

# Ketamine Clinical Trial for Rett Syndrome Launches

by *Jana von Hehn* | March 13, 2019

## ***Empieza el ensayo clínico con ketamina para el Síndrome de Rett***

por Jana von Hehn 13 de marzo de 2019

Tal vez habéis oído hablar sobre un ensayo clínico que está probando la ketamina en el Síndrome de Rett. Nos entusiasma estar conduciendo este importante estudio y preguntarnos, sin ideas preconcebidas, si la ketamina puede mejorar los síntomas del Síndrome de Rett.

La ketamina es un medicamento que se lleva usando desde hace mucho tiempo y que se ha probado en muchas áreas, desde la anestesia, donde fue inicialmente aprobada por la FDA en 1970 (sí, hace 50 años), la ansiedad, para el alivio del dolor, en desorden bipolar u obsesivo-compulsivo, en depresión y en otros. Tal vez hayáis visto que recientemente la FDA ha aprobado una versión nasal de la ketamina para tratar la depresión. Esto significa que ya hay mucha experiencia en la utilización de la ketamina a lo largo de los años y que, dada su avanzada edad, **podemos despreocuparnos hasta cierto punto de que aparezcan problemas con la seguridad de su uso.**

Por eso estamos emocionados. La ketamina se considera un antagonista del receptor NMDA (lo que significa que inhibe un receptor), pero también interactúa con muchos otros receptores y señala vías transmisoras neuronales que pueden cambiar funciones cerebrales. Además de su acción en otros desórdenes neurológicos, la ketamina también parece mejorar los síntomas en ratones Rett, como se ha publicado en varias revistas, así como en el sistema de neurotransmisores, el movimiento y la respiración. Estos estudios con ratones muestran que la ketamina estimula las proteínas necesarias para el funcionamiento neuronal en ausencia de Mecp2, y que algunos de estos cambios en el cerebro se mantienen tras acabar su administración. Si los cambios que induce la ketamina perduran, abre posibilidades interesantes para regímenes efectivos de tratamiento intermitente o de dosificación tipo pulsada.

Pero nuestro entusiasmo no termina aquí. También hemos visto unos resultados muy interesantes en humanos. Se ha escrito sobre el caso de una paciente Rett que recibió ketamina para el control de crisis epilépticas que vio como mejoraban considerablemente los síntomas de Rett durante varias semanas tras la administración, durante 5 días, de ketamina oral, así como un estudio piloto con 4 pacientes Rett que han recibido 4 dosis intravenosas diferentes, y en las que se observan mejoras respiratorias significativas. También hemos oído de vez en cuando historias sobre la ketamina administrada como parte de un procedimiento, tras lo cual las familias observaron cambios notables en sus hijas. Sin embargo, no todo el mundo ha experimentado lo mismo. Por tanto, ¿qué está ocurriendo? Bueno, esto es justamente lo que tratamos de descubrir.

El objetivo del estudio es responder de manera definitiva sobre **si el tratamiento con ketamina mejora significativamente los síntomas o no**. Estamos probando con dosis de ketamina administrada de manera oral en un rango de 4 dosis menos de lo que causa la anestesia. Este estudio está diseñado como un estudio cruzado ('cross-over study'), lo que significa que cada paciente recibirá la ketamina y un placebo, lo que nos permitirá comparar directamente las respuestas a los dos tratamientos en un mismo paciente, y podremos comparar cómo responden todos los pacientes que reciben una misma dosis concreta, así como entre pacientes que reciben dosis distintas. Hemos decidido probar con un régimen de dosis de 5 días, que ha sido el que ha obtenido mejores resultados hasta ahora.

Este estudio es doble ciego y aleatorio, por lo que nadie va a saber qué tratamiento está recibiendo durante el estudio (ni el participante ni el doctor del estudio, ni nadie que esté gestionando el ensayo), y el orden de tratamiento lo elige de manera aleatoria un ordenador para cada paciente. Estas condiciones hacen que las conclusiones del estudio sean más sólidas porque nadie que esté observando los síntomas de las pacientes sabe qué tratamiento se le está dando en cada momento. Esto ayuda a que cada uno se centre en lo que realmente observa, sin sesgos ni conscientes ni inconscientes.

¿Qué esperamos conseguir? Estamos trabajando de cerca con la FDA para asegurarnos de que estamos llevando a cabo este estudio siguiendo los estándares más rigurosos en materia de seguridad y eficacia con el objetivo de contar con datos significativos e interpretables. **Al final del estudio esperamos que se confirme que es seguro administrar ketamina a pacientes Rett, y también esperamos poder decir si la ketamina administrada de forma oral es o no es útil para el tratamiento de los síntomas del Rett.** Si es útil, esperamos poder saber qué dosis son las más indicadas para un tratamiento efectivo. Y si es un buen tratamiento, la ketamina ya se encuentra en el mercado, por lo que no habría que esperar para conseguir acceder a ella.

Si estáis interesados en ayudarnos a responder si la ketamina es útil en pacientes con Síndrome de Rett, por favor consultad [el estudio](#) en [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) para saber más sobre los criterios de elegibilidad y sobre qué centros en EEUU están participando.

FALTARÁ LINK Y NEGRITAS