

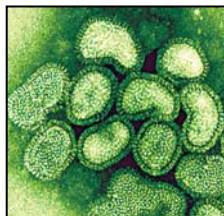
## ACTUALIDAD CIENTÍFICA EN HEMOFILIA

---

Dr. Antonio Liras

Vicepresidente de la Comisión Científica de la Real Fundación Victoria Eugenia

### Virus H1N1, causante de la gripe A



#### Inmunización frente al virus de la gripe A

El virus H1N1 tiene semejanzas con algunos de los virus gripales que han circulado durante los últimos 20 años, por lo que aquellos que han pasado alguna gripe están, en parte, protegidos. Existen dos tipos de inmunidad que permiten al organismo recordar gripes pasadas y proporcionar protección frente a otras similares, una la de los anticuerpos y otra la de las células T. Tras comparar la estructura molecular del nuevo H1N1 con la de los virus gripales que han estado entre los humanos desde 1988, se comprueba que a pesar de sus muchas particularidades, el virus responsable de la gripe A tiene similitudes con virus anteriores. Así, las células T reconocen hasta un 69% de los marcadores del H1N1. Es posible que, por esta razón, no se haya producido una grave pandemia como al principio se pensaba, sino más bien todo lo contrario ya que el curso de la enfermedad está siendo, por regla general, bastante leve. Por el contrario, los anticuerpos no reconocen más que el 17% de las moléculas del nuevo virus por lo que la transmisión está siendo muy elevada. Hasta ahora se había dicho que sólo aquellos que vivieron la gripe de 1957 (la más parecida a la gripe A) podían estar protegidos. Sin embargo, ahora se piensa que todos quienes hayan pasado ya una gripe, sea cual sea, tienen algo de inmunidad, aunque sí es verdad que aquellas personas nacidas antes de 1957 tienen una protección extra y, por eso, la gripe A no les está afectando tanto como a los más jóvenes. A pesar de esto, la recomendación de vacunarse se debe mantener ya que es la vacuna la que va a inducir una respuesta de los anticuerpos que puede ayudar a eliminar los contagios, cosa que la memoria del organismo por sí sola no ha conseguido.

DISPONIBLE EN: <http://www.madrimasd.org/informacionidi/noticias/noticia.asp?id=41572&origen=notiweb>

### VIH/VHC



#### Obama deroga la prohibición de entrar en EE.UU a los seropositivos VIH

El 30 de octubre de 2009, el presidente Obama anunció la publicación de la norma que deroga la prohibición de viajar o emigrar a EE.UU a aquellas personas VIH seropositivas. La derogación de la prohibición ha entrado totalmente en vigor el 4 de enero de 2010. Esto quiere decir que aquellas personas portadoras del VIH y que no sean ciudadanas estadounidenses tendrán el mismo derecho que cualquier otra persona a entrar en Estados Unidos para reuniones o congresos, turismo, trabajo o estudios. La prohibición había estado vigente desde 1987. La Federación Mundial de Hemofilia ha trabajado mucho para lograr esta medida.

DISPONIBLE EN: <http://www.whitehouse.gov/blog/2009/10/30/honoring-legacy-ryan-white>

#### Los efectos secundarios son la principal preocupación de los pacientes VIH seropositivos

Una encuesta elaborada por la Asociación Internacional de Médicos que tratan SIDA, ha revelado que la preocupación más importante de los infectados por el VIH son los efectos secundarios del tratamiento antiviral. En este estudio, denominado "AIDS Treatment for Life

*International Survey*" (ATLIS), que contó con la participación de alrededor de 3.000 pacientes seropositivos de 18 países, entre ellos España, se demuestra que la principal inquietud, en el 65% de los encuestados, se refiere a los cambios que puedan producirse en el rostro, el cuerpo, el cabello, la piel o las uñas. Al 58% les preocupan los efectos en el hígado; el dolor articular o muscular en el 54%; los trastornos del sueño al 53% y la fatiga o anemia al 52%. Estos efectos y preocupaciones han hecho, como ha quedado claro en el XII Congreso Nacional sobre el SIDA, celebrado en Valencia, que el 39% de los pacientes tratados haya cambiado su tratamiento al menos una vez. También se revela un dato muy significativo y preocupante a la vez, que es que uno de cada diez pacientes no cree que el beneficio de la medicación antirretroviral compense los efectos secundarios. En lo personal y psicológico, el estigma y la discriminación que muchos pacientes infectados sufren en su entorno laboral y afectivo, es otra de las preocupaciones que recoge el estudio (más del 50% de los encuestados). En este sentido, el apoyo emocional consigue aumentar la adherencia y fidelidad de los pacientes al tratamiento, así como un mayor control emocional y mantenimiento de los parámetros de calidad de vida.

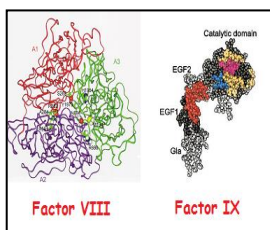
DISPONIBLE EN: <http://jia.sagepub.com/cgi/content/abstract/1545109708322728v1>

### **El Ministerio de Sanidad y Política Social autoriza el primer ensayo clínico con interferón alfa-5 para el tratamiento de la hepatitis C**

La hepatitis C tiene muy difícil tratamiento. Se calcula que en España hay más de 200.000 personas con el virus. En muchos casos éste está latente o tarda en dañar el hígado, pero en otros hay que someterse a un agresivo tratamiento que combina el interferón alfa-2 y la ribavirina. La terapia tiene una duración de entre seis meses a un año, y tiene una tasa de éxito de alrededor del 60%, aunque este porcentaje varía según el genotipo del virus (50% para el genotipo 1 y el 80% si es del genotipo 2 ó 3). Este interferón alfa-5 ha sido desarrollado por el Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA) de la Clínica de Navarra, y tiene como principal característica que es muy parecido al interferón natural equivalente, por lo que los ensayos previos apuntan a que pueda aumentar la respuesta protectora frente al virus de la hepatitis C de tipo 1. El objetivo de este ensayo clínico del fármaco, que va a comercializar Digna Biotech –empresa española en la que participa el propio CIMA– es evaluar la seguridad y eficacia (Fase I/II). Además, servirá para comprobar en pacientes sanos si hay una mayor respuesta protectora. La autorización por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios del Ministerio de Sanidad y Política Social, es para su ensayo clínico en aquellos pacientes con hepatitis C crónica con el virus del genotipo 1 y que no han respondido al tratamiento actual convencional. Participan en el ensayo 5 hospitales españoles y se espera que los resultados estén disponibles a mediados del año 2011. Las previsiones son, en el caso de que la investigación clínica tenga éxito, que el interferón alfa-5 pueda estar en el mercado en el año 2015.

DISPONIBLE EN: <http://www.madrimasd.org/informacionidi/noticias/noticia.asp?id=42333&tipo=g>

### **Factor VIII y Factor IX**



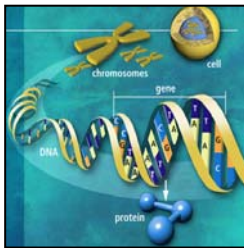
#### **¿La deficiencia de Factor VIII es peor que la de Factor IX?**

En la prestigiosa revista *Blood*, el grupo de Tagariello ha descrito que aquellos pacientes con hemofilia A severa son más propensos a necesitar una artroplastia de cadera y rodilla que aquellos que presentan hemofilia B y sugiere que es posible que exista una diferencia de severidad entre los dos tipos de hemofilias, aún siendo las dos graves. Siempre se ha dicho que las manifestaciones de ambas hemofilias son similares y que no se pueden diferenciar sin una medida cuidadosa de las actividades del Factor VIII o del Factor IX en cada caso. Esta idea no es tan nueva como pudiera parecer ya

que en los años 50´ Quick, basándose en su experiencia con 24 pacientes de hemofilia B, ya postulaba que la hemofilia B era, en general, más leve que la hemofilia A. Esta idea de Quick se ha apoyado después por otros estudios posteriores. El efecto pareciera ser, además, más diferencial en niños menores de 2 años de edad. Los datos de Tagariello demuestran una frecuencia de hasta 3 veces mayor de artroplastia (operación quirúrgica que tiene por objeto la reconstrucción de una articulación destruida o anquilosada, mediante la resección de las superficies articulares y la interposición de una prótesis para recuperar la función y suprimir el dolor) en pacientes con hemofilia A con respecto a pacientes con hemofilia B, con un grado de severidad definido por menos de 1UI de factor/dL. Esta diferencia no parece tener que ver con la edad, ni con la seropositividad VIH o VHC, ni con la presencia de inhibidores. La mayor crítica que se le puede hacer a este estudio es que la artroplastia es una solución extrema cuando ya no hay otra solución, y quizás la frecuencia de los sangrados habría sido un mejor parámetro para comparar los dos tipos de hemofilias, y porque la heterogeneidad en el tratamiento de los distintos sangrados en los distintos pacientes pudiera influir en el estado final de la artropatía hemofílica. En principio, la deficiencia de uno u otro factor no se ha relacionado, hoy por hoy, con una mayor gravedad de una hemofilia sobre otra y mucho menos con una mayor o menor destrucción articular. Lo que está claro es que para definir un estado de gravedad no sólo es el nivel de factor el que lo define sino también el fenotipo así como la distinta capacidad de cada paciente para generar trombina.

DISPONIBLE EN: <http://bloodjournal.hematologylibrary.org/cgi/reprint/114/4/750.pdf>

## Terapia Génica y Fisiopatología muscular



### Una Terapia Génica aumenta la fuerza y el tamaño de los músculos en monos

Investigadores del Instituto de Investigación del Hospital Infantil Nacional en Columbus de Estados Unidos, han conseguido aumentar la masa muscular en monos gracias a un nuevo protocolo de Terapia Génica. Los animales utilizados en el experimento ganaron volumen y se hicieron más fuertes. El trabajo, que se publica en la revista *Science Tranlational Medicine*, es un primer paso para poder tratar, en el futuro, una debilidad muscular grave derivada de trastornos neuromusculares como la esclerosis múltiple o la distrofia muscular, o derivada de patologías diversas, como podría ser el caso de la atrofia muscular que se produce, a veces, en el paciente hemofílico. Este protocolo se basa en la introducción del gen de la folistatina, sustancia que ya en ratones se había demostrado que disminuye otra sustancia (la miostatina) que disminuye la masa muscular. El gen se inyectó en los músculos de las patas de macacos sanos y se observó cómo estos músculos crecían dramáticamente. Para comprobar si este aumento visible en el tamaño muscular se correspondía con una mayor fuerza, se anestesió a los monos y se analizaron los músculos con un dispositivo medidor de fuerza, y se comprobó que, efectivamente, los músculos eran más potentes y robustos. Quince meses después, el crecimiento y la fuerza musculares eran aún evidentes en los animales y no se observaban efectos adversos en la estructura y función muscular. El único inconveniente de este estudio es que los experimentos se han realizado en monos sanos por lo que habrá que ser cautos y esperar a ver que sucede en su aplicación en músculos de función y estructura patológicas.

DISPONIBLE EN: <http://www.madrimasd.org/informacionidi/noticias/noticia.asp?id=41536&origen=notiweb>