.

Si una terapia completa todas las fases del ensayo clínico (fase I, II y III) y demuestra ser efectiva y bastante segura, entonces debe ser comprobada por una agencia reguladora regional o nacional; por ejemplo, la Dirección de alimentos y medicamentos de los EE.UU (siglas en inglés: FDA) o la Agencia europea de medicamentos (siglas en inglés: EMEA).”

Únicamente después de realizar estas pruebas y exámenes se podrá considerar que una terapia es segura y efectiva y se podrá poner a la disposición de la población en general.

# Terapias con células madre en la EM

## ¿Porqué lleva tanto tiempo desarrollar un nuevo tratamiento médico?

Pueden pasar varios años para que las ciencias de laboratorio identifiquen una terapia potencial. Luego, una vez que se define la terapia potencial, cada fase del ensayo clínico puede demorar hasta cinco años para completarse. Aunque este proceso lleve un plazo de tiempo considerable, es esencial demostrar adecuadamente que las terapias sean seguras y efectivas. También hay costos financieros importantes comprendidos en todas estas etapas de desarrollo, y sólo pueden satisfacerse a través de la inversión proveniente de una serie de fuentes de financiación, tales como el gobierno, organismos de investigación médica de beneficencia e industrias.

## ¿Cómo me doy cuenta si un ensayo clínico es oficial?

Para que un ensayo clínico sea oficial, tiene que ser comprobado y registrado en la agencia reguladora nacional del país donde se llevó a cabo. En la mayoría de los casos, los ensayos registrados aparecerán en una base de datos que se puede encontrar en [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov)

Aquí se incluyen algunos signos de advertencia que pueden sugerir que un ensayo clínico NO es oficial. Esto es solo una guía; quizá pueda darse cuenta de otros signos indicadores de un ensayo no oficial:

- Es un tratamiento disponible para condiciones y enfermedades múltiples. Un ensayo clínico para EM usualmente se enfoca en examinar un tratamiento exclusivo para la EM. En ocasiones poco comunes se puede examinar un tratamiento para EM y un par de otras condiciones relacionadas en el mismo ensayo (por ejemplo, otras condiciones autoinmunes tales como la enfermedad de Crohn), pero es improbable que se examine la EM conjuntamente con otras condiciones no relacionadas, como ser enfermedades cardíacas.
- **Falta de detalles acerca del tratamiento en sí**  
Si el ensayo clínico es oficial, todas las personas

que participen recibirán, una “hoja informativa de los participantes”, incluyendo de detalles específicos acerca del origen de las células madre, de cómo se preparan en el laboratorio y lo que los participantes pueden esperar que suceda. Este formulario explicará esos detalles con claridad y se invitará a los participantes a que formulen preguntas o expresen sus inquietudes antes de firmar un “formulario de consentimiento informado.”

### • **Afirmaciones de que no existen riesgos**

Los ensayos clínicos prueban a las terapias potenciales para comprobar si son seguras y también efectivas. Siempre habrá riesgos potenciales comprendidos en ensayos con células madre para la EM, y se deberán explicar los mismos con claridad a aquellos que participen en la hoja de información del participante y a través del doctor que conduzca el ensayo.

### • **Costo del tratamiento**

Los ensayos clínicos generalmente no implican ningún costo para los participantes, salvo que posiblemente impliquen costos personales y de transporte. También se debe concientizar al participante sobre la necesidad de arreglos, y si hay algún costo, para el cuidado médico de emergencia por si algo sale mal en el tratamiento.

### • **No hay restricciones o son muy pocas, respecto a la idoneidad para recibir el tratamiento**

Un ensayo clínico usualmente va a incluir un listado de criterios estrictos, especificando exactamente quién puede ser aceptado para el ensayo. Esos criterios incluirán aspectos como ser edad, historial de tratamientos previos, historial de condiciones o enfermedades previas, condiciones o enfermedades actuales, tipo de EM y grado de incapacidad (puntuación de la escala ampliada del estado de incapacidad).

## ¿Debería participar en un ensayo clínico?

Esa es una decisión personal que cada individuo tiene que tomar por su cuenta. Sin gente que participe en ensayos clínicos, no

# Terapias con células madre en la EM

se desarrollarían nuevas terapias, pero todos los ensayos clínicos traen riesgos aparejados. Se debe tomar una decisión solo después de considerar todos los asuntos de seguridad y ética. La mayoría de esos asuntos se explicarán en la “hoja de información del participante” que entregue la gente encargada de conducir el ensayo. También es sensato discutir aspectos con profesionales de la salud pertinentes. Las personas también sienten que les sirve de ayuda hablar con miembros de la familia y amigos antes de tomar una decisión como esa, que podría afectar a sus relaciones cercanas. Participar en un ensayo clínico no es algo que se ajuste a todas las personas y nunca nadie debe sentirse presionado a participar.

## ¿Cuáles son los riesgos comprendidos al participar en un ensayo clínico de células madre?

Todos los ensayos clínicos conllevan un cierto grado de riesgos para el participante. El ensayo será diseñado para reducir los riesgos en tanto sea posible, pero los mismos no pueden eliminarse por completo.

Es difícil hacer un listado de los riesgos potenciales para cada tipo de célula madre. Los riesgos variarán conforme a los ensayos clínicos específicos, dependiendo de: la célula madre usada; el número de células madre trasplantadas; el tipo de EM que tiene el participante; y la forma en que se trasplantan las células madre.

Los riesgos que comprende se explicarán en la “hoja de información del participante” proveniente de quienes organizaron el ensayo. También el profesional de la salud que conduzca el ensayo se los explicará al participante.

## ¿Si acepto participar en un ensayo clínico, puedo después abandonarlo en caso de que me surjan dudas?

Sí. Es posible abandonar el ensayo clínico si no se siente cómodo al seguir con el mismo. Firmar el formulario de consentimiento informado que reparten los organizadores o incluso comenzar un ensayo clínico no significa que usted está comprometido a completar el ensayo;

## Cronograma del desarrollo

### Fase I

**Objetivo:** Identificar una dosis segura.

Decidir cómo suministrar el medicamento/tratamiento.

Observar cómo el medicamento/tratamiento afecta al cuerpo humano y medir los efectos secundarios.

**Duración:** Normalmente alrededor de un año

**Estado:** No aprobado

### Fase II

**Objetivo:** Determinar si el medicamento/tratamiento o intervención tiene efecto positivo en la EM. Analizar cómo el medicamento/tratamiento o intervención afecta al cuerpo humano y medir los efectos secundarios.

**Duración:** Normalmente entre uno y tres años.

**Estado:** No aprobado

### Fase III

**Objetivo:** Comparar el nuevo medicamento/tratamiento o intervención con el estándar actual si estuviera disponible.

**Duración:** Normalmente entre dos y tres años.

**Estado:** No aprobado

en cualquier etapa del proceso se puede abandonar el ensayo. Si decide abandonarlo, es importante que primero hable con el profesional de la salud involucrado en el ensayo; quizás tenga que tomar precauciones de seguridad.

## ¿Cómo puedo averiguar acerca de los ensayos clínicos y cómo hago para participar?

Su neurólogo, médico de cabecera, o algún otro profesional de la salud debería ser capaz de asesorarlo en cuanto a ensayos clínicos realizados en su área, acerca de los ensayos clínicos que serían apropiados y sobre cómo participar. Existe también una serie de otros recursos que pueden ayudarlo a encontrar un ensayo clínico apropiado, incluyendo:



# Terapias con células madre en la EM

[clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov)

Para la mayoría de los ensayos clínicos registrados y realizados en todo el mundo

[www.msociety.org.uk/research/get\\_involved\\_in\\_research/clinical\\_trials](http://www.msociety.org.uk/research/get_involved_in_research/clinical_trials)

Para ensayos clínicos de fase II y fase III en el Reino Unido en busca de participantes

[www.nationalmssociety.org/research/clinical-trials](http://www.nationalmssociety.org/research/clinical-trials)

Para un listado actual de ensayos clínicos en curso, planeados o finalizados recientemente

[www.isscr.org/clinical\\_trans/pdfs/ISSCRPatientHandbook.pdf](http://www.isscr.org/clinical_trans/pdfs/ISSCRPatientHandbook.pdf)

Para obtener mayor información sobre la importancia de afirmaciones basadas en evidencia, visite

[www.senseaboutscience.org.uk/index.php/site/project/267/](http://www.senseaboutscience.org.uk/index.php/site/project/267/)

## ¿Qué pasa con las clínicas que ofrecen tratamientos con células madre?

Algunas personas ya están presentando a los tratamientos con células madre como una cura para la EM. Pero eso no es cierto. Como mencionamos antes, en la actualidad no hay terapia comprobada con células madre disponible para la EM.

Todas las terapias legítimas con células madre para la EM se están examinando en ensayos clínicos oficiales. Son terapias experimentales aún no aprobadas que se están examinando para ver si son seguras y efectivas.

Nosotros disuadimos convincentemente a las personas con EM de acercarse a las “clínicas de células madre” que ofrecen “terapias con células madre” y no son parte de ensayos clínicos oficiales.

La estrategia de marketing de estas “terapias” que emplean las clínicas puede sonar sofisticada y persuasiva, pero en realidad:

- cuesta una importante suma de dinero
- no hay evidencia que demuestre que son efectivas
- reúnen riesgos considerables para la seguridad

Para obtener mayor información, contáctese con la Asociación de EM nacional o remítase a las directrices de la Asociación internacional de investigación de células madre (ISSCR)

## Otros recursos útiles

Manual para pacientes sobre terapias con células madre de la Asociación internacional para la investigación de células madre

[www.isscr.org/clinical\\_trans/pdfs/ISSCRPatientHandbook.pdf](http://www.isscr.org/clinical_trans/pdfs/ISSCRPatientHandbook.pdf)

Información sobre la importancia de afirmaciones basadas en evidencia para tratamientos

[www.senseaboutscience.org.uk/index.php/site/project/267/](http://www.senseaboutscience.org.uk/index.php/site/project/267/)

Asociación de EM (Reino Unido)

[www.mssociety.org.uk](http://www.mssociety.org.uk)

Asociación de EM (EE.UU)

[www.nationalMSSociety.org](http://www.nationalMSSociety.org)

Associazione Italiana Sclerosi Multipla (Italia)

[www.aism.it](http://www.aism.it)

Association Recherché Sclerosi En Plaque (Francia)

[www.arsep.org](http://www.arsep.org)

Investigación de EM Australia

[www.msaustralia.org.au/msra](http://www.msaustralia.org.au/msra)

Asociación de EM (Canadá)

[www.mssociety.ca](http://www.mssociety.ca)

Federación Internacional de EM (Internacional)

[www.msif.org/en](http://www.msif.org/en)

Quisiéramos agradecer al siguiente colaborador:  
Participantes en el  
grupo de consenso sobre células madre



**MS Society**

MS National Centre  
372 Edgware Road  
London NW2 6ND  
020 8438 0700

**MS Society Scotland**

Ratho Park  
88 Glasgow Road  
Ratho Station  
Newbridge EH28 8PP  
0131 335 4050

**MS Society Cymru**

Cwrt y Deml/Temple Court  
Heol y Gadeirlan/Cathedral Road  
Caerdydd/Cardiff CF11 9HA  
029 2078 6676

**MS Society Northern Ireland**

The Resource Centre  
34 Annadale Avenue  
Belfast BT7 3JJ  
028 9080 2802

**[www.mssociety.org.uk](http://www.mssociety.org.uk)**  
**Helpline 0808 800 8000**

© MS Society  
Reprinted February 2010