

Entender la investigación con células madre para la degeneración macular

Fecha: 29 de octubre de 2025

Con: Jeffrey Stern, MD, PhD y Sally Temple, PhD

La información proporcionada en esta transcripción es un servicio público de BrightFocus Foundation y no constituye consejo médico. Consulte a su médico para recibir asesoramiento médico, dietético y de ejercicio personalizado. Cualquier medicamento o suplemento debe tomarse solo bajo supervisión médica. BrightFocus Foundation no respalda ningún producto o terapia médica.

Nota: este chat o charla ha sido editado para mayor claridad y brevedad.

Dr. JIMMY LIU: ¡Hola y bienvenidos! Me llamo Dr. Jimmy Liu y soy el director de los programas de ciencias de la visión de BrightFocus Foundation. Es un placer ser su anfitrión en el Macular Chat de hoy, titulado «Entender la investigación con células madre para la degeneración macular». Los Macular Chats son un programa mensual, patrocinado en parte por Genentech y Regeneron, diseñado para proporcionar a las personas que viven con degeneración macular y a los familiares y amigos que las apoyan información directamente de los expertos.

La información proporcionada en este programa tiene fines exclusivamente educativos y no debe considerarse un consejo médico. Consulte siempre con un profesional de la salud cualificado en caso de tener cualquier duda o problema de salud. Tenga en cuenta que BrightFocus no respalda ni promociona ninguna marca o producto específico.

El Programa de Investigación sobre la Degeneración Macular de BrightFocus Foundation ha destinado más de 56 millones de dólares a subvenciones científicas destinadas a investigar las causas fundamentales y las posibles vías de prevención, tratamiento y cura de la degeneración macular, y actualmente está invirtiendo en 44 proyectos en curso en todo el mundo.

Ahora, me gustaría presentar a los ponentes invitados de hoy, el Dr. Jeffrey Stern y la Dra. Sally Temple, cofundadores del Instituto de Células Madre Neurales, donde el Dr. Stern es director de Investigación Traslacional y la Dra. Temple, directora científica. Juntos, descubrieron una subpoblación de células madre en las células del epitelio pigmentario de la retina humana, o EPR. A través de sus programas de investigación en el Instituto de Células Madre Neurales, tratan de comprender el papel de las células

madre en el desarrollo, el mantenimiento y la reparación del sistema nervioso central. Trabajando juntos, están contribuyendo al desarrollo de una terapia basada en células madre para la degeneración macular relacionada con la edad, que actualmente se encuentra en fase de ensayo clínico. Gracias por acompañarnos hoy, Dr. Stern y Dra. Temple.

Dra. SALLY TEMPLE: Es un placer estar aquí. Gracias.

Dr. JEFFREY STERN: Gracias por esa presentación tan amable, y gracias a Amanda por organizar esta llamada.

Dr. JIMMY LIU: Por supuesto. Muchas gracias por participar en esta teleconferencia. Apreciamos mucho su tiempo, así como el del Dr. Stern y el de la Dra. Temple. Bien empecemos por lo básico: ¿qué son exactamente las células madre y por qué se están investigando como tratamiento para la degeneración macular relacionada con la edad, o DMAE?

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, es una pregunta excelente. Las células madre son células con una propiedad única denominada «autorrenovación». Y esto significa que, a partir de una sola célula, se pueden obtener dos células, y esas dos células pueden dar lugar a cuatro, y así sucesivamente. Por lo tanto, existe la posibilidad de partir de una célula madre inicial y generar, literalmente, millones de células a partir de esa célula original. Por eso, se puede ver lo valiosas que podrían ser estas células para la sustitución de tejidos. Y en enfermedades como la degeneración macular relacionada con la edad, en la que se pierden las células del epitelio pigmentario de la retina (las células EPR), si pudiéramos tomar células madre y convertirlas en células EPR, esas células podrían sustituir a las que no funcionan correctamente en la DMAE. Por eso, la gente está muy entusiasmada con las células madre y con lo que podrían llegar a hacer para sustituir tejidos, incluso en la retina.

Dr. JEFFREY STERN: Yo añadiría que las enfermedades degenerativas, como la DMAE, en las que se produce una pérdida de células, son difíciles de revertir con medicamentos. Las células perdidas o muertas no responden a los fármacos. Se necesita una terapia de sustitución. Las células madre proporcionan una gran cantidad de células humanas para este tipo de terapias de sustitución.

Dr. JIMMY LIU: Muchas gracias por esa explicación, doctor Stern y doctora Temple. Como pregunta complementaria, ambos han hablado de las células del epitelio pigmentario de la retina, o EPR. ¿Podrían explicarnos un poco más en qué consiste el EPR en el contexto de la DMAE?

Dr. JEFFREY STERN: El EPR es una capa de la retina que da soporte a las células fotorreceptoras situadas encima de ella y a las neuronas que transmiten la señal visual de regreso al cerebro. Cuando se pierden las células del EPR debido a enfermedades degenerativas, como la DMAE, dejan de dar soporte a las células fotorreceptoras situadas encima de ellas, por lo que la luz no se convierte en una señal visual. Nuestra estrategia consiste en que la sustitución del EPR restablezca el funcionamiento de las células fotorreceptoras, de modo que puedan detectar la luz y dar lugar a la visión.

Dr. JIMMY LIU: ¡Perfecto! Muchas gracias por esa explicación. Y la siguiente pregunta que voy a hacer tiene que ver un poco más con las células madre. Sé que ambos han hablado de las células madre y su relación con la DMAE, así que ¿podrían describir con un tanto más de detalle cómo se utilizan las células madre en la investigación, ¿cómo se convierten en epitelio pigmentario retiniano (EPR) y explicar a nuestra audiencia un poco más sobre ese proceso?

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, por supuesto. En realidad, existen dos tipos principales de células madre. Uno de ellos se denomina «pluripotente». Eso significa que puede dar lugar a cualquier tipo de célula del cuerpo. Es posible que la gente haya oído hablar de estas células madre pluripotentes. De hecho, la persona que las desarrolló recibió el Premio Nobel por este trabajo en 2012. Se trata del Dr. Shinya Yamanaka, de Japón. Fue un invento increíble. Se puede extraer una célula sanguínea o una célula cutánea de un paciente y luego reprogramar esas células para que, en lugar de ser simplemente una célula cutánea o sanguínea normal, se conviertan en pluripotentes y sean capaces de generar cualquier tipo de célula del cuerpo. Se trata de una tecnología extremadamente potente. Y para tomar estas células que pueden, literalmente, generar cualquier tejido y hacer que produzcan células del epitelio pigmentario retiniano (EPR), las células que nos interesan para reparar la capa de EPR en la DMAE, esas células deben cultivarse de una manera muy especial. Deben tratarse con pequeñas moléculas y factores de crecimiento que ayuden a orientarlas para que solo produzcan células del EPR. Se trata de un proceso bastante complicado, que puede llevar de semanas a meses, pero actualmente hay laboratorios en todo el mundo que lo han logrado, y estas células del EPR derivadas de células madre pluripotentes también se encuentran ahora en ensayos clínicos.

El segundo tipo de célula madre se denomina a veces «célula madre adulta» o «célula madre específica de un tejido»; me gusta ese término porque describe realmente dónde se encuentran. Así pues, hace unos 10 a 15 años, el Dr. Stern y yo descubrimos que había una célula madre en la capa del epitelio pigmentario retiniano ocular —en el ojo humano— y estamos sumamente agradecidos a las familias y a los pacientes que donan sus ojos para la investigación, porque esto es de gran ayuda y, sin ello, nunca

habríamos hecho este descubrimiento. Así que ahora sabemos que hay células madre adultas del EPR en el ojo. Podemos tomar ese tejido ocular, cultivar esas células y hacerlas crecer, y estas producen millones y millones de células epiteliales pigmentarias de la retina nuevas y frescas, las células del EPR. Y así, ahora las estamos probando en un ensayo clínico que Jeff está ayudando a dirigir junto con un equipo clínico. Así pues, esos son los dos tipos principales —pluripotentes y adultas— y estamos entusiasmados para ver qué se puede aprender sobre ellas y cómo pueden ayudar a los pacientes.

Dr. JEFFREY STERN: Un punto más que añadir, para complementar a lo que ha dicho Sally, y es que, por primera vez en la historia, la tecnología de las células madre nos ofrece un medio para generar grandes cantidades de células destinadas al estudio en el laboratorio o para su implementación clínica. Dado que las células madre, tanto las pluripotentes como las adultas, se autorreproducen —de hecho, las células madre se definen por su capacidad de autorrenovación, es decir, una célula da lugar a dos, y las dos a cuatro, y así sucesivamente—, esto nos permite, de nuevo, por primera vez en la historia, generar cantidades suficientes para tratar a pacientes con un tipo celular concreto. Y nuestro enfoque, por supuesto, se centra en la célula madre del EPR y en su progenie, las células hijas que se derivan de esa célula madre del EPR. Para la terapia de sustitución, un ojo de un donante genera miles de dosis.

Dr. JIMMY LIU: Vaya, qué explicación tan excelente sobre cómo se utilizan las células madre en la investigación y en las terapias, Dr. Stern y Dra. Temple. Es realmente emocionante que la terapia con células madre pueda ser una opción de tratamiento tan prometedora para la DMAE. Otra pregunta que tengo es sobre una terapia con células madre que se encuentra actualmente en fase de ensayos clínicos: la terapia con células del epitelio pigmentario retiniano (EPR) de Luxa Biotechnology para la DMAE seca y la atrofia geográfica. ¿Podrían explicar a nuestra audiencia qué son la DMAE seca y la atrofia geográfica, y cómo funciona esta terapia en Luxa Biotechnology?

Dr. JEFFREY STERN: La DMAE seca, como hemos mencionado anteriormente, se caracteriza por una pérdida de células del epitelio pigmentario retiniano (EPR), que mueren gradualmente a medida que envejecemos. Y en los casos más avanzados de DMAE seca, aparecen parches o zonas en las que se pierden todas las células del EPR, y se trata de lesiones bien delimitadas en la mácula que tratamos con nuestra terapia de sustitución. Estas lesiones de atrofia geográfica son bastante pequeñas, lo que supone una ventaja para la terapia, ya que solo se necesitan unas pocas células del EPR para sustituir a las que se han perdido.

Dr. JIMMY LIU: ¡Perfecto! Y, como pregunta complementaria: ¿Podrían hablar sobre la terapia celular de Luxa Biotechnology para la DMAE seca y la atrofia geográfica, y

explicar cómo funciona?

Dr. JEFFREY STERN: La terapia consiste en implantar células del epitelio pigmentario retiniano (EPR) debajo de la mácula para sustituir a las que se pierden debido a la DMAE seca. Estamos estudiando dos grupos de pacientes a los que denominamos «grupo con mejor visión» y «grupo con peor visión», en función de su agudeza visual inicial. Así pues, son elegibles los pacientes que son legalmente ciegos o que se encuentran en un estado peor debido a una DMAE seca avanzada, y también lo son los pacientes que se encuentran en una fase intermedia del proceso —que están perdiendo la visión para leer, perdiendo la capacidad de conducir, y aún en proceso—; estamos estudiando estos dos grupos por separado. El ensayo clínico de Luxa se denomina ensayo de seguridad y tolerabilidad con escalada de dosis. Por lo tanto, hasta ahora solo se ha tratado a 11 pacientes. Recientemente se han publicado los resultados de la primera cohorte de sujetos con dosis baja, que muestran una notable mejora en la agudeza visual, mejoras sorprendentes en la agudeza visual. Actualmente nos encontramos en la fase de dosis intermedia de células del EPR, de 150 000 células del EPR, y esperamos completar la cohorte final de trasplantes de dosis alta de 250 000 células del EPR este año. Y, de nuevo, todos queremos saber qué eficacia tiene para mejorar la visión: ese es nuestro objetivo, ese es el sueño. Y el primer paso en el ensayo clínico de fase 1, supervisado por la administración de alimentos y medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) y otras autoridades reguladoras, es determinar primero la seguridad. Y hasta ahora, habiendo superado ya la mitad del ensayo, no hemos observado que surja ninguna señal significativa de seguridad. Por lo tanto, estamos muy animados con la siguiente fase del ensayo.

Dr. JIMMY LIU: ¡Vaya, eso es increíblemente emocionante, Dr. Stern! Es realmente impresionante ver unos resultados preliminares tan positivos en sus grupos del ensayo. Como pregunta complementaria: en el caso de su terapia, y de hecho de las terapias con células madre en general, ¿cuántas veces tendría que recibir el tratamiento un paciente?

Dr. JEFFREY STERN: La dosis que decidimos sondear, la dosis baja de 50 000 células implantadas se basó en la cantidad de células que se pierden durante la progresión natural de la DMAE seca. Y la dosis de 50 000 células tiene como objetivo contrarrestar una o dos décadas de progresión de la DMAE seca. Por lo tanto, aunque por el momento no conocemos la respuesta, creemos que un único tratamiento contrarrestará una o dos décadas de progresión de la DMAE seca.

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, aquí el objetivo es un tratamiento de una sola toma. Pero podría ser necesario administrar otra dosis si, por ejemplo, fuera necesario.

Dr. JIMMY LIU: Muchas gracias por facilitarnos esa información. Otra pregunta que quizá se planteen algunas personas es: ¿Quién puede ser elegible en este ensayo, concretamente, en Luxa Biotechnology?

Dr. JEFFREY STERN: El requisito básico es, por supuesto, tener antecedentes de DMAE seca. Además, contamos con ciertas pautas de agudeza visual; por lo tanto, una agudeza visual de 20/70 a 20/800 es otro criterio de inclusión. También hay criterios de exclusión, como la ausencia de DMAE húmeda, y la edad debe ser inferior a 80 años. Los criterios específicos de inclusión y exclusión se pueden consultar en ClinicalTrials.gov o poniéndose en contacto con Luxa Biotechnology en info@luxabiotech.org.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. ¿Y siguen aceptando participantes para este ensayo clínico?

Dr. JEFFREY STERN: Sí, así es. Como ya he mencionado, hasta la fecha hemos tratado a 11 participantes, y el total del ensayo es de 18 participantes. Así pues, estamos terminando la cohorte de dosis media y, dentro de unos meses, comenzaremos con la cohorte de dosis alta. Estamos reclutando pacientes en tres centros. La mayoría de los primeros tratamientos se llevaron a cabo en el W.K. Kellogg Eye Center de la Universidad de Michigan, con el Dr. Rajesh Rao como investigador principal. Y hace unos meses, abrimos dos centros clínicos adicionales, uno en la Universidad de Stanford, en California, y el otro en LA Retina, una gran consulta situada en el Cedars-Sinai Medical Center, también en California.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Y otra pregunta que tengo es: ¿las personas interesadas en participar en este ensayo clínico pueden hacerlo, aunque ya se hayan inscrito en otro programa de investigación?

Dr. JEFFREY STERN: Sí, siempre y cuando haya transcurrido más de seis meses desde su último tratamiento experimental o ensayo clínico. Así, por ejemplo, los ensayos sobre inhibidores de los factores del complemento han concluido recientemente, por lo que esos sujetos, esos pacientes, podrían participar en nuestro ensayo.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Y, por último, otra pregunta que tengo es: ¿funcionará esta terapia para todo el mundo, independientemente del grupo demográfico al que pertenezcan?

Dr. JEFFREY STERN: Esa es una gran pregunta. La verdad es que, en este momento, no sabemos con certeza qué pacientes con DMAE seca son los más indicados para someterse a un implante de células madre del EPR. Hasta ahora, parece que los pacientes con peor visión son los que más se benefician tras el tratamiento, pero puede que haya otros factores, como el grado de atrofia que hayan sufrido las células

fotorreceptoras suprayacentes. Y parte del estudio de seguridad y tolerabilidad que se está llevando a cabo tendrá como objetivo identificar los factores que correlacionan la mejora de la visión con las características iniciales del paciente.

Dra. SALLY TEMPLE: Diría que has dado en el clavo con un aspecto que es realmente importante para nosotros, y nuestro objetivo al desarrollar este fármaco candidato era poder tratar, de la forma más amplia posible, a personas de distintos grupos demográficos. Por eso, a medida que avanza el ensayo y se incorporan más personas, es algo a lo que realmente queremos prestar mucha atención y asegurarnos de que, si resulta útil y es seguro, sea ampliamente accesible.

Dr. JEFFREY STERN: Hasta ahora no hemos observado pérdida de visión, y algunos pacientes mejoran su visión más que otros; por eso nos interesa mucho determinar quiénes experimentan una mejora significativa de la visión y quiénes solo una mejora moderada.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchas gracias por esa respuesta, Dr. Stern y Dra. Temple. Otra pregunta que tenía al respecto: sé que disponen de tres centros de inscripción para el ensayo clínico de Luxa Biotechnology. Entonces, una vez que alguien acude a uno de esos centros y está interesado en inscribirse, ¿qué ocurre a continuación?

Dr. JEFFREY STERN: Bueno, el ensayo cuenta con un proceso de selección formal para evaluar la visión y comprobar que el paciente cumple todos los criterios de inclusión y no cumple ninguno de los criterios de exclusión, de modo que pueda participar en el ensayo clínico propiamente dicho. Yo recomendaría que el oftalmólogo o el especialista en retina del paciente le realizara un examen antes de acudir a Stanford, Los Ángeles o la Universidad de Michigan para someterse a una evaluación más formal, que puede durar medio día. Por lo tanto, estudiamos a los pacientes con mucho detenimiento antes de incluirlos en el ensayo.

Dr. JIMMY LIU: Gracias. Y otra pregunta que tenía: pasando al ámbito general de las terapias con células madre, ¿hay algunos otros ensayos clínicos o empresas destacables que estén avanzando en este campo de las células madre y que los pacientes o familiares que participan en esta teleconferencia deban conocer?

Dr. JEFFREY STERN: Sí, hay algunos estudios en los que se utilizan células madre pluripotentes para obtener células descendientes del EPR que luego se implantan para tratar la DMAE. Uno de esos estudios, llevado a cabo por los NIH, utiliza lo que llamamos células madre pluripotentes inducidas; es decir, se extrae piel del paciente, se cultiva para obtener células del EPR y se reimplantan en el mismo paciente. Debo añadir que se trata de un ensayo muy costoso y que requiere mucho tiempo. En

este momento, Genentech, del Grupo Roche, ha adquirido una empresa, Lineage Cell Therapeutics, que utiliza EPR derivadas de células madre embrionarias para el trasplante en casos de DMAE seca. Y otra empresa, Astellas Corporation, también está desarrollando un producto de EPR derivado de células madre embrionarias —células madre pluripotentes— para el tratamiento de la DMAE seca. Ahora bien, quiero añadir aquí algo al respecto. En nuestra cultura actualmente hay mucha esperanza puesta en la tecnología de células madre, que ha avanzado notablemente, como ha descrito Sally, en las últimas décadas. Y eso ha dado lugar a la proliferación de clínicas de dudosa reputación que ofrecen terapia con células madre para diversas dolencias a cambio de dinero; no está probado, no se trata de un estudio clínico adecuado. Así pues, las tres que he mencionado, incluida una más, Regenerative Patch Technologies en California, están llevando a cabo estudios clínicos adecuados para conocer la seguridad y la eficacia y desarrollar productos basados en la ciencia y no en el lucro. No sé, Sally, si quieres añadir algo más sobre las formas en que podemos combatir el turismo de células madre, que se está produciendo en todo el mundo. Creo que la primera señal que hay que dar al público es: si le piden dinero, no vaya. Quizás Sally tenga algo más que agregar.

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, claro. Estoy de acuerdo. Se están llevando a cabo ensayos con células madre pluripotentes: varios en este país y también en otros. Creo que probablemente haya unos 12 ensayos clínicos sólidos en marcha en este momento en todo el mundo, por lo que vamos a aprender mucho más sobre cómo el reemplazo del EPR puede beneficiar a los pacientes. Y, por lo tanto, muchos de ellos dan lugar a artículos periodísticos. Podríamos simplemente seguir su progreso y ver cómo van. Solo para añadir algo a lo que ha dicho el Dr. Stern, hay dos formas principales de administrar las células del epitelio pigmentario retiniano. Una forma es introducir las células en forma de suspensión celular; ese es el enfoque que hemos adoptado nosotros y que ha adoptado Lineage Therapeutics, ya que nuestros métodos consisten en cultivar las células en un pequeño parche y luego inyectar ese parche bajo la retina con un dispositivo especializado... Regenerative Patch Technologies, y también el ensayo del Dr. Kapil Bharti en el Instituto Nacional del Ojo. Por lo tanto, al analizar o examinar los resultados de estos diferentes ensayos, es importante saber si el enfoque consiste en inyectar las células en una suspensión o en cultivarlas en un parche.

Y yo también me sumo a lo que ha dicho el Dr. Stern: es muy importante verificar... si estás pensando en participar, comprueba que se trate de un ensayo clínico legítimo. La Sociedad Internacional para la Investigación con Células Madre (ISSCR, por sus siglas en inglés) ha publicado unas directrices dirigidas a los pacientes, que están disponibles en su página web. Estas directrices ayudan a identificar el tipo de preguntas que debes

hacer para asegurarte de que el ensayo del que estás informándote es realmente legítimo.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchísimas gracias, Dr. Stern y Dra. Temple. Es sumamente importante conocer esos ensayos clínicos concretos y saber si es seguro y eficaz que las personas participen en ellos. Y, como pregunta complementaria, Dr. Stern y Dra. Temple, sé que ambos han hablado de los diferentes tratamientos con células madre que existen, además de los de Luxa Biotechnologies. ¿Hay alguno de esos tratamientos con células madre disponible para tratar la DMAE húmeda?

Dr. JEFFREY STERN: Hay estudios menos avanzados que los que hemos mencionado, en los que se puede extirpar la parte húmeda de la DMAE —por así decirlo— y, a continuación, implantar el EPR. Además, una publicación reciente sugería que se trata de un enfoque muy prometedor, aunque se encuentra en una fase inicial de desarrollo.

Dr. JIMMY LIU: Gracias. Otra pregunta que tengo es: ¿Cuáles son los principales retos a los que todavía siguen enfrentándose los investigadores y los médicos a la hora de lograr que las terapias con células madre sean ampliamente accesibles y eficaces para los pacientes con DMAE?

Dr. JEFFREY STERN: Pues bien, aparte de conocer los resultados, la eficacia y la seguridad de estos tratamientos, hay cuestiones muy prácticas que frenan el avance. Los gastos de fabricación, los procesos de fabricación y los protocolos pueden resultar onerosos. Bueno, se trata de una tecnología nueva. La FDA está trabajando arduamente para aprender a regular la fabricación y la administración de estas células de modo que no se cause ningún daño, pero eso resulta costoso en esta fase inicial, en la que es posible que tengamos que pasar por diez controles diferentes para cada producto, cada dosis que producimos, con el fin de cumplir las estrictas directrices establecidas por la FDA, en las que creemos en esta fase inicial. Creo que la terapia con células madre se está perfilando, en los últimos 10 años, como una vía muy emocionante y prometedora para los nuevos medicamentos. Y al principio, debemos ser cautelosos. Debemos ir poco a poco.

Dra. SALLY TEMPLE: Sí. Estoy de acuerdo con eso. Ya sabes, se trata realmente de una nueva frontera, una nueva modalidad. Creo que todo el mundo conoce los fármacos de moléculas pequeñas, los anticuerpos, como la terapia anti-VEGF, que ha sido tan importante para las personas con DMAE húmeda. Así pues, los productos biológicos, los productos biológicos de moléculas pequeñas y las células son realmente una nueva frontera, y aunque estamos en los inicios y todos estamos aprendiendo cómo fabricarlos y cómo garantizar que los productos sean reproducibles, seguros y eficaces,

hay muchos laboratorios de investigación y muchas empresas que también participan en esto e impulsan el avance del campo. Por lo tanto, hemos visto muchos avances en estas áreas, y estoy segura de que habrá más. Es realmente un área en crecimiento, y se están logrando importantes resultados a lo largo del camino.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchísimas gracias, doctor Stern y doctora Temple. Me gustaría cambiar de tema y hablar del papel que desempeñan los pacientes y los cuidadores en el avance de esta investigación, especialmente en la investigación con células madre. ¿Qué papel desempeñan los pacientes y los cuidadores en el avance de la investigación con células madre, ya sea a través de la participación, la defensa de la causa o la educación?

Dr. JEFFREY STERN: Bueno, en primer lugar, voy a responder a tu pregunta de forma indirecta para dar las gracias a BrightFocus. Creo que hace ya una década o más, BrightFocus nos proporcionó las subvenciones, la financiación y el apoyo necesarios para descubrir las células madre del epitelio pigmentario retiniano, así que muchas gracias. Y, por supuesto, se necesita más financiación. Me tomó por sorpresa que la actual administración haya recortado la financiación de los NIH. Esperemos que la situación se recupere. Necesitamos personal, necesitamos equipos y necesitamos suministros para avanzar con la mayor rapidez y seguridad posible. No me gusta decir «sus congresistas». Creo que los congresistas nos apoyan. Tenemos que volver a consolidar en pie a los NIH, que han sido el principal apoyo de nuestro trabajo. Y los cuidadores pueden ayudar al paciente a lo largo de su vida. El don de la vista, claro, y sufrir una pérdida de la visión central puede ser muy limitante, así que investigar qué tratamientos seguir, qué ensayos son buenos, acudir a las visitas de detección, vivir la vida. Los cuidadores son esenciales para el cuidado de los pacientes con DMAE.

Dra. SALLY TEMPLE: Yo añadiría que también tengo cierta experiencia personal, ya que mi madre padecía DMAE, por lo que aprendí de primera mano, a través de nuestra familia, el gran impacto que tiene esta enfermedad en la vida de una persona. Eso fue, sin duda, una gran causa de motivación para mí a la hora de involucrarme. Jeff tiene pacientes, tantos pacientes a los que no puede ayudar, pero juntos decidimos que esto era algo en lo que realmente queríamos investigar y desarrollar nuevas terapias. Y esto es porque tú tienes a los pacientes, mientras que los cuidadores tienen la experiencia del mundo real. Y estoy totalmente de acuerdo con Jeff. Es muy importante escuchar esa voz y decirle a quienes formulan las políticas sobre investigación y desarrollo de terapias lo crucial que es poder trabajar y mejorar esta enfermedad tan prevalente. Una de cada cinco personas mayores de 75 años, eso es una cifra enorme, y realmente necesitamos trabajar ahora mismo en estos nuevos enfoques terapéuticos y averiguar cómo mejorar la vida de todas las personas afectadas.

Dr. JIMMY LIU: Sí. Muchísimas gracias, doctor Stern y doctora Temple. Es realmente importante saber que la financiación de la investigación... BrightFocus no solo financia la investigación sobre la degeneración macular, el glaucoma y el Alzheimer, sino también a todas las entidades, tanto gubernamentales como no gubernamentales. Es importante financiar esta investigación para que los pacientes puedan acceder lo antes posible a estas terapias innovadoras y de vanguardia, de modo que podamos ayudarles a conservar la vista o la capacidad cognitiva. Y, por eso, otra pregunta que tengo es: ¿hay algo que les gustaría compartir con los pacientes que se sienten esperanzados, pero también un poco cautelosos, respecto a las terapias con células madre?

Dr. JEFFREY STERN: Creo que «esperanzados y cautelosos» es lo más adecuado en este momento. La tecnología en el campo de la biología ha estado surgiendo en las últimas décadas. Es el equivalente a la transición del teléfono de disco que había a los complicados teléfonos inteligentes que tenemos ahora. Somos capaces de hacer mucho más, y creo que el tratamiento eficaz y seguro debería haber estado en nuestras manos ayer mismo, y todos lo queremos ya. Estamos avanzando rápidamente, con la mayor seguridad posible. Está funcionando en las primeras fases. Está surgiendo una gran esperanza, una esperanza real. Es posible que nos llevemos una decepción, pero todo apunta a que dispondremos de un tratamiento más eficaz, al menos para algunos pacientes con DMAE, en un futuro no muy lejano. Las empresas que están trabajando en el EPR derivado de PSC nos llevan un poco de ventaja, ya que se encuentran en lo que se conoce como fase 2b, por lo que la FDA está en pleno proceso de aprobación del fármaco. Nosotros estamos a uno o dos años de eso; de tres a cinco años parece un plazo razonable para esperar una respuesta definitiva, por así decirlo, sobre la seguridad y la eficacia de estos tratamientos. Es un momento muy emocionante, no solo para la DMAE, sino para muchas enfermedades, pero hay que actuar con cautela. Se trata de nuevas terapias.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchas gracias, Dr. Stern. Tengo varias preguntas de los oyentes. Mucha gente está muy interesada en la terapia con células madre y en el ensayo clínico de Luxa Biotechnology. Una pregunta que me ha hecho uno de nuestros oyentes es: ¿por qué se ha fijado en 80 años la edad máxima para participar? Y, en general, ¿cómo se determina la edad máxima para los ensayos clínicos?

Dr. JEFFREY STERN: Se trata de un límite de edad totalmente práctico, y no se aplica a la admisión en el ensayo, sino al donante ocular del que proceden las células que vamos a trasplantar. Quizá no lo haya expresado con suficiente claridad antes. Descubrimos que las células madre del EPR siguen activas en donantes de 90 años, donantes de ojos, pero consideramos que, dadas las comorbilidades que tienden a acumularse con el tiempo, sería más seguro limitar la edad de los donantes de ojos

a 80 años o menos. Tener más de 55 años es otro requisito que define la DMAE seca. Todavía no estamos estudiando la degeneración macular juvenil.

Dra. SALLY TEMPLE: A ver si me explico: no hay un límite de edad máximo para recibir un trasplante, pero sí lo hay para donarlo. Disculpe la confusión.

Dr. JIMMY LIU: No hay problema. Muchas gracias por la explicación. Otra pregunta que nos ha llegado de un oyente es: si el ensayo clínico de Luxa tiene éxito —quizá sea una pregunta difícil de responder—, ¿para cuándo esperan que la FDA lo apruebe?

Dr. JEFFREY STERN: Bueno, eso significaría que el ensayo ha sido un éxito, y el proceso de ensayos clínicos de la FDA consta de tres fases: la fase 1, la fase 2 y la fase 3. La fase 1 se centra exclusivamente en la seguridad. La fase 2 combina seguridad y eficacia. Y la Fase 3 es la evaluación final de seguridad y eficacia. Y estamos a mitad de la Fase 1/2a, así que contamos con 18 personas —perdón, 11 personas—. La completaremos este año. Probablemente se necesitarán otros 30 o 40 sujetos para la Fase 2b; tal vez ese sea lo que denominamos un ensayo pivotal, que conducirá a la evaluación final por parte de la FDA para su aprobación.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Tenemos otra pregunta de un oyente: en lo que respecta al cultivo de las células madre, ¿cómo se puede controlar su crecimiento una vez extraídas de la fuente? Y, en general, ¿cómo se cultivan y controlan estas células madre?

Dr. JEFFREY STERN: Excelente pregunta. Se la voy a pasar a la Dra. Temple, directora científica.

Dra. SALLY TEMPLE: Muchas gracias por esa pregunta. Es muy importante. Bien, hemos hablado de dos tipos de células madre. Unas son las células madre pluripotentes, que pueden dar origen a cualquier tipo de célula. Además, tienen un potencial proliferativo realmente enorme. De hecho, la FDA exige una purificación muy minuciosa de las células del epitelio pigmentario retiniano (EPR) para separarlas de esas células madre, ya que no quieren que se produzca un crecimiento excesivo en el que, si quedaran células madre residuales en el producto, pudiera producirse un tumor en el ojo. Ahora bien, te diría que, de todos los ensayos con células pluripotentes que se están llevando a cabo, y ha habido muchos pacientes tratados hasta la fecha, ninguno ha presentado ese crecimiento anormal en el ojo, pero hay que ser muy cuidadoso. En cuanto a las células que proceden del ojo adulto, aquellas con las que nosotros y Luxa Biotech estamos trabajando en nuestro ensayo clínico, dejan de dividirse antes de introducirlas en el ojo, no continúan dividiéndose allí y no forman ningún crecimiento anormal. Así que creo que esta es una de las ventajas de utilizar una célula adulta o específica

de un tejido: que realmente responde muy bien a las condiciones de control y deja de proliferar, por lo que no tenemos que preocuparnos por eso. Diría que es algo que seguimos monitoreando, obviamente, en los pacientes. Queremos asegurarnos de que lo que vemos en los estudios con animales —la ausencia de crecimiento de estas células— también ocurra en los seres humanos. Así pues, lo que estamos observando —y lo que esperamos ver— es que las células se integren en la capa del epitelio pigmentario retiniano, que ocupen su lugar, pero que no crezcan en exceso ni provoquen, ya sabes, crecimientos anormales.

Dr. JEFFREY STERN: Yo añadiría algo más a eso, solo para ampliar la idea, y diría lo siguiente: estas células madre del EPR, las células madre del EPR específicas de tejido que utilizamos, están presentes en la naturaleza, y su función en ella es generar el EPR. Por lo tanto, una estrategia fundamental, por así decirlo, consiste en aprovechar la naturaleza e intentar reproducir lo que ha ocurrido en fases anteriores del desarrollo para restaurar la capa del EPR.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchísimas gracias, Dra. Temple y Dr. Stern, por abordar una cuestión científica tan potencialmente compleja y explicarla en términos sencillos. Muchísimas gracias. La última pregunta que tenemos es: ¿Dónde pueden acudir los oyentes para obtener más información o mantenerse al día sobre la investigación con células madre para la DMAE?

Dr. JEFFREY STERN: Creo que BrightFocus es un recurso extraordinario para informarse sobre la DMAE, y además cuentan con su página de ensayos clínicos. Yo diría que, a un nivel un tanto más amplio y de manera más general, leer de la investigación sobre las terapias con células madre que se están desarrollando. La página web de la ISSCR es excelente. Hay tanto interés en la terapia con células madre que cada avance sale en las noticias. Sigo las noticias para complementar la lectura de revistas médicas y científicas, donde vemos los datos reales. La Dra. Temple y yo asistimos a reuniones en las que se presentan resultados de vanguardia antes de su publicación. Así que, para el público, diría que lea las noticias. Busca en Google «células madre del EPR» y encontrarás avances.

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, y otra página web, por supuesto, es ClinicalTrials.gov, donde encontrarás listados de ensayos clínicos que se están llevando a cabo actualmente. Sin embargo, hay que tener cuidado, ya que la información se publica allí basándose en la buena fe de los usuarios, por lo que debemos confiar en que sea fiable. De hecho, la página incluye un aviso legal, pero ClinicalTrials.gov puede ser una buena fuente para buscar información sobre ensayos clínicos relacionados con el epitelio pigmentario retiniano (EPR) y las células madre.

Dr. JIMMY LIU: Perfecto. Muchísimas gracias, Dra. Temple y Dr., Stern, por todas las ideas que han compartido hoy conmigo y con la audiencia. Una vez más, muchas gracias por toda la información que han compartido con nosotros hoy. A nuestros oyentes, muchas gracias por acompañarnos en nuestro «Macular Chat». Espero de todo corazón que les haya resultado muy útil. Dr. Stern y Dra. Temple, antes de terminar, ¿tienen algún comentario final para nuestra audiencia de hoy?

Dr. JEFFREY STERN: Gracias por su atención. Gracias de nuevo, Amanda y Dr. Liu, por organizar y dirigir esta teleconferencia. Es maravilloso poder compartir los emocionantes avances que se están logrando en las terapias con células madre para la degeneración macular. Y me gustaría dar las gracias de nuevo a BrightFocus Foundation por habernos abierto el camino hacia esta vía tan prometedora.

Dra. SALLY TEMPLE: Sí, y estoy totalmente de acuerdo con todo eso. Solo quiero dar las gracias al público por todo su interés y por seguir prestando atención a este apasionante campo, así como a los participantes en los ensayos que se están llevando a cabo. Realmente se esfuerzan mucho por acudir a las citas de selección y someterse a todas las pruebas necesarias. Y sin su participación, no podríamos avanzar. Ninguno de los ensayos de los que hemos hablado podría avanzar. Por eso, estamos enormemente agradecidos por el interés y la participación de todos. Y gracias. Gracias a todos por asistir hoy, y gracias a BrightFocus por organizar este evento y por las maravillosas preguntas.

Dr. JIMMY LIU: Muchísimas gracias, Dra. Temple y Dr. Stern. En BrightFocus estamos muy entusiasmados por poder financiar su investigación y de contribuir a que esta dé lugar al ensayo clínico que se está llevando a cabo actualmente en Luxa Biotechnology. Así que, gracias de nuevo por acompañarnos hoy. Nuestra próxima sesión de «Macular Chat» tendrá lugar el miércoles 19 de noviembre. Con esto concluye la sesión de «Macular Chat» de hoy.

Recursos útiles y términos clave

BrightFocus Foundation: (800) 437-2423 o visítenos en www.BrightFocus.org. Los recursos disponibles incluyen —

- [Macular Chats Archive](#)
- [Research funded by Macular Degeneration Research](#)
- [Overview of Macular Degeneration](#)

Entender la investigación con células madre para la degeneración macular

- [Tratamientos para la degeneración macular](#)
- [Resources for Macular Degeneration](#)
- [Expert Advice for Macular Degeneration](#)
- [Article: Can Stem Cells Improve Vision in People With Macular Degeneration?](#)

Otras herramientas y recursos útiles para la baja visión mencionados durante el chat se incluyen:

- [Luxa Biotechnology](#)
- [ClinicalTrials.gov](#)
- [Lineage Cell Therapeutics](#)
- [Astellas Corporation](#)
- [Regenerative Patch Technologies](#)
- [International Society for Stem Cell Research \(ISSCR\)](#)
- [What Should I Ask When Considering Taking Part in a Clinical Trial?](#)