

Inspirando resiliencia y avanzando en el
descubrimiento de la EM pediátrica
Resumen del Año 2024

Mirando hacia el futuro.

pág. 6



Historias Destacadas

Modelando un futuro
esperanzador

pág. 4

Encontrando esperanza y
propósito

pág. 8

NPMSC: Pasado. Presente. Futuro.

pág. 6

Avances en la Investigación

pág. 10

Investigación en curso

pág. 12

Publicaciones recientes y resúmenes

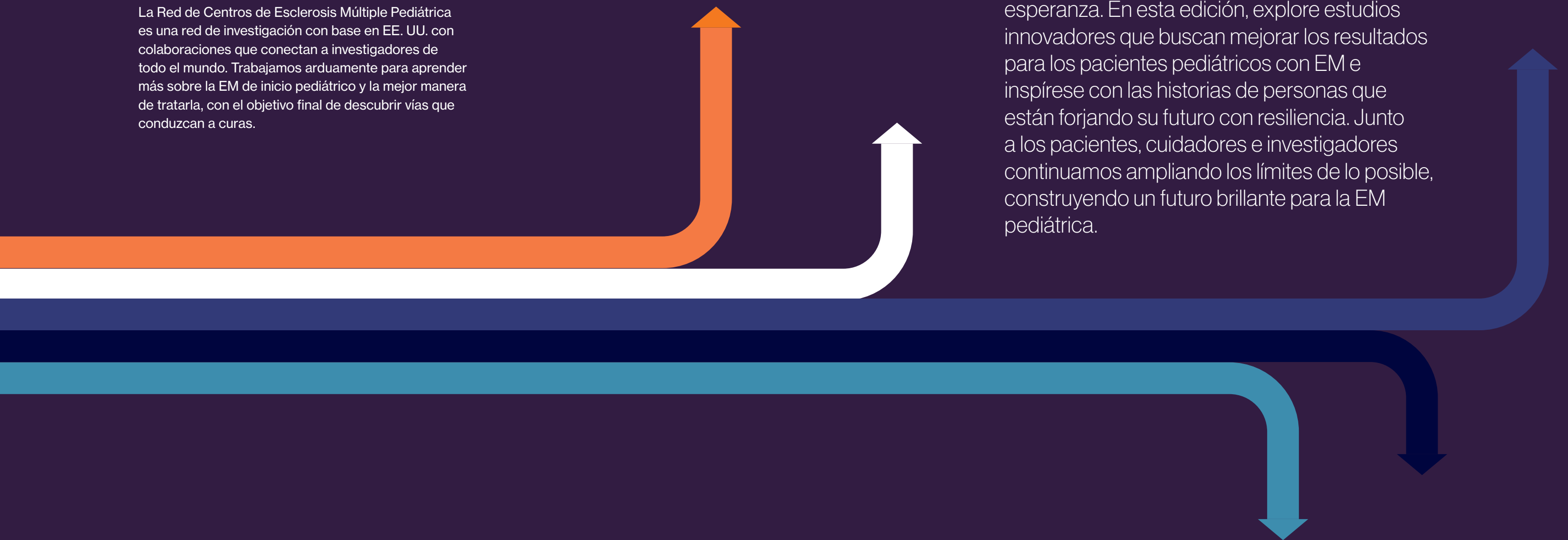
pág. 14

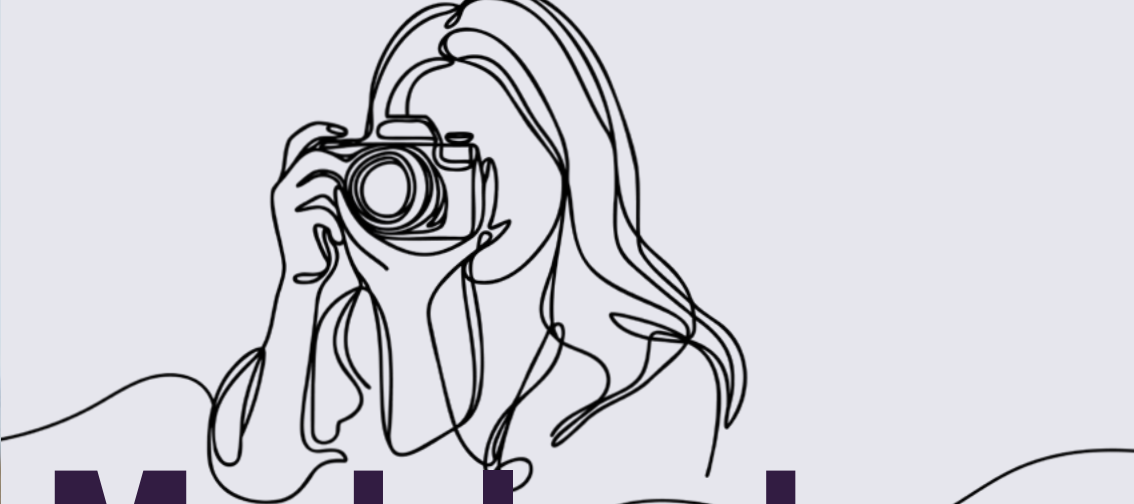




La Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica es una red de investigación con base en EE. UU. con colaboraciones que conectan a investigadores de todo el mundo. Trabajamos arduamente para aprender más sobre la EM de inicio pediátrico y la mejor manera de tratarla, con el objetivo final de descubrir vías que conduzcan a curas.

A medida que celebramos los avances en la investigación sobre la EM, nos entusiasma el futuro y los descubrimientos que traerán nueva esperanza. En esta edición, explore estudios innovadores que buscan mejorar los resultados para los pacientes pediátricos con EM e inspírese con las historias de personas que están forjando su futuro con resiliencia. Junto a los pacientes, cuidadores e investigadores continuamos ampliando los límites de lo posible, construyendo un futuro brillante para la EM pediátrica.





Modelando un futuro esperanzador.

Conozca a Nicole Pedra, una mujer vibrante de 36 años de los suburbios de Boston, cuya pasión por la vida brilla a través de su amor por las noches de juegos, el baile y la pintura. A pesar de enfrentar desafíos con la EM desde la infancia, Nicole comparte abiertamente su trayectoria para inspirar a otros.

Diagnosticada con Esclerosis Múltiple (EM) a la temprana edad de 10 años, su camino ha estado marcado por la resiliencia. El inicio de su EM trajo consigo una serie de desafíos, incluyendo parálisis de Bell, parálisis transversa, neuritis óptica y vértigo. A pesar del trauma y un diagnóstico inicial erróneo (ADEM), el espíritu de Nicole permaneció intacto. La fortaleza y el apoyo de su madre fueron fundamentales para navegar el sistema de salud, un privilegio que Nicole reconoce que no todos tienen.

Sorprendentemente, Nicole mantuvo su diagnóstico en secreto durante 20 años, una decisión influenciada por el estigma y el miedo a ser incomprendida. Hoy, es una voz influyente en la comunidad de la EM, utilizando las redes sociales para compartir su viaje y conectar con otros. Su sueño para los próximos cinco años incluye dar una charla TED, con el objetivo de inspirar y educar a otros sobre la EM, especial-



“ Solo porque tienes este diagnóstico no significa que tu vida deba ser más reducida.”

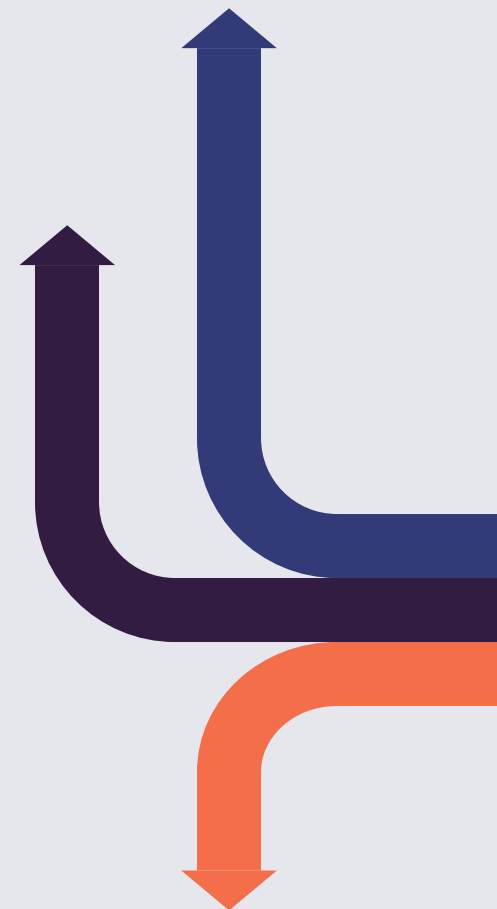
mente la Esclerosis Múltiple de Inicio Pediátrico (EMIP), con la que ha vivido por más de dos décadas.

En sus propias palabras, “mantenerse positivo es cuestión de gratitud y esperanza”. A pesar de que le dijeron que podría estar en una silla de ruedas para cuando tuviera 16 años, Nicole ha modelado e incluso desfilado en una pasarela. Su historia es un testimonio del poder de la esperanza y la perseverancia. Enfatiza que la EM, aunque a menudo invisible, no debe limitar los sueños y las posibilidades de una persona.

El sistema de apoyo de Nicole incluye un grupo de amigas cercanas que también tienen EM. Se llaman a sí mismas las “Myelin Mavens” (expertas en mielina), un nombre que simboliza su viaje compartido y comprensión mutua. Para Nicole, la comunidad y la comunicación abierta son esenciales, y anima a otros a hablar sobre sus experiencias y encontrar apoyo. Sus metas son claras: crear un impacto positivo en la comunidad pediátrica de la EM e inspirar a los niños con EM a seguir sus sueños.

A través de su activismo, Nicole Pedra no solo está creando conciencia sobre la EM, sino que también iluminando las posibilidades y la esperanza que existen para quienes viven con la enfermedad. Su historia es una de valentía, creatividad y una creencia inquebrantable en el poder de la esperanza.

“Me dijeron que estaría en una silla de ruedas para cuando tuviera 16 años. Pero ahora he modelado. He caminado en una pasarela.”



La Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica de EE. UU. (NPMSC)

Pasado. Presente. Futuro.

La investigación de la red sobre la EM pediátrica y enfermedades relacionadas abarca áreas clave como quiénes se ven afectados, qué factores aumentan el riesgo, cómo ocurren las recaídas, cómo se utilizan los tratamientos y de qué manera estas afecciones afectan el pensamiento y la vida diaria. Este trabajo resalta la importancia del diagnóstico temprano, la atención proactiva y la investigación continua para comprender y manejar mejor la EM pediátrica y sus afecciones relacionadas. La red ha obtenido 16 importantes subvenciones de fuentes federales, fundaciones y la industria farmacéutica; ha establecido un registro con más de 3,000 participantes; y ha identificado factores de riesgo como la deficiencia de vitamina D, la contaminación del aire y el tabaquismo. Con más de 67 artículos publicados y la participación de 12 centros de la red y 8 centros afiliados, la red brinda un apoyo fundamental y recursos educativos para las personas con EM pediátrica.

“La NPMSC sigue realizando importantes contribuciones en áreas clave para la esclerosis múltiple de inicio pediátrico y la esclerosis múltiple en general.”



Dr. John Rose, Universidad de Utah



Mirando hacia el futuro

La red mantiene su compromiso de realizar investigación de impacto y alinear los futuros estudios para mejorar los resultados en personas con EM. Las próximas áreas de investigación incluyen:

- Estudiar las diferencias entre hombres y mujeres en la EM pediátrica.
- Identificar factores que favorecen la resiliencia y la recuperación tras las recaídas.
- Evaluar la seguridad a largo plazo de los nuevos medicamentos para la esclerosis múltiple pediátrica.
- Desarrollar tratamientos y vacunas para prevenir la EM pediátrica.



Encontrando esperanza y propósito.

“ Escucha a tu cuerpo, conoce tus límites y pide ayuda cuando la necesites”

May Ling Kopecky, de 29 años y originaria de Plymouth, Minnesota, fue diagnosticada con EM a los 15 años. Ahora, como artista, defensora y educadora, utiliza su experiencia para generar conciencia sobre la enfermedad e inspirar esperanza en los jóvenes que enfrentan desafíos similares.

Ling experimentó sus primeros síntomas a los 13 años con una sensación inusual de hormigueo en el cuello y la espalda, conocida como signo de Lhermitte. A los 15, sufrió convulsiones involuntarias que llevaron a su diagnóstico. Su trayectoria fue, en ocasiones, solitaria, ya que pocas personas comprendían la enfermedad o creían que alguien tan joven pudiera verse afectado. “Me sentía sola”, recuerda. “La gente decía que ‘me veía bien’ o que era ‘demasiado joven para estar enferma’.”

A pesar de los desafíos, su historia demuestra que la esclerosis múltiple no tiene por qué definir ni limitar una vida. En la escuela secundaria, la universidad y la maestría, aprendió a abogar por sí misma, a escuchar su cuerpo, reconocer sus límites y apoyarse en su comunidad. “Encontrar una comunidad ha sido de gran ayuda”, afirma, enfatizando la importancia de conectarse con personas que entienden la enfermedad.

Hoy en día, May Ling es una artista reconocida con títulos en bellas artes, cuya obra es celebrada a nivel nacional por retratar las realidades de vivir con EM. Ha sido honrada en varias exposiciones y publicaciones y, en 2021, obtuvo el segundo lugar en el Concurso de Artistas Jóvenes Emergentes VSA del Kennedy Center. A través de su arte, May Ling comparte los aspectos físicos y emocionales de vivir con EM, ayudando a educar al público y a brindar consuelo a quienes transitan por el mismo camino.

Pensando en el futuro, espera que la investigación conduzca a tratamientos que no solo controlen la EM, sino que también la curen o reviertan el daño que causa. “Todavía puedes vivir tu vida”, alienta a quienes han sido diagnosticados recientemente. Su consejo es claro: escucha a tu cuerpo, conoce tus límites y pide ayuda cuando la necesites.

A través de su arte, May Ling genera conciencia sobre la EM, aboga por la accesibilidad y ayuda a que otras personas con la enfermedad se sientan comprendidas. Su historia nos recuerda que el futuro ofrece esperanza para quienes viven con EM.



“Encontrar una comunidad ha sido de gran ayuda”



Avances en la investigación.

En NPMSC, nuestro objetivo es descubrir las causas, mejorar los tratamientos y mejorar los resultados para la EM pediátrica. Nos entusiasma compartir actualizaciones sobre nuestros estudios y publicaciones recientes.



Base de datos de la EM pediátrica y otras enfermedades desmielinizantes: un esfuerzo colectivo hacia un futuro más brillante

La Base de datos de EM pediátrica y otras enfermedades desmielinizantes está marcando la diferencia en la vida de jóvenes diagnosticados con EM y afecciones similares. Creado para recopilar información clave sobre pacientes con signos tempranos de estas enfermedades, este proyecto ayuda a científicos y médicos a comprender cómo la EM y otras enfermedades desmielinizantes afectan específicamente a los jóvenes. La base de datos incluye detalles sobre la edad, antecedentes, historial de salud y manejo de la enfermedad de cada paciente. Al rastrear estos factores, los investigadores pueden identificar patrones, analizar la progresión de la enfermedad y explorar formas de mejorar los tratamientos.

Durante la última década, más de 3,000 jóvenes de todo el país se han unido a esta base de datos. Cada historia aporta información valiosa que ayuda a los investigadores a generar nuevas ideas y diseñar ensayos clínicos que podrían conducir a mejores tratamientos y, algún día, a una cura. Gracias a estos datos colectivos, la red ya ha producido numerosos estudios, resúmenes y artículos para revistas y conferencias nacionales, garantizando que los hallazgos más recientes lleguen a médicos y científicos de todo el mundo.

La base de datos también respalda la iniciativa Pathways to Cures de la Sociedad Nacional de Esclerosis Múltiple, enfocada en tres objetivos principales:

- DETENER: detener la progresión de la EM y otras enfermedades desmielinizantes.
- RESTAURAR: desarrollar tratamientos para recuperar habilidades perdidas y ayudar a los jóvenes a recuperar lo que la EM pudo haberles arrebatado.
- PONER FIN: Eliminar estas enfermedades para siempre, para que las futuras generaciones no tengan que enfrentar los desafíos de la EM.



Cada joven que se une a la base de datos nos acerca más a estos objetivos. Para quienes participan, es una manera poderosa de marcar la diferencia, tanto para sí mismos como para otros que comparten su camino.

Al contribuir, los pacientes y sus familias agregan otro capítulo a una historia en crecimiento: una historia de resiliencia, esperanza y un compromiso compartido con la búsqueda de curas. Si usted o alguien que conoce desea participar en esta importante investigación, consulte con su médico sobre la posibilidad de unirse al estudio. Cada experiencia cuenta, y juntos estamos construyendo un futuro donde la EM ya no sea un obstáculo para los sueños de los jóvenes.



Lea más sobre la iniciativa Pathways to Cures de la Sociedad Nacional de Esclerosis Múltiple.

Investigación en curso.

Efectos de Avonex/Plegridy

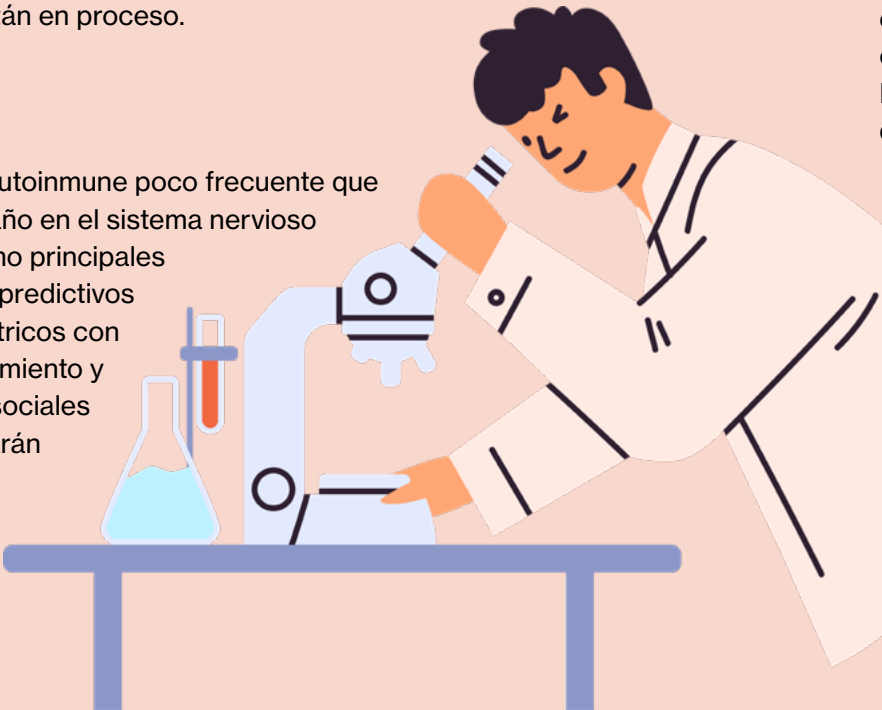
El interferón beta-1a intramuscular (Avonex®) y el peginterferón beta-1a (Plegridy®) han demostrado ser eficaces como terapias modificadoras de la enfermedad (TME) en adultos con formas recurrentes de EM. Sin embargo, se han realizado muy pocos estudios sobre el impacto de estas terapias en pacientes pediátricos con EM. El objetivo de este estudio fue analizar el tiempo transcurrido entre tratamientos y recaídas en pacientes que usaron Avonex o Plegridy antes de los 18 años como TME. Se llevó a cabo un análisis retrospectivo de los datos del registro de pacientes inscritos en la Base de datos de EM pediátrica y enfermedades desmielinizantes (PeMSDD). Se concluyó que las estimaciones de pacientes libres de recaídas fueron de casi un 70% para ambos tratamientos durante el primer año; lo cual es consistente con los resultados clínicos previamente reportados en adultos. Actualmente, se está trabajando en la publicación de un manuscrito basado en este estudio y sus hallazgos.

Edad biológica en la población pediátrica con EM

Gracias al uso de muestras y datos de participantes pediátricos, pudimos examinar la edad biológica para investigar si la patología de la EM podría estar relacionada con el envejecimiento prematuro. Para este estudio, se emplearán múltiples biomarcadores en una gran cohorte de pacientes con EM de inicio pediátrico y controles sanos de edad similar. El análisis final y la publicación del manuscrito están en proceso.

MOGAD

MOGAD es una enfermedad autoinmune poco frecuente que puede causar inflamación y daño en el sistema nervioso central. Este estudio tiene como principales objetivos analizar los factores predictivos de recaída en pacientes pediátricos con MOGAD, los patrones de tratamiento y los efectos cognitivos y psicosociales a corto y largo plazo. Se utilizarán datos extraídos de pacientes inscritos en la base de datos PeMSDD.



Cuando los pacientes pediátricos se convierten en adultos

El Dr. Aaron Abrams, de la Clínica Cleveland, lidera un grupo de trabajo sobre transiciones para mejorar la transición de los pacientes de la atención pediátrica a la atención enfocada en adultos. Hasta el momento, hemos identificado una gran variabilidad en las prácticas de transición, incluyendo la edad en la que los pacientes suelen ser transferidos, el momento y la manera en que las familias se preparan para este proceso. Actualmente, estamos investigando si los pacientes enfrentan un mayor riesgo de interrupción en su atención médica al cumplir 18 años, con el objetivo de identificar factores de riesgo y prevenir este problema. La meta final es establecer directrices de buenas prácticas que los profesionales médicos puedan usar en todas partes para mejorar la atención de sus pacientes.



Alimentación y recaídas

“Nuestro estudio resalta que una alimentación saludable también puede ayudar a prevenir recaídas en pacientes con EM.”

Dra. Emmanuelle Waubant

Los pacientes y las familias suelen preguntar sobre recomendaciones alimenticias al ser diagnosticados con EM, preocupados de que ciertos alimentos puedan agravar la enfermedad. Sin embargo, hay pocos estudios al respecto, especialmente en niños con EM, y abordar esta pregunta es un desafío.

Nuestra red lideró un estudio a gran escala sobre la alimentación en la EM pediátrica para investigar si existía una relación entre ella y el riesgo de recaídas o nuevas lesiones en la resonancia magnética. Esta labor fue respaldada por una subvención de la Sociedad Nacional de EM.

Recolectamos información sobre la alimentación mediante un cuestionario estandarizado en 353 niños con EM, poco después del inicio de la enfermedad, y les dimos seguimiento en nuestras clínicas durante un promedio de cuatro años.

Los hallazgos mostraron que los niños que consumían un 50% más de lácteos de lo recomendado y aquellos con una mayor ingesta de grasas saturadas tenían un mayor riesgo de recaída o nuevas lesiones en la

resonancia magnética. Por el contrario, quienes consumían más frutas, verduras y fibra tenían un menor riesgo de recaída. Además, utilizamos el Índice de Alimentación Saludable, un indicador global que clasifica los alimentos según su impacto en la salud. Descubrimos que los niños con una puntuación más alta en este índice tenían muchas menos probabilidades de sufrir recaídas.

En resumen, este trabajo respalda la posible influencia de la dieta en el riesgo de recaída, pero no establece una relación causal entre los diversos alimentos y el curso de la EM. No obstante, los alimentos asociados con un mayor riesgo de recaída en nuestro estudio son aquellos que el Colegio Americano de Pediatría recomienda limitar para optimizar la salud en general.



Publicaciones y resúmenes recientes de la NPMSC.

Resultados prometedores en jóvenes con EM bajo tratamientos más recientes

Características demográficas y evolución clínica de pacientes con esclerosis múltiple de inicio pediátrico bajo nuevos tratamientos modificadores de la enfermedad

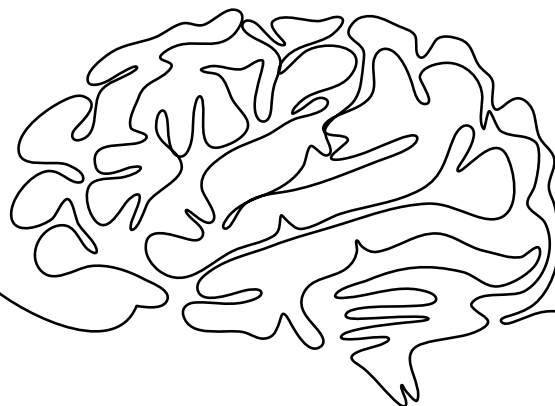
Nos entusiasma compartir los resultados de un estudio reciente publicado en *Pediatric Neurology* que analiza el impacto de los nuevos tratamientos modificadores de la enfermedad (TME) en la esclerosis múltiple de inicio pediátrico (EMIP). Realizado a través de la Red de Centros de EM Pediátrica de EE. UU. (NPMS), nuestro estudio siguió a casi 500 jóvenes que comenzaron tratamiento antes de los 18 años con medicamentos como dimetilfumarato, fingolimod, natalizumab, rituximab y ocrelizumab. Aunque estos medicamentos se utilizan con frecuencia en adultos con EM, hasta ahora se disponía de poca información sobre su eficacia en pacientes más jóvenes.

Nuestros hallazgos iniciales son muy alentadores. Durante el primer año de tratamiento, estos nuevos TME redujeron significativamente tanto las tasas de recaída como la aparición de nuevas lesiones activas en las resonancias magnéticas cerebrales. Muchos pacientes lograron “NEDA” (sin evidencia de actividad de la enfermedad) durante

su tratamiento, lo que significa que no experimentaron síntomas nuevos ni señales de actividad de la enfermedad en sus resonancias durante meses. En específico, observamos que entre el 66 % y el 84 % de los pacientes no mostraron actividad de la enfermedad tras un año de tratamiento.

Aunque nuestro estudio abarcó solo un período corto de tratamiento, estas mejoras iniciales sugieren que estos nuevos TME podrían desempeñar un papel fundamental en la reducción de recaídas y el manejo efectivo de la enfermedad en jóvenes con EM. Esperamos que estos resultados sirvan como una valiosa referencia para futuras investigaciones, con el objetivo final de mejorar los resultados a largo plazo de los jóvenes con EM y sus familias.

- Shukla, N.M., et al. (2023). Demographic Features and Clinical Course of Patients With Pediatric-Onset Multiple Sclerosis on Newer Disease-Modifying Treatments. *Pediatric Neurology*, 145, 125-131. <https://doi.org/10.1016/j.pediatrneurol.2023.04.020>



Nuevas perspectivas sobre fingolimod y ocrelizumab en la EM de inicio pediátrico

Resultados clínicos y de resonancia magnética en pacientes con EM de inicio pediátrico tratados con fingolimod y ocrelizumab

Nuestro equipo en la Red de Centros de EM Pediátrica de EE. UU. ha investigado recientemente el impacto de los medicamentos fingolimod y ocrelizumab en jóvenes con esclerosis múltiple de inicio pediátrico (EMIP). Se incluyeron casi 140 pacientes de 12 centros que comenzaron estos tratamientos antes de cumplir los 18 años. Nuestro objetivo fue evaluar cómo estas terapias afectan las recaídas y los cambios cerebrales observados en resonancias magnéticas, indicadores clave de la progresión de la EM.

Antes de iniciar el tratamiento, los pacientes con EMIP presentaban recaídas frecuentes y nuevas lesiones cerebrales, lo que indicaba actividad continua de la enfermedad. Sin embargo, tras comenzar el tratamiento con fingolimod u ocrelizumab, se observó una reducción notable tanto en las recaídas como en la formación de nuevas lesiones. En los pacientes tratados con fingolimod, la tasa anualizada de recaídas se redujo de 0.43 a 0.12. Aquellos tratados con ocrelizumab experimentaron una

reducción aún mayor, pasando de 0.64 a 0.09, con una desaparición casi completa de la actividad de nuevas lesiones.

Estos resultados destacan el potencial de fingolimod y ocrelizumab para reducir las recaídas y limitar nuevo daño cerebral en niños y adolescentes con EM. Este conocimiento es invaluable, ya que guía los ensayos clínicos en curso y moldea las futuras estrategias de tratamiento, con el objetivo final de mejorar los resultados para los jóvenes con esclerosis múltiple y brindar a sus familias la esperanza de una afección mejor controlada

- Nasr, Z., Casper, T.C., Waltz, M., et al. (2024). Clinical and magnetic resonance imaging outcomes in pediatric-onset MS patients on fingolimod and ocrelizumab. *Multiple Sclerosis and Related Disorders*, 87, 105647. <https://doi.org/10.1016/j.msard.2024.105647>



Consulte todos los manuscritos de investigación publicados por la NPMSC.



Red de Centros de
Esclerosis Múltiple
Pediátrica de EE. UU.

usnpmsc.org



**National
Multiple Sclerosis
Society**

La Red de Centros de Esclerosis Múltiple Pediátrica de EE. UU.
(NPMSC, por sus siglas en inglés) cuenta con el respaldo de la
Sociedad Nacional de Esclerosis Múltiple

