

16 investigaciones para mejorar el mundo

La leucemia, los tratamientos con células madre y las enfermedades raras centran las ayudas de la Fundación Mutua Madrileña

JAVIER A. FERNÁNDEZ | Madrid | 28 JUL 2015 - 19:04 CEST

Archivado en: Leucemia Mutua Madrileña Enfermedades sangre Cáncer VIH SIDA Investigación científica Enfermedades infecciosas ETS Enfermedades Medicina Empresas Ciencia Salud Economía



Elena García y Gustavo Lorenzo, junto al prototipo de exoesqueleto para frenar la atrofia muscular espinal. / JAVIER VALEIRO

"¿Se acuerdan de la película Forrest Gump? ¿Y de la prótesis que lleva el protagonista siendo niño para aprender a caminar, y a correr, bien? Pues el proyecto del exoesqueleto es algo parecido".

Lorenzo Cooklin director general de la [Fundación Mutua Madrileña](#), explicaba así uno de los proyectos seleccionados en la decimosegunda edición de las [Ayudas a la Investigación Científica en Materia de Salud](#) que ofrece la aseguradora. Cooklin se refiere al programa del [Instituto Ramón y Cajal](#) que propone el diseño y construcción de un esqueleto externo motorizado que permita a los niños con

atrofia muscular espinal (AME) llevar una vida normal. "Tengo dos niños que van en silla de ruedas que me tienen frita porque quieren ayudarme a cocinar o a poner la mesa, pero el reposapiés les impide llegar a la puerta de la nevera o usar el horno", explica Mencía de Lemos, vicepresidenta de [FundAME](#) (Fundación Atrofia Muscular Espinal) y madre de dos niños diagnosticados con esta enfermedad degenerativa neuromuscular rara, que afecta a 1.500 familias en España.

Además de las enfermedades desconocidas y cuya búsqueda de nuevos tratamientos se encuentra desatendida, como sucede con la AME, la investigación para combatir la leucemia, los tratamientos con células madre y los nuevos procedimientos para la recuperación de lesiones traumatológicas ocupan los 16 proyectos científicos seleccionados este año entre más de un centenar de propuestas de hospitales de toda España, por una comisión encabezada por Rafael Matesanz, presidente del Comité Científico de la Fundación y director de la [Organización Nacional de Trasplantes \(ONT\)](#). En esta edición se entregarán un total de 1,7 millones de euros en ayudas de entre 130.000 y 150.000 euros que permitirán a los investigadores trabajar por un periodo de uno a tres años. Estos son solo algunos de ellos.

Un almacén para frenar la atrofia muscular

La atrofia muscular espinal (AME) es una enfermedad degenerativa poco habitual que se manifiesta en los primeros años de vida. Se calcula que afecta a cuatro de cada 100.000 menores. "Los niños que la padecen no suelen superar los dos años de vida", apunta la vicepresidenta de [FundAME](#), que lucha por mejorar la calidad de vida de sus dos hijos afectados por este mal. "Están llenos de vida, quieren comerse el mundo, pero dependen de una silla de ruedas", añade. Desde el [Instituto Ramón y Cajal de Investigación Sanitaria de Madrid](#), Gustavo Lorenzo lleva a cabo, junto a la ingeniera [Elena García](#), un estudio para evaluar cómo mejoraría de la calidad de vida en niños de hasta cinco años mediante el desarrollo de un exoesqueleto que les proporcione autonomía para mantenerse en pie y moverse. "Ya existe un prototipo, pero no sirve para niños pequeños", apunta Lorenzo. Hasta ahora la única manera de alargar la vida de estos jóvenes pacientes era mediante la terapia ventilatoria y la cirugía con el fin de estabilizar la columna vertebral y mejorar su respiración. El almacén electrónico ofrecería mayores posibilidades de movimiento a los benjamines y retrasaría la atrofia de sus músculos.

Curar la leucemia y el VIH a la vez



Rafael Duarte, responsable, junto a José Rafael Cabrera de una investigación sobre la cura de la leucemia y el VIH / JAVIER VALEIRO

El proyecto por el que el [Instituto de Investigación Sanitaria Puerta de Hierro de Madrid](#) ha recibido la ayuda de la Fundación Mutua Madrileña es pionero en el mundo: **se encuentra a las puertas del primer ensayo clínico en el uso de células madre para curar el VIH en pacientes que a su vez sufren una enfermedad de la sangre como leucemia o linfoma**. Tras un primer caso en Alemania, esta línea de investigación se abrió en España en 2013 cuando a un barcelonés de 37 años que tenía un linfoma (un tipo de cáncer) además de VIH, se le aplicó un tratamiento experimental para tratar su cáncer. Tras el trasplante de células madre de cordón umbilical se observó que había eliminado el virus y sus propias células se habían vuelto resistentes a él. Sin embargo, el paciente falleció por lo que no se pudo continuar el ensayo. Ahora, un equipo del hospital, junto a otros centros de Madrid y Barcelona, busca desarrollar esta estrategia en nuevos pacientes con las mismas características.

“El cordón umbilical tiene unos criterios de compatibilidad menos estrictos para el trasplante y permite esta alternativa de tratamiento en más pacientes de los que podríamos tratar si lo hiciéramos con donantes de médula convencionales”, explica el investigador. Gracias a la [Organización Nacional de Trasplantes \(ONT\)](#) disponen de un gran banco de cordones, que ahora deben analizar para identificar aquellos que cuentan con la alteración genética necesaria para que prospere el tratamiento. “Esta alteración la tiene algo menos que el 1% de la población, por lo que es más

sencillo buscarla en la sangre de cordones umbilicales crío preservados que son más fáciles de analizar que en donantes que están haciendo su vida normal”, añade.

Evitar la recaída en la leucemia



Antonio Pérez-Martínez, oncólogo e investigador del Hospital La Paz de Madrid

“Actualmente alrededor del 40% de los niños que se han recuperado de una leucemia mieloide aguda vuelven a desarrollar la enfermedad”, apunta Antonio Pérez-Martínez oncólogo del [Instituto de Investigación Sanitaria Hospital La Paz de Madrid](#). Desde el centro madrileño se ha puesto en marcha un programa para evitar que los niños que hayan superado este tipo de leucemia recaigan. Se trata de un grupo de pacientes a los que no se les prescribe un trasplante porque se les considera de riesgo bajo, pero la enfermedad está latente. “Queremos ofrecerles un tratamiento novedoso a partir de la trasfusión de células madre de sus padres que procesamos en el laboratorio para dotarlas de propiedades antileucemia, que hemos llamado células Natural Killer”, añade Pérez. Su propuesta ya quedó demostrada en un trabajo de 2010 de un grupo americano que midió la probabilidad de recaída en 10 enfermos. “Nosotros lo queremos introducir ahora en España con nuestra propia célula para disminuir al menos un 20% la probabilidad de recaída de estos pacientes de bajo riesgo con el objetivo de acercarnos a la cura completa en las leucemias agudas infantiles”, afirma el investigador.

No más ceguera infantil

Los niños que padecen amaurosis congénita de Leber pueden perder la vista por completo. Se trata de un tipo de distrofia hereditaria de retina grave que suele aparecer en el primer año de vida y que conduce a la ceguera. [El Instituto de Investigación Sanitaria del Hospital Universitario La Fe de Valencia](#) propone un nuevo método de diagnóstico de la enfermedad mediante un análisis genético del paciente mucho más barato y rápido que los tradicionales. “Se trata de un análisis exprés. El problema de la mayoría de las enfermedades genéticas raras es que hasta ahora costaba muchísimo tiempo por método tradicional, estamos hablando de años, secuenciar todos los genes implicados en la enfermedad en una misma persona”, apunta José Millán, director del equipo de la responsable de proyecto Elena Aller, actualmente de baja por maternidad.



José Millán, director del equipo de la responsable de proyecto Elena Aller, del Hospital La Fe de Valencia / IIS LA FE

Ya existen ensayos clínicos en los que, una vez se ha detectado el gen responsable de la enfermedad, se puede aplicar una terapia para sustituir el gen defectuoso por otro. “Por tanto, el primer paso es tener a todos estos niños etiquetados genéticamente para que cuando sea posible la terapia génica, se pueda actuar directamente sobre el gen alterado”, añade Millán.