

Un Camino Brillante hacia Adelante

pg.4

Sumario

Un Camino Brillante
hacia Adelante
pg. 4

Espíritu
Inquebrantable
pg. 8

¿Qué es la RCEMP?

pg. 6

Movimiento en el Frente de la Investigación

pg. 10

Manuscritos de Investigación Publicados

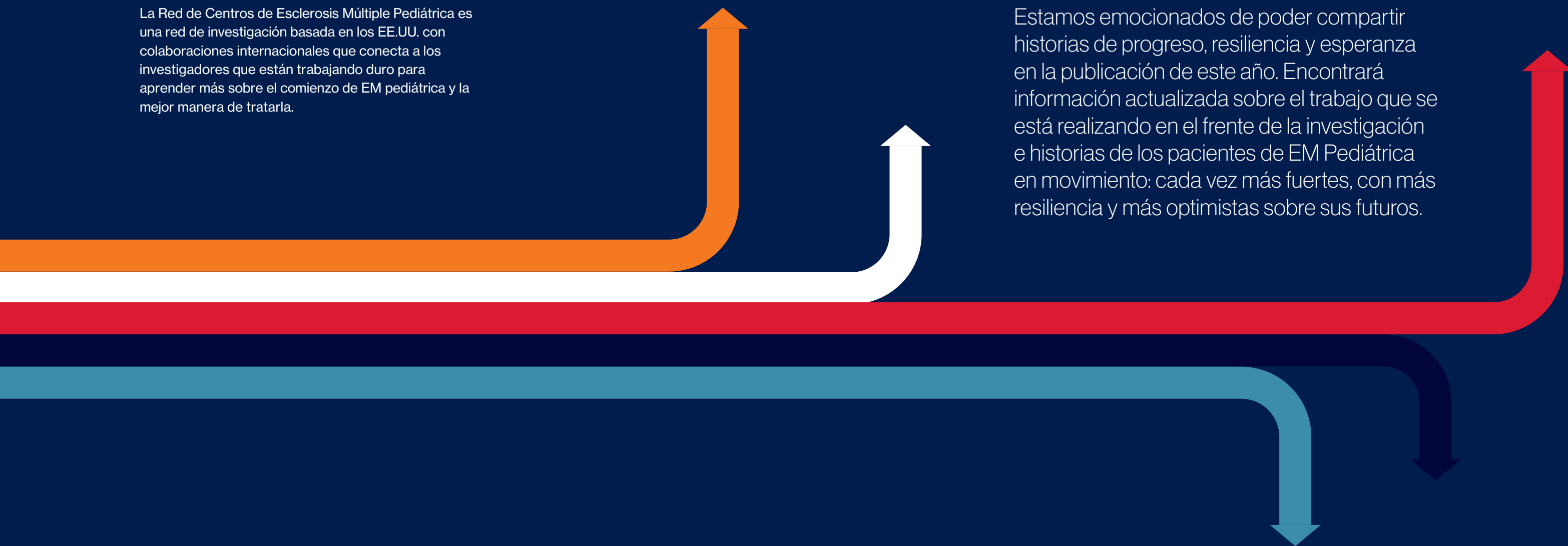
pg. 13



La Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica es una red de investigación basada en los EE.UU. con colaboraciones internacionales que conecta a los investigadores que están trabajando duro para aprender más sobre el comienzo de EM pediátrica y la mejor manera de tratarla.

Los jóvenes están encontrando su voz, tratando de lograr sus sueños y abriendo el camino a otros. Los investigadores están obteniendo nuevas perspectivas sobre la EM y abriendo nuevas puertas al conocimiento. Las asociaciones están reuniendo a los pacientes, a los cuidadores y a los investigadores para buscar soluciones. Durante el último año, hemos continuado viendo el impulso en la lucha para conquistar la EM pediátrica.

Estamos emocionados de poder compartir historias de progreso, resiliencia y esperanza en la publicación de este año. Encontrará información actualizada sobre el trabajo que se está realizando en el frente de la investigación e historias de los pacientes de EM Pediátrica en movimiento: cada vez más fuertes, con más resiliencia y más optimistas sobre sus futuros.



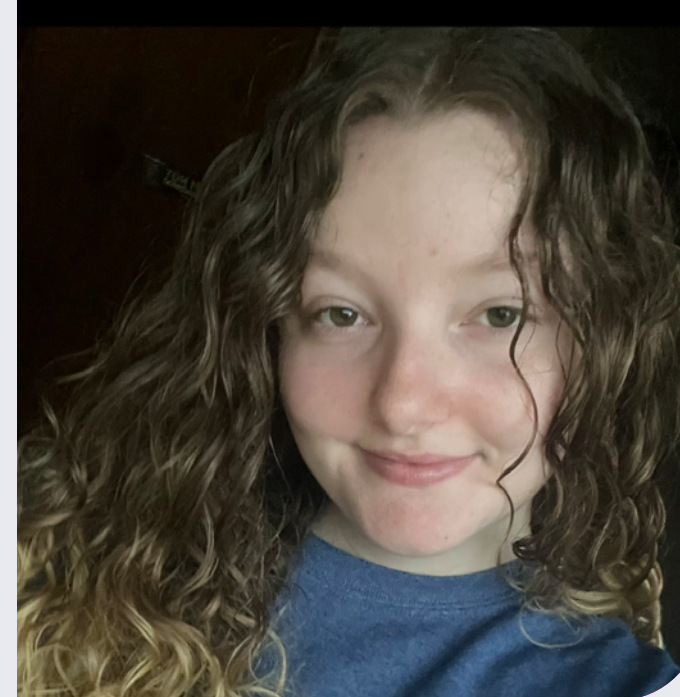


Un Camino Brillante hacia Adelante

La aventura, helado de chocolate y las películas de Spider-Man – estas son algunas de las cosas preferidas de Ashlie. Ella no es una extraña de las emociones de kayak y ella encanta artística de la pintura con diamantes, aunque esos pasatiempos han pasado a un segundo plano en su enfoque actual: escuela de Enfermería.

La mirada de Ashlie permanece fija en el horizonte, donde su sueño de trabajar en una sala de partos la espera con un futuro lleno de la promesa de traer nueva vida al mundo.

El curso de la vida de Ashlie se desplazó en el enero de 2022 cuando ella recibió su diagnóstico oficial de EM. Un poco antes de su decimoctavo cumpleaños, ella empieza a tener experiencias neurológicas como las sensaciones de hormigueo, problemas nerviosos y los dolores de cabeza persistentes. Una resonancia magnética reveló su primera lesión, lo que provocó un rápido tratamiento con esteroides. Cuando una resonancia magnética posterior reveló una segunda lesión cerca del tronco del encéfalo, ella fue admitido al hospital por dos semanas.



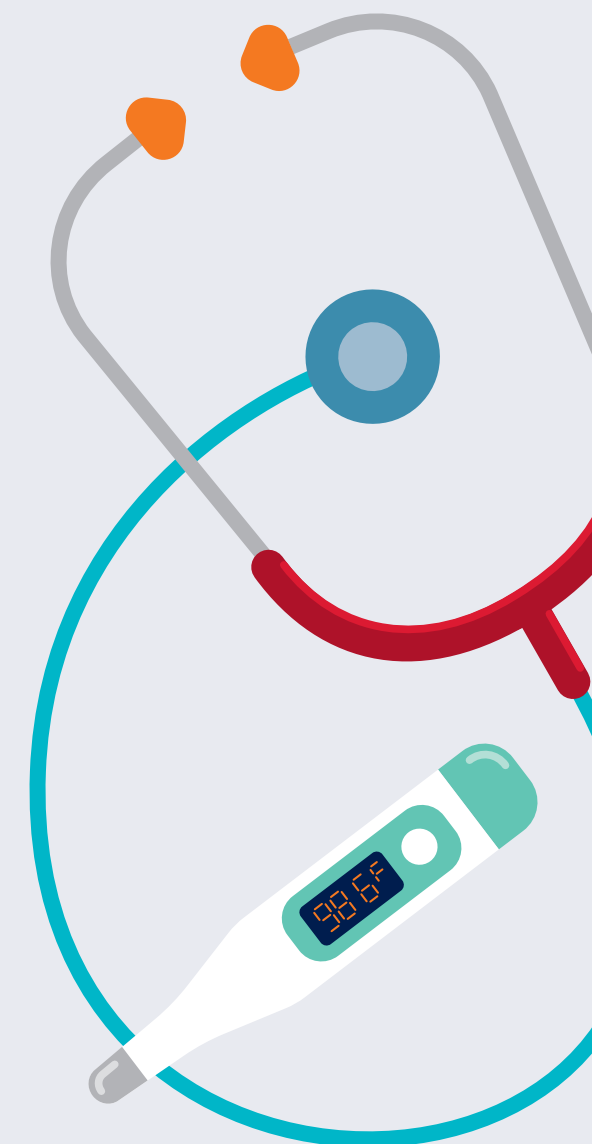
“Quedo una actitud positiva manteniendo cerca de mí a las personas que amo y entienden el diagnóstico mío.”

A pesar de los desafíos de una diagnostica de EM, los pasiones y actividades de Ashlie alimentar su impulso. Ella quedada cometida de una vida activa al mismo tiempo que incorpora adaptaciones a sus rutinas, a veces haciendo los pasatiempos interiores, como juegos de mesa, cuando las cosas se ponen difíciles. El consejo de Ashlie a aquellos son iniciado del mundo de EM es un mensaje del coraje – aférrate a tus pasiones y sueños, continúa saboreando la vida, incluso en los días mas desafiantes.

La naturaleza invisible de EM ha enseñado Ashlie una verdadero profundo – las batallas invisibles pueden ser lo mas grande. Con EM, la apariencia exterior a menudo en mascara la lucha interna. En su opinión, uno de las mejores cosas puede hacer un ser querido es investigar la EM para comprenderlo por si mismo. La empatía marca una gran diferencia en la vida de quienes emprenden este viaje.

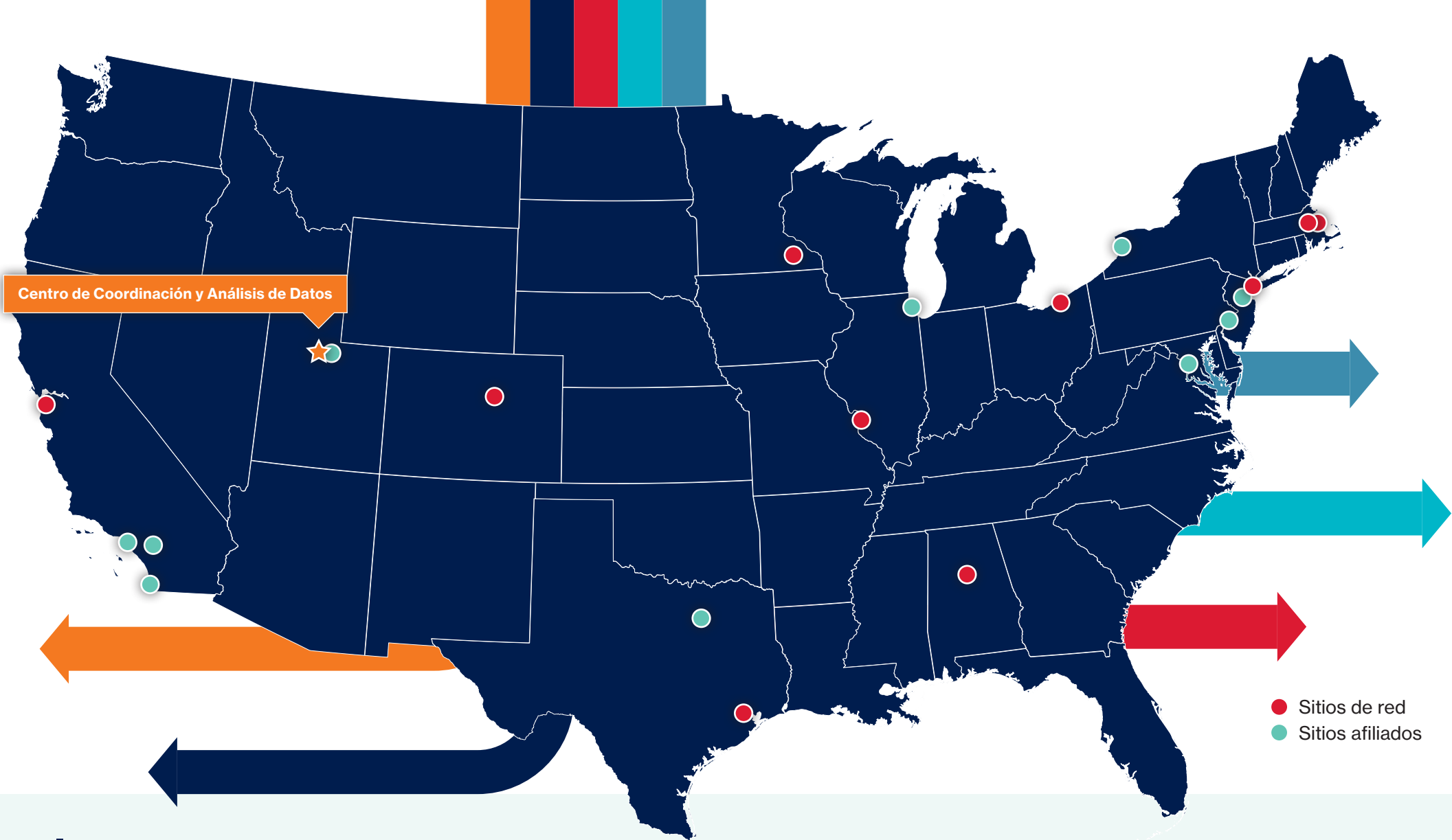
Como nosotros todos, Ashlie se suena al futuro donde la EM ha-cia conquistada. En el intermedio, ella se pone su fe en el poder de la investigación para desbloquear nuevas posibilidades, aprender que casusas la EM y tal vez un día conducir a medidas preventivas. El optimismo de Ashlie es lo mismo de la comunidad de MS, todos nosotros son unidos en la determinación a esculpir un futuro brillante. La historia de ella es un recuerdo de que, en los desafíos de la vida, la combinación de coraje, determinación y esperanza puede guiarnos hacia adelante.

“Espero que en la investigación podamos conocer mas opciones, que lo causa y si se puede prevenir.”



¿Que es la Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica?

La Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica (RCEMP) es un colectivo de adultos y neurólogos infantiles, científicos experimentados y profesionales de investigación dedicados que son unidos en una misión compartida para enfrentar las complejidades de la esclerosis múltiple pediátrica. Constando de diez Centros Clínicos y Centro de Coordinación y Análisis de Datos (CCAD), la RCEMP se funcionan como una unidad cohesiva donde juega cada colaborado un papel vital en el avance de nuestro entendimiento de EM pediátrica.



Estos son algunos de nuestros jugadores clave:

Comité Directivo: En el frente de neutros esfuerzos colectivos es el Comité Directivo de RCEMP – una asamblea de médicos y PhD científicos de nuestros centros clínicos y el CCAD. Estos individuos dedicados proporcionan la dirección estratégica necesaria para navegues por las intrincadas aguas de la investigación de la EM pediátrica.

“Como una investigadora principal de la RCEMP, me gusta brindar atención a jóvenes con EM y otras enfermedades desmielinizantes. La investigación me permite ampliar esa atención iniciando subvenciones para multicéntricos proyectos, desarrollando propuestas conceptuales para manuscritos y tutoría de profesores jóvenes.”

Soe Mar, MD, Washington University

Estadísticos: detrás de escena, estadísticos se posicionan como héroes anónimos, transformando datos sin procesar en conocimiento procesable. Su experiencia da forma a la evidencia decisiones medicas basadas e impulsa nuestra comprensión de la salud y la enfermedad, contribuyendo significativamente a la integridad y confiabilidad de nuestros resultados de la investigación.

“Como bioestadístico, me siento bien sabiendo que me análisis de datos proporciona una mejor comprensión de EM pediátrica.”

Michael Waltz, Biostatistician, University of Utah

Administradores de datos: Desempeñando un papel fundamental, los administradores de datos construyen y mantengan lose bases de datos de nuestros datos científicos. Al mismo tiempo, consultan diligentemente y validar los datos para garantizar la precisión y la coherencia, una contribución esencial que forma la base de hallazgos de investigación confiables.

El jefe de obras: Los jefes de obras, con sus papeles multifacético, coordinar equipos diversos, supervisar cumplimiento normativo, y gestionar los cronogramas del proyecto. Fomentar la colaboración entre investigadores, patrocinadores, y los organismos reguladores, son actores clave para garantizar el éxito del proceso de investigación clínica.

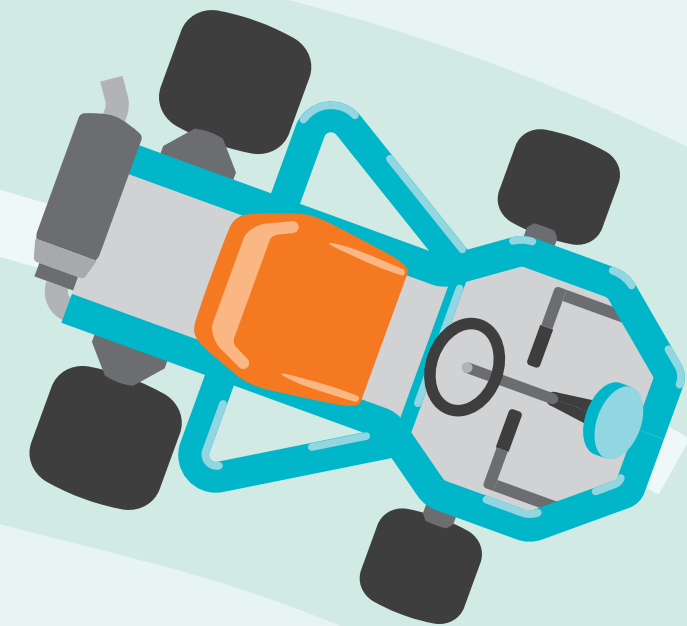
Coordinadores de Investigación Clínica: A menudo sirve como cara de nuestra investigación a los participantes, los coordinadores de investigación clínica desempeñan un papel fundamental a la hora de guiar a los participantes a través de los estudios. Se explican protocolos, dirección preocupaciones y garantizar el cumplimiento de normas éticas, encarando la conexión humana esencial para conducta ética de la investigación clínica.

“Es gratificante ser parte de un equipo nacional de investigadores que ayudan a encontrar mejores resultados para pacientes con EM pediátrica.”

Janace, Research Project Manager, University of California San Francisco

Espíritu Inquebrantable

“ ¡EM se metió con la chica equivocada!”



Cuando MaKayla no está ocupada curando su título de enfermería, ella está abrazando la vida con entusiasmo. Ya sea pasara tiempo de calidad con su familia, disfrutando las manicuras y pedicuras con su mama, carreras de karts, o jugando con sus perros amados, ella se enfrente todos los días con un entusiasmo contagiosos por la vida.

Sus sueños de ser una enfermera de Unidad de Cuidados Intensivos Neonatales (UCIN) y más adelante una enfermera practicante, hablan de su pasión por generar un impacto positivo en los demás.

El camino de MaKayla dio un giro inesperado en julio de 2020, cuando apenas tenía 17 años. Un repentino mareo y una caída llevaron a una serie de visitas al médico y pruebas que culminaron con el diagnóstico de EM que cambio su vida. En lugar de dejar que esto la defina, MaKayla decidió redefinir lo que era posible. Ella empezó a escuchar a su cuerpo y reconociendo la reserva de fuerza dentro de ella. A pesar de los desafíos, ella sigue dedicad a hace lo que ama, adaptando sus actividades a las necesidades de su cuerpo. Su creencia de que todo sucede por una razón ha impulsado su determinación. Si bien reconoce los días mas difíciles, nunca pierde de visa de su meta: levantarse, luchar y mostrar al mundo que la EM no puede impedir sus sueños.

La participación de MaKayla en la investigación clínica de la EM es otro testimonio de su compromiso de marcar la diferencia. Como participando en los esfuerzos investigados, ella contribuye a un futuro mejor para quienes viven con EM. Su mayo sueño es presenciar el día en que se encuentre una cura, pero también desea una mayor conciencia y comprensión de la EM, particularmente su naturaleza invisible: el dolor que soporta, la pesadez de la fatiga constante y el desafío de mantener su memoria aguda. Aun así, su tenacidad sirve de inspiración y demuestra que las personas con EM están legos de ser débiles; son guerreros que luchan contra un oponente formidable.

Para aquellos recientemente diagnosticados, MaKayla quiere que sepan que sus sueños aun son alcanzables y que escuchar sus cuerpos, descansar cuando sea necesario y buscar apoyo son pasos esenciales en este viaje. La EM transforma las personas en luchadores, fortaleciendo su fuerza interior y su determinación. Ella alienta a las familias a apoyar a sus luchadores, recordándoles su fuerza y amor inquebrantables.

Los logros de MaKayla son nada menos que notables. Desde estar en las lista del decano y miembros de la Sociedad de Honor en la universidad hasta a ganar el premio Daktronics NAIA Competitive Cheer Scholar Athlete, su dedicación a la excelencia brilla intensamente. Su participación en la Asociación de Enfermeras, tanto a nivel local como nacional, junto con su logro como campeona de Box Stock Go-Kart, resaltan su amplio talento y su espíritu indomable. Ella es una encarnación de la resiliencia, un testimonio vivo del poder de la determinación y un recordatorio de que la EM puedo intentarlo, pero nunca romperá su espíritu.



“¡Me gustaría que una persona recién diagnosticada supiera que debe seguir luchando y nunca darse por vencido!”

Movimiento en el Frente de la Investigación.

Nuestra meta en la NPMSC es poner en contacto a neurólogos de adultos y niños y a otros profesionales de la investigación cuya misión es descubrir las causas, investigar los determinantes de la remielinización y la neuroprotección, avanzar en la terapéutica y mejorar los resultados de aquellos que padecen de EM Pediátrica. Nos complace compartir las actualizaciones de nuestros estudios actuales y nuestras últimas publicaciones de manuscritos.

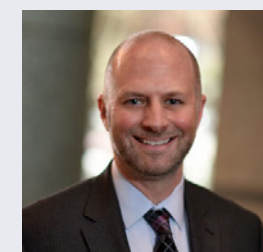


Base de datos de la Esclerosis Múltiple Pediátrica y otras Enfermedades Desmielinizantes – Estudio En Curso

Este proyecto de recopilación de datos de larga data tiene como objetivo describir el número y las características de los pacientes pediátricos con sospecha de aparición temprana de enfermedad desmielinizante del sistema nervioso central. Estos características incluyen cosas como los demográficas de los pacientes, historia ambiental, historia de la enfermedad, información diagnósticos y decisiones de manejo médico. Los datos se proporcionan a los investigadores de nuestra red para respaldar la generación de hipótesis y el desarrollo del diseño de estudio para ensayos clínicos y estudios observacionales. A lo largo de la última década, la base de datos ha agregado mas de tres mil participantes que se han inscrito en nuestros centros de la red. Los datos se han utilizado por producir muchos resúmenes y manuscritos para revista y reuniones nacionales y, al mismo tiempo, se han aprovechado para proyectos industriales. Si esta interesado en contribuir a esta importante base de datos, consulte con su médico acerca de participar.

Algunos de los proyectos de investigación que actualmente estudian estos datos incluyen:

- El Edad Biológico en la Población EM Pediátrica: Medir la edad biológica en muestras y datos de participantes pediátricos para estudiar si la patología de la EM puede estar relacionada o no con el envejecimiento prematuro.
- Correlatos Metabólicos: Utilizar muestras de plasma y heces recolectada previamente para determinar cuando los lípidos y los ácidos grasos están relacionados con recaídas y lesiones en participantes pediátricos
- Los Efectos de Avonex y Plegridy: Se esta analizando la cantidad de tiempo entre ciertos tratamientos y las recaídas en aproximadamente 250 sujetos pediátricos en la base de datos.



“La recopilación de datos de pacientes en este estudio en curso es un método clave mediante el cual la Red está fomentando los descubrimientos necesarios para detener la progresión de las enfermedades desmielinizantes, restaurar las funciones que se han perdido y poner fin al desarrollo de dichas enfermedades para siempre. Estos tres pilares (Detener, Restaurar y Poner Fin) son lo que la Sociedad Nacional de EM ha identificado como los Caminos hacia la Cura de la EM, y también son importantes en una variedad de otras afecciones desmielinizantes. Cada paciente tiene su propia historia que cantar y, al recopilar todos los detalles de tantas historias como sea posible, esperamos comprender mejor como finalmente podemos detenerlas restaurarlas y acabar con todas ellas.”

Tim Lotze, NPMSC Chair, Professor of Pediatrics and Neurology, Baylor College of Medicine



Lea más sobre los Caminos hacia las Curas de la Sociedad Nacional de EM.

Publicaciones y resúmenes reciente del RCPEM

Hallazgos silenciosos: examen de la desmielinización asintomática en una cohorte pediátrica estadounidense (Bhise et al. 2023)

Identificamos 38 pacientes en la base de datos de la Red de Centros Pediátricos de Esclerosis Múltiple de EE.UU. con imágenes de resonancia magnética y examinamos los factores de riesgo para el desarrollo del primer evento clínico o nueva actividad de resonancia magnética. Las resonancias magnéticas se clarificaron según los criterios de diagnóstico por imágenes publicados de EM y síndrome radiológicamente aislado. Descubrimos que un tercio tuvo un ataque clínico y tres cuartos desarrollaron nueva actividad en la resonancia magnética durante un tiempo medio de seguimiento de 3.7 años. Los individuos de nuestra cohorte compartían datos demográficos similares a los de aquellos con EM clínicamente definida e inicio pediátrico. Mostramos que el sexo, la presencia de lesiones infratentoriales, las lesiones hipointensas en T1, el recuento de lesiones yuxtacorticales y las lesiones callosas fueron predictores de la progresión de la enfermedad.

Impacto en el paciente: Los niños sin síntomas, pero con evidencia de desmielinización en resonancia magnética tienen un mayor riesgo de desarrollar EM.

Las interacciones gene-ambiente aumentan el riesgo de esclerosis múltiple de inicio pediátrico asociada con la exposición a sustancias químicas domésticas (Nasr et al. 2022)

Anteriormente informamos una asociación entre la exposición a sustancias químicas domésticas y un mayor riesgo de esclerosis múltiple de inicio pediátrico. En esta nueva investigación, se incluyeron en los análisis 490 casos de esclerosis múltiple de inicio pediátrico y 716 controles. Las exposiciones a repelentes de insectos para garrapatas o mosquitos, productos para el control de malezas y productos para el control de insectos o enfermedades de plantas/arboles se asociaron con mayores probabilidades de esclerosis múltiple de inicio pediátrico. Hubo una interacción multiplicativa entre la exposición a productos para el control de malezas y el genotipo NFKB1 SNP GG. La presencia de interacciones gene-ambiente con toxinas domésticas respalda su posible papel causal en la esclerosis múltiple de inicio pediátrico.

Impacto en el paciente: Las exposiciones tóxicas y los antecedentes genéticos interactúan para aumentar el riesgo de desarrollar EM de inicio pediátrico.

Características de los pacientes pediátricos con esclerosis múltiple y trastornos relacionados infectados por SARS-CoV-2 (Schreiner et al. 2023)

Pacientes pediátricos con esclerosis múltiple (PPEM) y trastornos relacionados, síndrome clínicamente aislado, trastorno de anticuerpos glicoproteína oligodendrocitos de mielina, y trastorno del espectro de neuro mielitis óptica comúnmente se tratan con inmunosupresores. Para comprender el impacto de la infección por SARS-CoV2 en estos pacientes, encuestamos a 669 pacientes entre marzo de 2020 y agosto de 2021. Hubo 73 contagios confirmados de COVID-19. Ocho de nueve pacientes hospitalizados (89%) y todos los pacientes ingresados en la UCI fueron tratados con terapia de reducción de células B (rituximab y ocrelizumab). Los resultados sugieren que estas terapias conllevan un mayor riesgo de infección grave en PPEM y trastornos relacionados.

Impacto en el paciente: Durante la pandemia de COVID los pacientes con PPEM que recibían terapias de reducción de células B tenían un mayor riesgo de hospitalización.

La Dieta y las Recaídas en la EM Pediátrica – Concluyendo

Las familias a menudo preguntan si hay dietas específicas que desencadenen la aparición de la EM Pediátrica o las recaídas posteriores. Así que este estudio comenzó en 2018 para mejor entender el papel que la dieta y el metabolismo juegan en el número de recaídas de la EM y la progresión de la enfermedad. Los participantes completan un cuestionario sobre su ingestión de alimentos y vitaminas, así como su actividad física, tres veces durante el estudio: al inscribirse, seis meses después y 12 meses después de haberse inscrito. La participación en el estudio concluyó en octubre de 2022. Se inscribieron 226 participantes en el estudio y, en ellos, el 90% completó su cuestionario de frecuencia alimentaria inicial, 72% completó su cuestionario de seguimiento de 6 meses y el 74% completó su cuestionario del seguimiento de 12 meses. El análisis final del estudio aun este progreso.

Opiniones de los Familiares de los Pacientes sobre la EM Pediátrica – Concluyendo

Este estudio está diseñado para comprender qué investigación es importante para quienes viven con la enfermedad, y qué barreras les impiden participar en las investigaciones clínicas y en los ensayos clínicos. Comenzó con una serie de grupos de enfoque en tres áreas del país. A partir de lo que aprendimos de los grupos, pusimos en marcha un estudio en ocho centros a través de los Estados Unidos, con cuestionarios para tres grupos diferentes: Adolescentes con EM, sus padres y jóvenes adultos con EM. Utilizaremos los conocimientos adquiridos para orientar mejor las prioridades y el diseño de futuras investigaciones. La inscripción en la fase de encuesta del estudio finalizó en octubre de 2022. En total, 55 padres, 47 adolescentes y 96 adultos jóvenes completaron la encuesta. Se ha publicado un manuscrito que utiliza información de la fase de grupos focales del proyecto y actualmente se está escribiendo otro basado en datos de encuestas a pacientes y cuidadores.

GOM y Anticuerpos AQP4 entre niños con esclerosis múltiple y controles (Gaudioso et al. 2022)

El propósito de nuestra investigación fue determinar la frecuencia de glicoproteína de oligodendrocitos de mielina (GOM) y anticuerpos aquaporin-4 (AQP4) entre los pacientes con esclerosis múltiple de inicio pediátrico (EMIP) y los controles saludables. Pacientes con EMIP (493) y contrales saludables (703) se inscribieron en 14 sitios de EE.UU. Se evaluaron AQP4-IgG y GOM-IgG en suero mediante ensayos basados en células vivas. AQP4-IgG fue negativo entre los 1,196 participantes. GOM-IgG fue positivo en 30 de 493 casos (6%) y cero contrales. Veinticinco de 30 pacientes positivos con GOM-IgG (83%) tenían MOGAD, mientras que 5 d 30 (17%) mantuvieron un diagnóstico de esclerosis múltiple (EM) al volver a revisar los registros. GOM-IgG y AQP4-IgG no se identificaron entre los controles sanos, lo que confirma su alta especificada para a la enfermedad desmielinizante del sistema nervioso central pediátrico. El cinco por ciento de aquellos con diagnósticos previos de EMIP finalmente tuvieron MOGAD; y ninguno tenía AQP4-IgG positivo. Las características clínicas asociadas con un diagnóstico final de MOGAD en personas con sospecha de EM incluyeron el fenotipo ADEM inicial, una edad mas temprana al inicio de la enfermedad y la falta de exposición al VEB.

Impacto en el paciente: GOM y los anticuerpos AQP4 fueron respectivamente poco frecuentes o negativos en pacientes con EIMP.

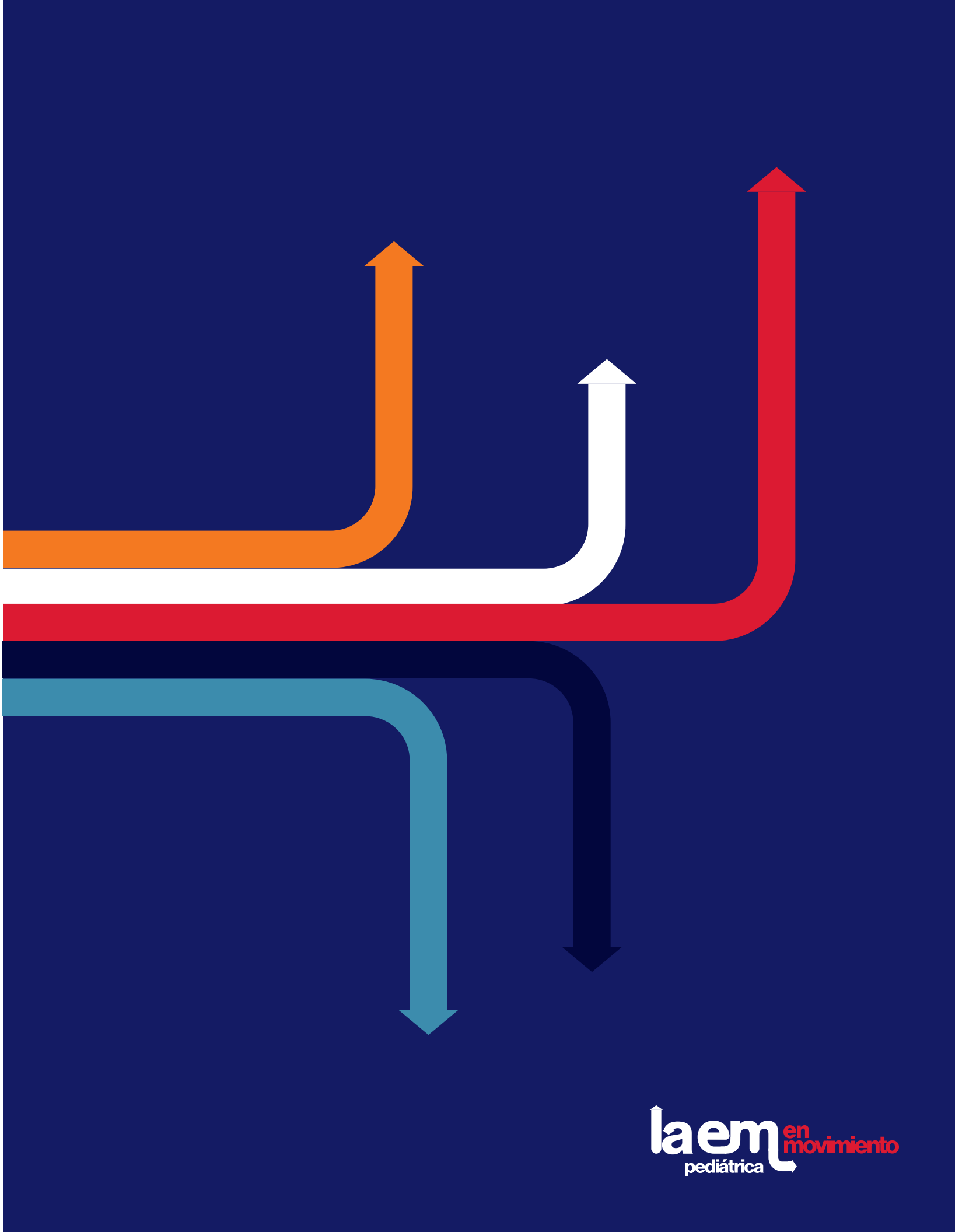
Una nueva mirada al funcionamiento cognitivo en la EM pediátrica (Krupp at el. 2022)

La implicación cognitiva en la esclerosis múltiple (EM) pediátrica en comparación con la EM en adultos esta menos definida. Este estudio mejora nuestra comprensión al medir el desempeño cognitivo en EM pediátrica, EM en adultos y controles sanos pediátricos. Se compararon participantes pediátricos con EM recurrente consecutivos de la Red De Centros de EM Pediátrica de los Estados Unidos con controles pediátricos sanos y adultos con EM recurrente. Se comparo a los participantes en dos baterías de detección: la Evaluación Cognitiva Internacional Breve para la EM y la Batería Breve Cogstate. Los grupos pediátricos (EM frente a controles sanos) no difirieron en la puntuación media compuesta de ninguna de las baterías ni en las puntuaciones de las pruebas individuales (ps>0.32), ni en las proporciones de deterioro en ninguna de las baterías, Evaluación Cognitiva Internacional Breve para la EM (26% frente a 24%, p=0.83); Batería breve de Cogstate (26% frente a 32% p=0.41).

Impacto en el paciente: Los resultados completos de estos estudios demostraron que los pacientes pediátricos con EM no difieren de los controles pediátricos sanos en las pruebas cognitivas, pero obtienen mejores resultados que los adultos con EM.



Escanear aquí para ver todos los manuscritos de investigación publicados



La Red de Centros Pediátricos
de Esclerosis Múltiple esta
patrocinada por la Sociedad
Nacional de EM.

usnpmsc.org