

## Eventos científicos internacionales

# Resumen del 30.º Simposio Internacional sobre ELA

(Perth, Australia, diciembre de 2019)

En diciembre de 2019, se realizó en Australia el 30.º Simposio Internacional sobre ELA, esa enfermedad neurodegenerativa que puede terminar con la parálisis total de los pacientes. Un matriculado del CTPCBA estuvo allí y nos cuenta los puntos más importantes que se discutieron en este encuentro clave, en el que los principales expertos en ELA del mundo exponen sobre los últimos avances en ensayos clínicos, terapias, cuidados paliativos y el diagnóstico de la enfermedad.

Por el **Traductor Público Pablo Aquino\***,  
Secretario de la Comisión de Área Temática Técnico-Científica

\* Traductor Público, hermano de un paciente con ELA, Secretario de la Asociación ELA Argentina, miembro del Directorio de la Alianza Internacional de Asociaciones de ELA

### ¿Qué es la ELA?

La esclerosis lateral amiotrófica (ELA) es una enfermedad neurodegenerativa que ataca las motoneuronas, células nerviosas que controlan el funcionamiento de los músculos. Los mensajes gradualmente dejan de llegar a ellos, lo cual deriva en debilidad, rigidez y atrofia. La ELA es una afección que limita la vida en forma progresiva y puede afectar el caminar, el habla, la deglución y la respiración. Esto lleva finalmente a la parálisis total. En inglés se la conoce como *Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS)* o *Motor Neuron Disease (MND)*.

### International Symposium on ALS/MND

El simposio científico International Symposium on ALS/MND fue creado hace treinta años por la Asociación de ELA del Reino Unido (MND Association of UK) y actualmente se organiza en conjunto con la Alianza Internacional de Asociaciones de ELA (International Alliance of ALS/MND Associations). Se lleva a cabo todos los años durante la primera semana de diciembre y acuden más de mil personas, entre ellos, científicos, médicos, representantes de la industria farmacéutica, pacientes y cuidadores. Cada año, se realiza en una sede diferente: en 2019, fue en Perth y, en 2020, será en Montreal. Durante esa semana, los principales expertos en ELA del mundo exponen sobre los últimos avances en ensayos clínicos, terapias, cuidados paliativos y el diagnóstico de la enfermedad.



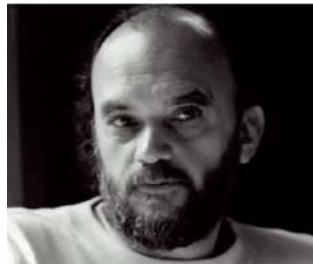
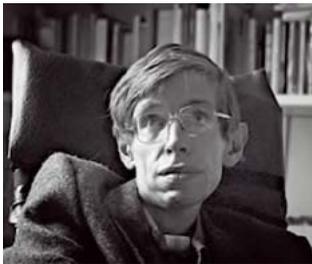
### Lo que nos dejó PERTH 2019

El encuentro realizado entre el 1.º y el 6 de diciembre tuvo lugar en el majestuoso Perth Convention and Exhibition Centre, un espacio de dieciséis mil metros cuadrados con seis pabellones de exhibición y un teatro con capacidad para dos mil quinientas personas.

Probablemente, la noticia más trascendente es que se espera que entre 2020 y 2021 haya resultados muy positivos para dos subtipos de ELA: SOD-1 y C9orf72. Estas son dos mutaciones genéticas que se transmiten familiarmente y que representan entre un 5 % y un 10 % de los casos. Gracias a la terapia con oligonucleótidos antisentido (*Antisense Oligonucleotides*, ASO), se podría estar al borde de encontrar un tratamiento muy efectivo o, incluso, una cura específicamente para estos subtipos, lo que se espera que *a posteriori* genere un efecto cascada para el resto del universo. La terapia antisentido se basa en el uso de oligonucleótidos (pequeños fragmentos de ácido nucleico), complementarios para una secuencia específica de un gen, con objeto de unirse a su ARN mensajero y evitar así la producción de una proteína mutada.



## ESCLEROSIS LATERAL AMIOTRÓFICA



También hubo importantes novedades con respecto al avance de los ensayos de terapia con células madre (*Stem Cell Therapy*), en especial, el ensayo NurOwn®, que pasó a su fase 3; y también con un tratamiento antirretroviral contra el VIH (Triumeq®) que podría ser beneficioso contra la ELA, un concepto realmente sorprendente, ya que la ELA no es un virus, pero la droga antirretroviral podría transportar un compuesto con potencial efecto positivo, una vez que se introduzca en el organismo.

### Otros datos para destacar

No se conoce la causa exacta de la ELA y aún no tiene cura ni tratamientos regenerativos. Uno de cada diez casos es hereditario (*Familial ALS*). El resto de ellos son esporádicos (*Sporadic ALS*). La incidencia mundial (*worldwide incidence rate*) es de dos casos nuevos por año cada cien mil personas.

En el mundo, el caso más famoso fue el del brillante científico Stephen Hawking y, en la Argentina, el caso emblemático fue el del querido escritor Roberto Fontanarrosa.

La ELA ganó gran visibilidad en 2014 gracias a la famosa campaña solidaria Desafío del Balde de Hielo o *ALS Ice Bucket Challenge*. ■

### Fuentes consultadas:

- Asociación ELA Argentina: «Qué es la ELA» (en línea). <http://www.asociacionela.org.ar/index.php/la-ela/queeslaela>. Consulta: febrero de 2020.
- National Institute of Neurological Disorders and Stroke: «What is amyotrophic lateral sclerosis» (en línea). <https://www.ninds.nih.gov/Disorders/Patient-Caregiver-Education/Fact-Sheets/Amyotrophic-Lateral-Sclerosis-ALS-Fact-Sheet>. Consulta: febrero de 2020.
- International Symposium on ALS/MND (en línea). <https://symposium.mndassociation.org/>. Consulta: febrero de 2020.
- Perth Convention and Exhibition Centre (en línea). <https://www.pcec.com.au/>. Consulta: febrero de 2020.