

<https://reverserett.org/rett-research-making-sense-of-it-all/>

Making Sense of it All

by *Monica Coenraads* | June 5, 2019

Encontrándole el sentido a todo esto

por Monica Coenraads 5 de junio de 2019

Vivimos en un mundo de acceso instantáneo a la información. Esto no solo es cierto para las noticias del mundo, nacionales o locales, sino también para las noticias sobre el Rett. Diariamente se nos inundan las bandejas de entrada del correo y la cuentas de social media con alertas, anuncios, comunicados de prensa, análisis y muchas más cosas. Puede ser complicado entender cómo encaja toda esta información en el gran esquema de cosas y dónde estamos exactamente en nuestro viaje hacia una cura para el Rett.

La clave para entender este viaje es, primero de todo, comprender los varios estadios de la investigación. El esfuerzo para curar una enfermedad suele empezar en laboratorios académicos dirigidos por científicos de base. Desde una perspectiva de no-lucro, este estadio implica financiar esfuerzos con sentido científico y con hipótesis sólidas en muchas áreas (genética, bioquímica, neurobiología, psicología, etc.), pero también incluye financiar investigación de un modo más ad-hoc e indulgente (lanza cosas a la pared y a ver qué se queda pegado). Con el tiempo la base de conocimiento se amplía y se convierte en los cimientos en los que se apoyan los siguientes pasos.

El siguiente estadio implica conseguir que los descubrimientos clave de ciencia básica generen un “compuesto clave” que se pueda llevar al siguiente nivel de desarrollo. Un nivel que de ‘alas’ al compuesto para que se convierta en una verdadera terapia para el Rett y atraiga a las empresas de biotecnología y farmacéuticas. Para mis compañeros y para mí esto requiere crear grupos de científicos académicos y de la industria, que no solo tengan experiencia y habilidades sino también espíritu colaborativo. Significa grandes sumas de financiación multimillonaria, un camino claro de desarrollo identificando puntos de éxito y de fracaso, una vigilancia constante de cada hito y de todas las nuevas tecnologías que puedan ser relevantes. Estos esfuerzos no son otra cosa que ad-hoc.

Todos nuestros programas de [Roadmap to a Cure](#) (terapia genética 2.0, edición de ARN y ADN, trans-corte de ARN, reactivación de MECP2, reemplazo de proteínas) están en esta fase. Nuestras expectativas son mover todos estos programas por la fase de componente clave hacia la siguiente fase, estudios de IND, en uno o dos años.

Un IND, o Solicitud de Investigational New Drug (nuevo medicamento de investigación) es el programa requerido para desarrollar una terapia para una indicación específica (como el Síndrome de Rett) en EEUU y se solicita y se aprueba por la FDA antes de que se puedan

empezar ensayos clínicos con humanos, y se mantiene activa durante todo el tiempo que dure la terapia.