



NOTA DE PRENSA

FAMILIAS DE TODA ESPAÑA AFECTADAS POR LAS MUCOPOLISACARIDOSIS, UN GRUPO DE ENFERMEDADES RARAS SIN CURA, CONOCEN EN EL COLEGIO DE FARMACÉUTICOS DE SEVILLA LOS ÚLTIMOS AVANCES EN TERAPIAS PALIATIVAS QUE PREVIEN MITIGAR LOS EFECTOS DE ESTAS PATOLOGÍAS

- En España existen actualmente 1.200 personas afectadas por algunas de estas enfermedades. El mayor número de los casos son menores de edad, con una esperanza de vida muy reducida, que no suele prolongarse más allá de la pubertad
- Las mucopolisacaridosis –que celebran su día mundial el 15 de mayo- impiden al paciente producir la enzima que evita la acumulación de mucopolisacáridos en las células de todos los órganos, especialmente en el cerebro, originando multitud de anomalías físicas y psíquicas.

Sevilla, 13 de mayo de 2013.- El Colegio de Farmacéuticos de Sevilla acogió este pasado sábado la octava edición del Encuentro Nacional de Familias con Mucopolisacaridosis (MPS), una cita que congregó a un centenar de personas (pacientes, familiares, investigadores, profesionales de la sanidad, etc) que han conocido de primera mano los avances terapéuticos obtenidos en torno a este conjunto de patologías, reconocidas dentro del grupo de las enfermedades raras, que afectan a unas 1.200 personas en España y para las que actualmente no existe cura.

En la actualidad tan sólo se dispone de terapias paliativas para algunos de los tipos de MPS (ocho distintos) y sus síndromes relacionados, aunque en la actualidad existen investigaciones, lideradas por el CBATEG (Centro de Biotecnología Animal y Terapia Génica de la Universidad Autónoma de Barcelona) que arrojan “esperanza” a la posibilidad de revertir en un futuro esta patología, según Jordi Cruz, presidente de la asociación MPS España, quien presidió la apertura del encuentro junto a Manuel Pérez, presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla.

Tras el acto de apertura, el Dr. Antonio González-Meneses, del Servicio de Dismorfología del Hospital Virgen del Rocío, tomó la palabra para exponer los últimos avances terapéuticos llevados a cabo en torno a este conjunto de enfermedades.

A través de 'Las Mucopolisacaridosis y sus terapias', González-Meneses explicó cómo el tratamiento enzimático sustitutivo –introducción por vía intravenosa de las enzimas de las que carece el organismo y que son el principal motivo de origen de estas patologías- ha dado muy buenos resultados, especialmente para la MPS I y MPS II (síndrome de Hurler y de Hunter, respectivamente), aunque “no ha mostrado resultados favorables para mejorar la afección al cerebro” de algunos de estos síndromes. A este respecto, el facultativo del Virgen del Rocío avanzó que en Estados Unidos se están llevando a cabo ensayos clínicos que tratan de demostrar la eficacia de introducir dichas “enzimas de forma directa al cerebro mediante un catéter”.

Pese a que aún no se ha encontrado una terapia que pueda curar las MPS, en estos últimos años se ha avanzado de manera notable en nuevas alternativas para paliar sus efectos. “Se está desarrollando una investigación activa que está permitiendo obtener nuevos tratamientos hasta ahora desconocidos para esta y otras enfermedades raras, así como para patologías más comunes”, explicó González-Meneses. En este sentido, una de las principales apuestas reside en la terapia génica, probada en Francia especialmente para tratar la MPS III o síndrome de Sanfilippo, que afecta especialmente al cerebro. En este caso, se inyecta un virus que porta un gen, que permite modificar el desajuste enzimático propio de las MPS.

Pese al notable avance previsto con el desarrollo de las terapias génicas, González-Meneses matizó que “los buenos resultados obtenidos en ensayos con animales, no han sido suficiente satisfactorios con humanos”. Pese a ello, se mostró “esperanzado” en la obtención de una cura para las MPS, que, a su juicio, podría estar determinada por una “combinación de terapias” y el diseño de tratamientos “personalizados” para cada caso.

La otra intervención destacada de la jornada la protagonizó Guillermo López Lluch, profesor titular de la Universidad Pablo de Olavide en el área de Biología Celular e investigador asociado del Centro Andaluz de Biología del Desarrollo. Durante su ponencia 'Antioxidantes en el sistema nervioso central', López Lluch mostró los resultados de las últimas investigaciones que ponen de manifiesto los beneficios de las terapias antioxidantes para el organismo.

Asimismo, desgranó algunos aspectos conocidos reciente en torno a una nueva terapia paliativa, que reduce los efectos oxidantes de la enfermedad en el organismo de los afectados. Según expuso este profesor de la Universidad Pablo de Olavide, en pacientes aquejados por alguna de las mucopolisacaridosis se ha encontrado una reducción significativa de la coenzima Q respecto a individuos no enfermos. “La coenzima Q es un componente esencial en la producción de energía celular y en la protección frente al daño oxidativo. Es por ello que la combinación de la coenzima Q con otros antioxidantes con terapias basadas en el reemplazo de las enzimas defectuosas puede prevenir de forma importante la acumulación de daño oxidativo

que se produce en estas enfermedades y en especial en el sistema nervioso central”, explicó el profesor López Lluch.

Apoyo de las administraciones

El colectivo de pacientes de MPS aglutina a “pacientes crónicos y superterminales, con esperanza de vida muy corta” que apenas le permite superar “la pubertad”, según explicó Jordi Cruz, máximo representante de MPS España e integrante de la junta directiva de FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras). Por ello, Cruz insistió en la necesidad de que este encuentro sirviera para reiterar “nuestra solicitud a las administraciones de que incrementen su apuesta por la investigación en el ámbito de la terapia génica, de la que se podrán beneficiar numerosas enfermedades raras”, agregó.

El VIII Encuentro Nacional de Familias con MPS sirvió también para que muchas familias españolas que padecen las MPS establecieran contacto y pusieran en común sus experiencias en torno a la lucha contra la enfermedad. El Colegio de Farmacéuticos de Sevilla, cuya sede acogió esta cita, puso de manifiesto con su colaboración en este evento su apuesta por la investigación en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos –lleva dotadas nueve becas de investigación en este campo– y el apoyo a los pacientes y afectados.

Esta labor de apoyo la viene desarrollando en los últimos años a través de su Fundación Mehuer, creada con el fin de promover una mayor conciencia social sobre estas patologías e impulsar la investigación y el tratamiento de las mismas. Mehuer organiza el Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras (que el pasado mes de febrero celebró su sexta edición) y la Declaración de Sevilla sobre MH y ER, además de dotar las becas de investigación mencionadas y un premio periodístico.

La mucopolisacaridosis –que celebrará su día mundial el 15 de mayo– engloba a un grupo de enfermedades que impiden al paciente producir la enzima que degrada los llamados mucopolisacáridos (carbohidratos complejos) o moléculas más simples. La ausencia de esa enzima provoca que los mucopolisacáridos se acumulen en las células de todos los órganos, especialmente en el cerebro, originando multitud de anomalías físicas. Los síntomas más característicos son la hiperactividad, los desórdenes del sueño, la pérdida del habla, deformaciones físicas y, en algunos casos, retraso mental y/o demencia. La transmisión de la MPS es por vía hereditaria.

La Asociación Española de las Mucopolisacaridosis y Síndromes Relacionados (MPS) trabaja por el bienestar de los pacientes afectados por este grupo de patologías desde 2005, promoviendo el desarrollo de las investigaciones científicas y llevando a cabo actividades de divulgación y prevención en torno a las MPS. La entidad, sin ánimo de lucro y conformada por alrededor de un millar de socios, fue declarada de Utilidad Pública por orden del Ministerio del Interior en fecha 25 de enero de 2012.

Para más información:

Gabinete de prensa del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla: Tomás Muriel (95 462 27 27 / 605 603 382)