

De la silla de ruedas a la bicicleta: los CAR-T logran remisiones espectaculares contra enfermedades autoinmunes

Tiempo de lectura: 5 min.

Nuño Domínguez

Hace unos días, la cantante Céline Dion dio una entrevista para describir cómo es la enfermedad rara que sufre desde hace años y que la ha apeado de la vida profesional. “Es como si una mano te estrangulara”, describió a la cadena NBC. La cantante canadiense sufre el síndrome de la persona rígida, una enfermedad autoinmune que paraliza diferentes partes del cuerpo hasta provocar caídas o impedir caminar. Se piensa que esta dolencia de origen genético afecta apenas a una persona entre un millón. Hasta el momento, solo se conocen tratamientos paliativos, no una cura.

Sin buscarlo, Lilia, una mujer venezolana de 69 años que reside en Alemania desde los años ochenta, ha recibido un tratamiento experimental que ha demostrado gran efectividad contra la misma enfermedad que afecta a Dion. Su caso, recién descrito en la literatura médica, abre una esperanza para el tratamiento de esta y otras enfermedades autoinmunes que atacan al sistema nervioso central y que son mucho más prevalentes, como la esclerosis múltiple.

Al teléfono desde Bochum, Lilia (prefiere no decir su apellido) describe un viacrucis de 10 años desde que empezó a sentir los primeros síntomas. Rigidez en las piernas, caídas repentinas, necesidad de muletas, primero, andador, después, hasta quedar postrada en la cama durante varios ingresos hospitalarios sin que ninguno de sus médicos le diese un diagnóstico claro.

“Tenía dolores insoportables. Sentía como si dentro de la espalda se me estuviesen rompiendo las vértebras. Me sugerían que podía ser algo psicosomático, pero mi cuerpo me estaba hablando”, relata esta administrativa ya jubilada.

En 2014 acudió a la consulta del neurólogo Ralf Gold, que le hizo un test genético y demostró que padecía el síndrome de la persona rígida. La paciente dejó de

responder a todos los fármacos disponibles. En 2023 a Lilia le ofrecieron un tratamiento experimental: linfocitos con receptores químéricos para antígenos, o CAR-T, una terapia que ha revolucionado el tratamiento de tumores de la sangre y que, en teoría, podría funcionar también en esta enfermedad. El síndrome está caracterizado por un defecto genético de las células b, un tipo de glóbulo blanco que produce anticuerpos nocivos que entorpecen la transmisión de impulsos nerviosos y producen parálisis.

Desde el tratamiento, Lilia ha pasado de necesitar un andador para avanzar 50 metros a poder ir de compras y dar paseos de seis kilómetros. Solo sigue usando el andador porque tiene miedo a caerse, según Gold, neurólogo del Hospital San Josef de Bochum y de la Universidad de Jena. Este médico dice que en sus más de 35 años de experiencia “no ha visto una respuesta igual”. “Esta es una enfermedad muy difícil de tratar y que va destruyendo el organismo. En esta paciente el tratamiento con CAR-T ha permitido recuperar la calidad de vida. Y en otros casos, si se detecta antes, los beneficios podrían ser mayores”, explica. Los resultados se acaban de publicar en la revista de la Academia Nacional de Ciencias de Estados Unidos.

Lilia recibió CAR-T contra la proteína CD19. Esto significa que los médicos le trajeron linfocitos T de la sangre y los modificaron genéticamente para que reconozcan esa molécula, que sobresale de la superficie de los glóbulos blancos enfermos y los aniquilen. “El tratamiento reseñó el sistema inmune de la paciente. Actualmente, sus niveles de anticuerpos nocivos son muy bajos”, resume Gold. El tratamiento lo fabrica la empresa estadounidense Kyverna, que lo está probando en enfermos con varios tipos de dolencias autoinmunes en fases iniciales (1 y 2).

Junto a otros especialistas, el neurólogo alemán ha aplicado el mismo tratamiento a dos pacientes con miastenia grave, otra dolencia autoinmune mediada por anticuerpos que atacan al organismo. Los resultados, recién publicados, muestran remisiones completas. Una de las pacientes tenía 33 años y debido a la parálisis progresiva necesitaba una silla de ruedas para moverse y una máquina para poder respirar. Tras recibir los CAR-T mejoró hasta el punto de poder volver a montar en bicicleta eléctrica y hacer rutas de más de 25 kilómetros. “Hasta ahora hemos tratado a cuatro pacientes con miastenia grave. El caso más llamativo es un hombre de 74 años que no podía masticar ni tragar. Un año después del tratamiento, la enfermedad ha remitido por completo y no necesita ninguna otra medicación”, asegura el neurólogo germano.

Desde que se comenzaron a aplicar en 2011, los CAR-T han logrado decenas de miles de curaciones completas en personas con tumores sanguíneos. En 2022, estos revolucionarios tratamientos también se aplicaron en personas con lupus eritematoso sistémico, otra dolencia autoinmune que afecta al 0,1% de la población mundial, especialmente mujeres jóvenes, logrando remisiones completas.

Josep Dalmau, neurólogo del Hospital Clínic de Barcelona, fue el supervisor del estudio sobre Lilia, la primera paciente con síndrome de persona rígida tratada con CAR-T. “Estos tratamientos se están importando desde el cáncer a las enfermedades autoinmunes, en este caso para dirigirlos contra las células que producen anticuerpos patógenos”, explica. “Estamos viendo un goteo de primeros casos aislados espectaculares, y vamos a ver más. En paralelo, en Estados Unidos hay unos 12 ensayos clínicos más sistemáticos y con un mayor número de pacientes”, resalta.

El médico explica que en el Clínic han desarrollado su propio CAR-T contra la CD19 y han tratado con él a un hombre con una enfermedad autoinmune neurológica que le había dejado ciego de un ojo. El mayor temor era que pronto la dolencia le afectase al otro. Aunque aún no ha logrado recuperar la vista del ojo enfermo, el paciente lleva 14 meses sin recaídas ni necesitar más tratamientos, detalla Dalmau.

Otra de las futuras aplicaciones de los CAR-T será contra la esclerosis múltiple, una enfermedad autoinmune que supone un reto mucho mayor que los mencionados. En el Clínic tienen un ensayo en marcha. “En este caso no conocemos al culpable ni hay un anticuerpo específico que cause esta enfermedad”, expone Dalmau. “Pero sí sabemos que las células b tienen un papel crucial. Aunque hay unos 20 fármacos efectivos contra la esclerosis múltiple, en ocasiones no funciona ninguno. Esto sucede especialmente en pacientes jóvenes que tienen mucha carga de enfermedad en la médula espinal y el cerebro. Y no sabemos por qué. Los CAR-T podrían funcionar mejor en estos casos. Será interesante confirmar si es así”, concluye.

Materia. El País

<https://elpais.com/ciencia/2024-07-02/de-la-silla-de-ruedas-a-la-bicicleta-los-car-t-logran-remisiones-espectaculares-contra-enfermedades-autoinmunes.html>

[ver PDF](#)

[Copied to clipboard](#)