

## **SESIÓN PLENARIA 2: ENSAYOS CLÍNICOS- HOY Y MAÑANA, PARTE 1**

### **Factores de crecimiento en terapias para la distrofia de la retina,**

*Weng Tao*, Lincoln Rhode Islnd, EEUU

Objetivo: Investigar si el “Factor Neurotrófico Ciliar” ( ciliar neurotrophic factor, CNTF), aplicado a través de un implante ECT (Tecnología Celular Encapsulada) , conserva la visión en pacientes con atrofia geográfica (AG) o retinitis pigmentaria (RP).

Propósito: Actualmente no hay disponible un tratamiento eficaz para la pérdida de visión asociada con GA y RP. NT-501 ( implante intraocular que consiste en células humanas que han sido modificadas genéticamente para secretar el factor neurotrófico ciliar, CNTF) ha demostrado su eficacia potencial en la fase 1 del estudio en pacientes con RP en estadio tardío. El presente estudio quiere evaluar la seguridad y eficacia de NT-501 en la fase 2 del ensayo para GA (CNTF2) y en la fase 2 del estudio para la RP tardía (CNTF3) o RP temprana (CNTF4) en los EE.UU.

Método: El estudio CNTF2 consta de 48 participantes y los estudios de CNTF3 y CNTF4 se componen cada uno de 60 participantes. Estos estudios permitirán que se elabore información segura para desarrollar un perfil de seguro del implante, y permitir que la evaluación de los resultados de eficacia primarios y secundarios puedan ser utilizados en futuros estudios.

Resultados: Hasta la fecha, los resultados obtenidos de estos estudios sugieren que el implante NT-501 y el procedimiento de implante, son bien tolerados y seguros. Existe un aumento del espesor de las capas de fotorreceptores de la retina en ojos tratados con CNTF en los tres estudios. Además, la se observó la estabilización de la función visual.

### Conclusión

El CNTF aplicado por implante ETC intraocular aumenta el espesor de la retina sin efectos adversos graves en los ojos de los pacientes con GA y RP. El cambio estructural estuvo

acompañado por la correspondiente estabilización de la agudeza visual en los pacientes con GA. Para los pacientes con RP, queda por determinar si este cambio estructural presagia un beneficio funcional de los pacientes en un tratamiento de mayor duración.

### **Terapia génica de reemplazo para la distrofia de la retina,**

Jean Bennett, Philadelphia, USA

### **Visión artificial,**

*Prof. Dr. Dr. h. c. mult. Eberhart Zrenner* , Centro de Oftalmología, Instituto de Investigación Oftalmológica, Universidad de Tubinga, Alemania

En la última década, alrededor de 100 personas en todo el mundo han recibido varios tipos de implantes electrónicos para restaurar la pérdida de la función visual or degeneraciones de la retina.

Hace cerca de 18 años, varios grupos en el mundo comenzaron a desarrollar varias ideas por las cuales la función de los fotorreceptores degenerados es reemplazada por dispositivos electrónicos. Hoy en día hay básicamente tres ideas se están llevando a cabo:

- Epirretiniana,
- El enfoque subretinal
- El enfoque supracoroidal,

La prótesis de retina, ARGUS II de la compañía Second Sight, se basa en una videocámara y su procesador que cuenta con una densidad de 60 electrodos epirretinales, se ha aplicado en 30 sujetos en un ensayo clínico y ha recibido la aprobación de la Comunidad Europa para la etapa final retinosis pigmentaria. , con aplicaciones clínicas introducidas recientemente en varios lugares. En el sistema Argus II, el receptor de

imagen esta fuera del cuerpo, en el marco de las gafas, sin relación con el movimiento del ojo y la mirada.

El implante de subrutina, Alpha IMS, de Retina Implant AG, Alemania, es un microchip con 1500 fotodiodos y 70µm, que tiene la mayor densidad de píxeles disponibles para los pacientes hasta la fecha. Se ha implantado hasta ahora en 29 pacientes, y ha permitido a algunos pacientes a leer palabras otra vez, reconocer la expresión facial y encontrar un cuchillo, cuchara, taza, plato o una cerveza en una mesa.

En la actualidad sólo hay dos estudios clínicos en marcha en todo el mundo, el Argus II y el estudio Alfa-IMS. Muchos otros grupos también están trabajando duro para desarrollar implantes de visión artificial en las personas ciegas, y también para el espacio supracoroideo.

De todos estos desarrollos y de los estudios clínicos que se están llevando a cabo, se puede predecir que los implantes electrónicos, finalmente estarán disponibles para las personas ciegas para la restitución de las capacidades visuales que son verdaderamente útiles en la vida diaria. Sin embargo, los enfoques de la competencia, tendrán que someterse a la prueba del tiempo.

**Optogenetica, Botond Roska,**

*Basel Botond Roska , Switzerland*

**SIMPOSIO PARA PACIENTES: HACER FRENTE A LA RETINOSIS PIGMENTARIA**

**Estrés o desafío, Dr. phil. Eva Maria Glofke Schulz,** Psicoterapeuta, Rosenheim, Alemania.

**Como vivir con retinosis pigmentaria, Michael Herbst, DVBS e.V. Marburg, Alemania**

En mis treinta y tantos años he perdido la posibilidad de leer y he me he convertido en finalmente ciego. Durante diez años he estado trabajando como consultor para las personas ciegas y deficientes visuales parciales en temas relacionados con sus perspectivas educativas y profesionales.

Voy a usar la conferencia para hablar, desde mi experiencia personal y como consultor, de tendencias básicas de un proceso cuyo resultado es la ceguera, así como de las reacciones de mi entorno y de mi conocimiento científico. Me gustaría indicar cinco conclusiones que a menudo se hacen cuando se aconseja a una persona que se está quedando ciega. Me gustaría explicar estas conclusiones en detalle y conectarlas con recomendaciones para las personas afectadas, sus familias y consultores:

- La mitad de las personas que se comienzan a quedarse ciegas son más infelices que antes. Cómo afrontar que la pérdida de visión esta influyendo en la nuestra personalidad de la persona afectada. Esto se puede cambiar. Las personas que toman este reto y se dan el tiempo suficiente a si mismos para gestionar esto serán mas felices al final.
- Sólo la persona afectada dictará el "calendario" de hacer frente a la ceguera. El proceso de quedarse ciego lleva la desesperación, la rabia, el dolor y la aceptación. El entorno social debe saber: recordar: sí, insistir; no.
- Personas con discapacidad visual a menudo se agotan. No hay visión pero aún no son ciegas. Ellos no saben lo que ven y lo que no ven, se ven tentados a menudo a ocultar su desventaja y cualquier desventaja de ser deficiente visual es individual. Personas con discapacidad visual tienen desventajas relativas a la obtención de información y por lo tanto deben exigir una compensación
- Los familiares pueden reforzar pero son parte del cambio,. Perder la vista se puede comparar con el aterrizaje de un avión. La vista empeora, se produce la ceguera y la

vida se tiene que gestionar. A menudo hay frenos en el entorno social. Es mejor que el entorno se comporte con la mayor normalidad posible

- En muchos casos la consulta comienza demasiado tarde. Esto provoca retrasos en la rehabilitación. Aquí, los oftalmólogos están en una posición clave y deben construir redes de auto ayuda.

### **Perspectivas de los miembros de la familia** , Ingrid Pasker, PRO RETINA, Alemania

Los familiares, desde el punto de vista de esta charla, son los cónyuges, otros familiares, compañeros cercanos y otras personas con estrecha relación a los pacientes que sufren degeneración de la retina. De esta manera el enfoque de esta conferencia es para los cónyuges y gente cercana.

Todos estos familiares, compañeros, así como los enfermos por degeneración de la retina, están involucrados en una red familiar y social. Los familiares y compañeros ven y experimentan la pérdida, el dolor y los temores sobre el futuro de los enfermos. Pero también ven y experimentan la situación, están personalmente en ella porque su relación de cercanía. Las ideas y los sueños han tenido que ser abandonadas, nuevos objetivos y cargas de la vida cotidiana llegan a ellos. Por ello una vida propia a menudo ya no es posible. Con el fin de obtener la satisfacción de la vida se requiere mucha creatividad. Por esa razón las siguientes ideas pueden ser de alguna ayuda: aceptar la vida tal como es, dejar ir las pérdidas, los sueños que ya no se puedan realizar, las relaciones que no merecen la pena., todo ello con el objetivo de conseguir independencia y libertad para los objetivos que vengan en el futuro,

### **Desde el punto de vista de los padres,** *Stephen Jones*, RP Fighting Blindness, Buckingham, UK

Stephen Jones es miembro de la Junta de Síndicos de la organización de pacientes británicos, RP Fighting Blindness, (anteriormente conocido como la British Retinitis Pigmentosa

Society). Su hijo Ben, fue diagnosticado con RP a la edad de 8, en 1987, y ahora tiene 33 años. La presentación es una historia personal de un viaje, desde el momento que recibieron la terrible noticia del diagnóstico, seguido por la ira, hasta la aceptación y la determinación de apoyar a Ben para llegar a sus objetivos en muchas áreas de la vida, incluyendo la educación, el trabajo, la vida familiar, y no menos importante, la satisfacción de un espíritu aventurero. La presentación también señala el papel muy importante desempeñado por la organización de los pacientes dando información y apoyo.

### **SESIÓN PLENARIA 3: ENSAYOS CLÍNICOS, HOY Y MAÑANA, PARTE2**

**Ensayos clínicos: ¿por qué tanto tiempo y tan caros?, Alan Bird, London, UK**

**Siguiente paso en la terapia de sustitución de genes: los fotorreceptores, Robert E. MacLaren, Oxford, UK**

**Terapia con células madre, Robin Ali, London, UK**

### **SESIÓN PLENARIA 4: CLAUSURA.**

**Expectativas de futuro para la degeneración macular, Prof. Dr. Joe Hollyfield, Cole Eye Institute Cleveland Clinic, EE.UU.**

Esta presentación ofrece una visión general sobre la degeneración macular relacionada con la edad (AMD, en sus siglas en inglés) Los temas específicos tratados se centrará en las siguientes preguntas:

- ¿Por qué AMD está localizada en la mácula?
- ¿Cuáles son los factores de riesgo ambientales y genéticos para el desarrollo de AMD
- ¿Cómo desarrollar la enfermedad?

- ¿Cómo la ceguera causa la enfermedad?
- ¿Cuáles son las diferencias entre AMD húmeda y seca? (5)
- ¿Qué causa la AMD?
- ¿Qué se hace para tratar la DMAE?
- ¿Se puede AMD prevenir en el futuro?

El enfoque general de los debates en torno a cada una de estas preguntas permitirá una mejor comprensión de la AMD.

**Expectativas de futuro para la retinosis pigmentaria**, *Gerald J. Chader*, Ph.D. Doheny Retina Institute, USC Medical School, Los Ángeles, EEUU.

Mucho se sabe acerca de las degeneraciones retinianas hereditarias. En concreto, se sabe lo suficiente para demostrar científicamente la "prueba de principio" en modelos animales con RD, intervenciones que pueden ser a la vez eficaces y seguras. Sobre esta base, los ensayos clínicos con humanos para estas enfermedades se están llevando a cabo mucho más. Así, ahora, nos hemos movido del trabajo básico al laboratorio para hacer pruebas en humanos de una variedad de tratamientos para enfermedades degenerativas retinianas

Por último, Francia invito a los presentes al Congreso Mundial de RI que se llevará a cabo en 2014, para acabar con los últimos comentarios y despedida de Christina Fasser.

A lo largo de los dos días de Congreso, se llevaron a cabo los siguientes grupos de trabajo:

**GRUPOS DE TRABAJO DESARROLLADOS: :**

- Retinosis Pigmentaria, Ullrich Kellner.
- Maculopatías hereditarias, Hendrik P.N. Scholl.
- Cromosoma X vinculado a retinopatías, Birgit Lorence
- Síndrome de Usher, Klaus Rütther



**FARPE**  
Federación de Asociaciones  
de Retinosis Pigmentaria de España

*Federacion de Asociaciones de Retinosis Pigmentaria de España*  
*C/ Montera, 24 – 4º - J, Madrid 28013*  
*Tel.: 915 320 707*  
*Fax: 915 222 118*  
*E-mail: [farpe@retinosisfarpe.es](mailto:farpe@retinosisfarpe.es)*  
*Web: [www.retinosisfarpe.es](http://www.retinosisfarpe.es)*

- Síndrome Bardet Biedl, Carsten Bergmann.
- DMAD, Aland Bird.