

## Investigación de nuevo tratamiento para la esclerosis sistémica

**La esclerosis sistémica (SSc) es una forma sistémica de esclerodermia con una rápida progresión, para la que actualmente aún no hay tratamiento.**

La esclerosis sistémica es una enfermedad crónica autoinmune que se caracteriza por la fibrosis del tejido conectivo, afectando órganos como el corazón, los riñones, pulmones y la piel. La enfermedad pulmonar intersticial es una de las principales manifestaciones de la esclerosis sistémica, pudiendo llegar a ser, en función del grado de inflamación pulmonar y fibrosis, una enfermedad severa del pulmón. La esclerosis sistémica con enfermedad pulmonar intersticial puede alcanzar una tasa de mortalidad a los 10 años del 50%<sup>1</sup>, con aproximadamente el 30% de los fallecimientos en SSC atribuibles a fibrosis pulmonar<sup>2</sup>.

Aunque el proyecto de investigación DeSScpher<sup>3</sup> incluye ensayos observacionales<sup>4</sup> con el objetivo de mejorar nuestro entendimiento de las condiciones de la enfermedad así como la calidad de vida de los pacientes, aún existen necesidades por cubrir en cuanto a tratamientos de la enfermedad o de órganos específicos en la esclerosis sistémica.

La buena noticia es la iniciación de un ensayo de fase II para la investigación de la eficacia general y seguridad del CC-4047 (pomalidomide) en pacientes de esclerosis sistémica con enfermedad intersticial del pulmón. El CC-4047 ha demostrado potentes efectos antifibróticos en un modelo preclínico de fibrosis de piel, y los investigadores, liderados por el Dr. Jörg Distler de la Universidad de Erlangen-Nuremberg en Alemania, llegaron a la conclusión de que estos datos respaldan estudios clínicos en esclerosis sistémica<sup>4</sup>.

El ensayo, titulado "*Estudio de fase II de prueba de concepto, multicéntrico, randomizado, doble ciego, controlado con placebo para evaluar la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética, farmacodinámica y eficacia de pomalidomida (CC-4047) en pacientes con esclerosis sistémica cutánea difusa con enfermedad pulmonar intersticial*" [NCT01559129]<sup>5</sup> ha sido diseñado para evaluar la seguridad y eficacia del tratamiento con CC-4047 en pacientes de esclerosis sistémica con enfermedad pulmonar intersticial. Desde su iniciación, se cuenta actualmente con 47 centros activos en 10 países: Alemania, Australia, España, Estados Unidos, Francia, Italia, Polonia, Reino Unido, Rusia y Suiza. El objetivo es involucrar a 88 pacientes en un año, y aproximadamente en 55 centros.

La progresión de esta terapia potencial en fase II es muy alentadora, particularmente en una enfermedad tan rara y para la que no se dispone de tratamiento. Para participar en el ensayo, o simplemente para mayor información, se puede consultar la página web <http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01559129>.

### Referencias:

1. Mayes MD *et al.* *Arthritis Rheum* 2003;**48**:2246–2255.
2. Steen VD *et al.* *Ann Rheum Dis* 2007;**66**:940–944
3. <http://www.eustar.org/index.php?module=ContentExpress&func=display&ceid=110&bid=19&bttitle=eustar&meid=70>
4. EUROPA Cordis. [http://cordis.europa.eu/search/index.cfm?fuseaction=proj.document&PJ\\_RC�=13430917](http://cordis.europa.eu/search/index.cfm?fuseaction=proj.document&PJ_RC�=13430917).
5. Weingärtner S *et al.* *Ann Rheum Dis* 2012;**71**:1895–1899.
6. ClinicalTrials.gov 2012. <http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01559129> (accessed March 2013).