

## Una nueva herramienta para el seguimiento de la progresión de la atrofia muscular espinal (AME): la resonancia magnética cuantitativa (RMNc).

*Un estudio de colaboración de Roche con el Hospital Infantil de la Universidad de Basilea*

### Puntos claves:

- La prueba de imagen, la resonancia magnética cuantitativa (RMNc), podría ver en este estudio, diferencias entre las personas con atrofia muscular espinal (AME) que pueden caminar y personas no afectadas.
- Los datos de RMNc se correlacionaron bien con las medidas de movilidad y movimiento.
- La RMNc puede tener potencial como biomarcador para la progresión de la AME en ensayos clínicos

### ¿En qué consistía este estudio?

Los investigadores examinaron formas de rastrear el cambio en las personas con AME tipo 3 durante un período de un año utilizando diferentes biomarcadores<sup>1</sup>. También examinaron si estos biomarcadores se correlacionaban con medidas bien establecidas de movilidad y movimiento (MFM [medida de función motora] y 6MWT [prueba de marcha de 6 minutos]).

Este estudio examinó a 19 personas con AME Tipo 3 que fueron capaces de caminar y 19 personas sanas no afectadas. Tenían entre 11 y 60 años de edad.

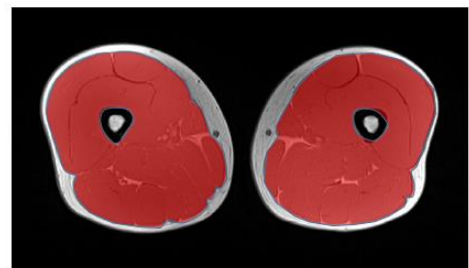
El estudio se llevó a cabo en el Hospital Infantil Universitario de Basilea, Suiza, en colaboración con Roche

### ¿Qué muestra la RMNc?

La RMNc pudo identificar claramente a las personas con AME versus las personas no afectadas.

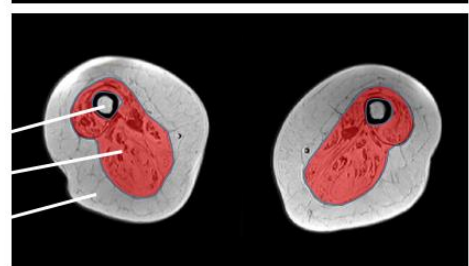
Las imágenes de RMNc también mostraron que las personas con AME habían reducido el tamaño de los músculos a nivel del muslo y tenían una mayor proporción de grasa en el músculo en comparación con los voluntarios sanos. Sin embargo, la RMNc no mostró ningún cambio en el músculo de las personas con AME tipo 3 durante el período del estudio de 1 año. Se sabe que las personas con AME tipo 3 progresan lentamente, con pocos cambios año tras año.

Voluntario  
Sano



Paciente  
AME

Hueso  
Músculo  
Grasa



Ejemplo de imágenes mostrando un corte transversal del muslo

### ¿Cómo se relacionó el hallazgo RMNc con otras medidas?

El tamaño del músculo se correlacionó bien con las medidas establecidas de movimiento (MFM y 6MWT). Esto sugiere que las propiedades musculares vistas por la RMNc están estrechamente vinculadas al movimiento y la movilidad. Ambas medidas de movimiento (MFM y 6MWT) mostraron pocos cambios durante un año.

## **¿Qué significa esto para las personas con AME?**

La RMNc puede tener potencial como un biomarcador en ensayos clínicos de AME complementando las mediciones establecidas tales como MFM y 6MWT. Esta técnica de imagen, que se correlaciona bien con los test de MFM y 6MWT, podría potencialmente monitorizar la composición muscular en personas con AME. Debido a que la progresión de la enfermedad en formas más leves de la AME es lento y difícil de detectar, la RMNc podría potencialmente ayudar a controlar el cambio con el tiempo. Sin embargo, los resultados del estudio sugieren que 1 año no es lo suficientemente largo para detectar cambios. Por lo tanto, los ensayos clínicos de la AME pueden necesitar durar más de un año para mostrar los posibles efectos beneficiosos de los medicamentos en investigación

## **Antecedentes**

### **¿Qué son los biomarcadores?**

Los biomarcadores son moléculas o características biológicas que se pueden medir en células o tejidos.

Los biomarcadores sirven como indicadores de la presencia o progreso de la enfermedad, o los efectos del tratamiento.

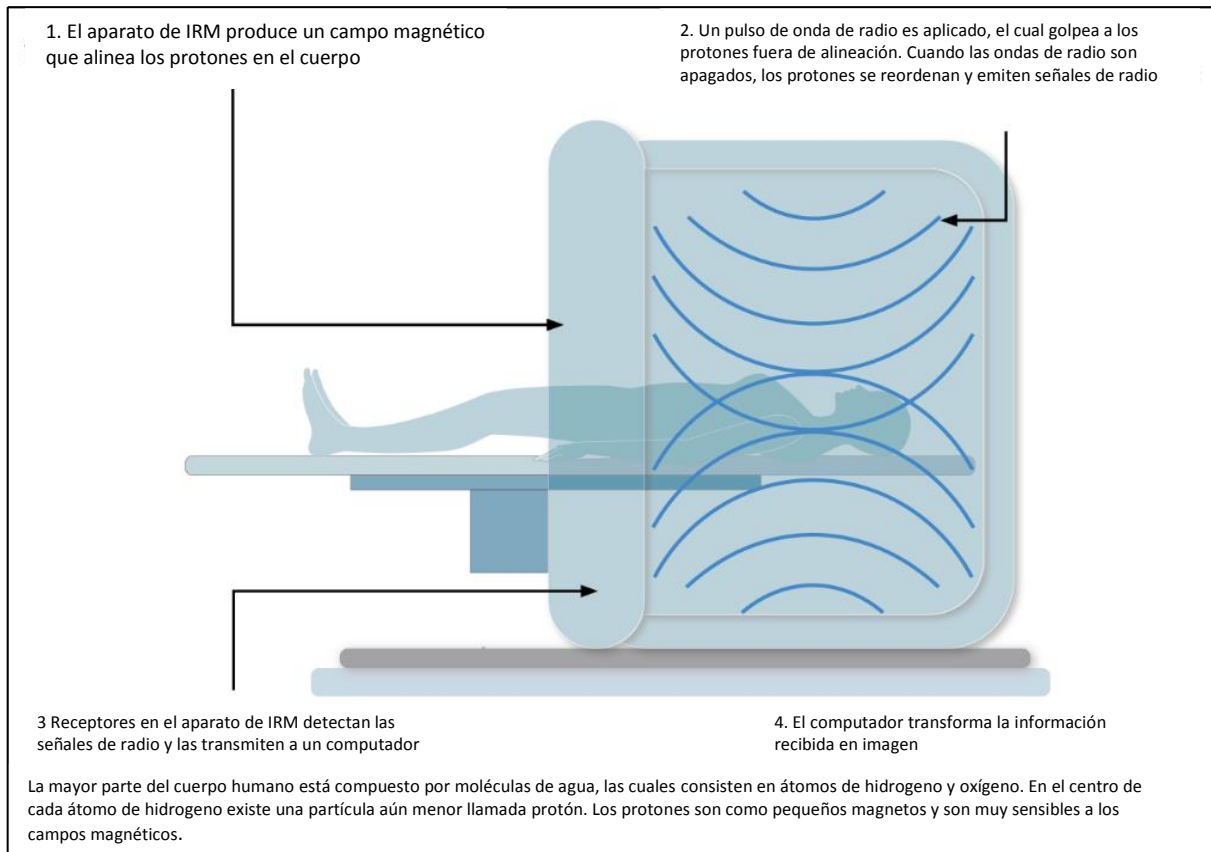
Por ejemplo, el nivel de colesterol en la sangre es un biomarcador utilizado para determinar el riesgo de enfermedad cardíaca.

La progresión de la AME puede ser lenta y difícil de medir, en particular para las formas de aparición tardía, como la de tipo 3. Aunque muchos biomarcadores se han evaluado en personas con AME, no hay un biomarcador que se utilice ampliamente para medir la progresión la AME o los beneficios potenciales de nuevos tratamientos.

### **¿Qué son las imágenes de resonancia magnética (MRI)?**

La RM es una técnica segura y sin dolor que utiliza un campo magnético y ondas de radio para crear imágenes detalladas por ordenador de tejidos y órganos<sup>2</sup> (véase la figura<sup>3</sup> abajo). A diferencia de las medidas de movimiento, la RMNc no se ve afectada por el nivel de cansancio o motivación de una persona.

Estas imágenes de RMNc pueden mostrar cambios tales como pérdida de músculo y cuánto músculo se ha perdido. Esto podría ayudar a monitorear el empeorando con el tiempo de la AME e incluso ser utilizado en ensayos clínicos para monitorizar el beneficio potencial de los medicamentos en investigación



### ¿Qué es el MFM y el 6MWT?

- La Medida de Función Motor (MFM) registra la cantidad de movimiento y movilidad alcanzada.
- La prueba de la marcha de 6 minutos (6MWT) mide la distancia recorrida en 6 minutos.

Ambas pruebas requieren que la persona haga ciertos ejercicios. Por lo tanto, la puntuación puede verse afectada si alguien está cansado o no está motivado en el día.

### Bibliografía

1. Bonati U, Holiga S, Hellbach N, *et al.* *Ann Clin Transl Neurol.* 2017; **4**:292–304.
2. Patient. MRI scan. Available at: <https://patient.info/health/mri-scan>. Accessed August 2017.
3. IPC Physical Therapy. MRI scan. Available at: <http://www.ipcphysicaltherapy.com/MRIScan.aspx>. Accessed August 2017.