

El estudio, que supone un paso importante hacia la medicina personalizada en enfermedades raras, ha sido publicado en *Frontiers in Immunology*

UN ENSAYO CLÍNICO ESPAÑOL DEMUESTRA EL POTENCIAL DE CÉLULAS MADRE MESENQUIMALES PARA REDUCIR LA INFLAMACIÓN EN PERSONAS CON “PIEL DE MARIPOSA”

- Los resultados del estudio han confirmado la seguridad de este tratamiento, al demostrar que es bien tolerado por los pacientes pediátricos sin registrarse eventos adversos graves asociados a la infusión; además, se lograron estabilizar los indicadores de inflamación en todo el cuerpo, lo que permitió que el estado de los pacientes no empeorara durante el año de seguimiento



La infusión intravenosa de células madre mesenquimales de donantes familiares es segura y mejora síntomas como el prurito, las alteraciones del sueño y la fatiga asociados a la epidermólisis bullosa distrófica recesiva (EBDR), conocida popularmente como “piel de mariposa”. Esta es una de las principales conclusiones de un ensayo clínico realizado por personal investigador de la Universidad Carlos III de Madrid (UC3M), del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT) del Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades, del [Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz](#) (IIS-FJD), del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER) y del Hospital Universitario La Paz de Madrid.

El equipo investigador ha identificado, además, dos biomarcadores que permiten predecir qué personas presentarán una respuesta clínica más favorable a este tratamiento de terapia avanzada contra esta enfermedad. “Las células madre mesenquimales infundidas actúan como reguladores del sistema inmune, ayudando a controlar ese estado de inflamación permanente que deteriora la salud y el bienestar de los pacientes”, explica la investigadora principal del estudio, la **Dra. María José Escámez**, investigadora del CIBERER-ISCI3 y del IIS-FJD. Los resultados son esperanzadores, según el equipo investigador: tras recibir tres infusiones, los ocho pacientes pediátricos que completaron el estudio mostraron una reducción global del prurito, una mejora en la calidad del sueño y menores niveles de fatiga.

La piel de mariposa es una enfermedad genética poco frecuente y de gran impacto caracterizada por una fragilidad extrema de la piel y las mucosas, provocando ampollas y heridas ante cualquier roce. Además, está asociada a una respuesta inflamatoria crónica sistémica que deteriora la calidad de vida y condiciona la esperanza de vida. En la actualidad afecta a unas 500.000 personas en todo el mundo, según fuentes científicas.

El estudio, publicado recientemente en la revista *Frontiers in Immunology*, ha contado con el respaldo del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII), de la Agencia Estatal de Investigación (AEI) y las asociaciones de pacientes DEBRA-España y Berritxuak. Asimismo, la participación de la Universidad Complutense de Madrid (UCM) y el Hospital General Universitario Gregorio Marañón de Madrid -en colaboración con Great Ormond Street Hospital de Londres- ha sido fundamental, al integrar su experiencia clínica y científica en el desarrollo del estudio.

Las células madre mesenquimales se encuentran principalmente en el tejido conectivo (estroma) de la médula ósea, tejido adiposo (grasa) y cordón umbilical. En general, tienen una alta capacidad inmunomoduladora y de secreción de factores reparadores, lo que las hace clave en medicina regenerativa, siendo muy estudiadas para tratar enfermedades inflamatorias y degenerativas.

Una nueva esperanza para calmar la inflamación

Este ensayo clínico, denominado MesenSistem-EB (Fase I/II), evaluó el uso de células madre mesenquimales de médula ósea procedentes de donantes familiares (haploidénticos). A diferencia de otros enfoques, este estudio no buscaba sólo reponer el colágeno 7 (C7), sino actuar sobre el sistema inmunitario del paciente.

Los resultados de este estudio han confirmado la seguridad de este tratamiento, al demostrar que es bien tolerado por los pacientes pediátricos sin registrarse eventos adversos graves asociados a la infusión. Además, el equipo investigador logró estabilizar los indicadores de inflamación en todo el cuerpo (como la PCR y el fibrinógeno), lo que permitió que el estado de los pacientes no empeorara durante el año que duró el seguimiento.

El equipo investigador identificó dos biomarcadores, las moléculas MCP1 y sCD40L, cuyos niveles en sangre permiten predecir qué pacientes responderán mejor al tratamiento. “Esto supone un paso importante hacia la medicina personalizada en enfermedades raras”, señala Marcela Del Río Nechaevsky, investigadora del Departamento de Bioingeniería de la UC3M y del IIS-FJD.

El valor de la colaboración pública y social

“Este avance no habría sido posible sin un buen ecosistema de colaboración”, destaca el equipo investigador del proyecto, que ha contado con la financiación del ISCIII y de la AEI, demostrando el retorno social de la inversión pública en ciencia. Especial relevancia tiene además el papel de las asociaciones de pacientes DEBRA-España y Berritxuak, que han cofinanciado y apoyado el ensayo clínico desde sus inicios. “Para las familias, ver que la ciencia avanza en el control del dolor, el picor y la calidad del sueño es una luz de esperanza. Este tratamiento no solo trata la piel, trata la vida diaria de niñas y niños”, señalan desde las asociaciones.

Los investigadores concluyen que esta aproximación terapéutica podría convertirse en una estrategia complementaria fundamental para mitigar la escalada inflamatoria en fases críticas de la enfermedad. “El ensayo clínico MesenSistem-EB sienta las bases para futuros protocolos combinados que podrían transformar el pronóstico de la piel de mariposa a nivel internacional”, indica otra de las autoras del estudio, Lucía Martínez Santamaría, investigadora del Departamento de Bioingeniería de la UC3M y del IIS-FJD.