PUBLICACIÓN: somospacientes.com
PAÍS: ESP
TIPO: Web
AVE: €54.00
AUDIENCIA:
AUTOR:
URL: www.somospacientes.com
> 12 de noviembre de 2026 a las 8:20
> Versión en línea

El 19º Congreso MPS Lisosomales: cuando la ciencia llega a nuestra casa



El pasado 3 de octubre, Joseph Muenzer, profesor de Pediatría y Genética de la Universidad de Carolina del Norte en Chapel Hill y referente mundial en las enfermedades lisosomales, abrió en Madrid la sesión científica de nuestro 19º Congreso MPS Lisosomales . Entre quienes le escuchaban no había solo especialistas. Había madres y padres llegados de diez países. No eran espectadores: el congreso es suyo.

Durante dos días, en el Hotel Ilunion Atrium, más de 200 personas, familias de España, Portugal, Italia, Francia, Reino Unido, Alemania, México, Perú, Estados Unidos y Japón, junto a profesionales sanitarios e investigadores, compartimos el lema que desde la Asociación MPS Lisosomales elegimos para esta edición: « Siguiendo el rumbo de la esperanza. Un espacio para familias, ciencia y futuro ». Pocas veces un lema se ha cumplido tan al pie de la letra, y nos sentimos orgullosos de ello.

Porque la esperanza, en estas enfermedades, necesita evidencia. Y la tuvo. Cerca de una veintena de ponentes repasaron las novedades clínicas en mucopolisacaridosis, el cribado neonatal, el síndrome de Morquio A, la alfamanosidosis, la transición de la atención pediátrica a la adulta, el trabajo en red y la terapia domiciliaria, entre otros temas. Seis compañías presentaron las moléculas y ensayos clínicos que tienen en desarrollo. Y conocimos los proyectos financiados por la asociación a través de las Becas de Investigación Dra. Mercè Pineda

Lo que se escuchó allí no fue poca cosa. «La investigación está cambiando y avanzando mucho», resumió Mireia del Toro, neuropediatra del Hospital Universitari Vall d'Hebron y miembro del Consejo Médico de la asociación. En septiembre, Estados Unidos aprobó la primera terapia génica para la mucopolisacaridosis tipo IIIA , el síndrome de Sanfilippo A, una enfermedad neurodegenerativa que hasta ahora no tenía tratamiento.

Onclusive
Todos los derechos reservados
https://onclusive.com/en-gb/talk-to-us/

PUBLICACIÓN: somospacientes.com
PAÍS: ESP
TIPO: Web
AVE: €54.00
AUDIENCIA:
AUTOR:
URL: www.somospacientes.com
> 12 de noviembre de 2026 a las 8:20
> Versión en línea

En marzo se había aprobado allí, por la vía acelerada, la primera terapia de reemplazo enzimático diseñada para atravesar la barrera hematoencefálica en el síndrome de Hunter . Y en septiembre se trató al primer paciente de un ensayo internacional de fase I/II con una enzima capaz de cruzar esa barrera en niños con síndrome de Sanfilippo B. Por primera vez, la ciencia empieza a llegar al sistema nervioso, ese lugar que los tratamientos no alcanzaban.

Hemos aprendido, sin embargo, a no confundir esperanza con prisa. La propia del Toro advirtió de que estas terapias tardarán de media unos dos años en llegar a España y de que no tendrán el mismo efecto en todos los pacientes. Decirlo así, en voz alta y delante de las familias, también es cuidarlas.

Pensado para familias

Ese es, para nosotros, el verdadero valor del congreso: que el conocimiento de primer nivel no se quede en las revistas científicas, sino que llegue a quienes conviven cada día con la enfermedad. Que una madre pueda preguntar directamente a quien investiga . Que un padre vuelva a casa entendiendo por qué el tiempo importa tanto. «Con todas las terapias, cuanto antes empiezas, mejores son los resultados», insistió la neuropediatra.

Por eso el congreso no fue solo ciencia. El viernes, las familias inscritas pudieron consultar de forma gratuita, con cita previa, a la Dra. del Toro, al Dr. Antonio González-Meneses (Hospital Universitario Virgen del Rocío), al Dr. Cristóbal Colón Mejeras (Hospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela) y al Dr. Guillem Pintos Morell, además de a la psicóloga de la asociación, Verónica Rodríguez. Poder hacerlo tiene un gran valor para todas, y especialmente para las que vienen de otros países . Los niños y niñas, pacientes en su mayoría, tuvieron sus propias actividades. Y madres y padres encontraron tiempo para lo que ningún tratamiento sustituye: hablar con quien entiende sin necesidad de explicarlo todo.

Lo sabemos bien quienes acompañamos a estas familias desde las asociaciones de pacientes: cuidar de un hijo con una enfermedad lisosomal supone una carga enorme, que recae casi por completo en madres y padres, y que pesa todavía más cuando la enfermedad afecta al sistema nervioso. Un congreso que solo hablara de moléculas olvidaría a quienes sostienen, día a día, la vida de cada paciente.

Pero queda mucho camino. En España, el cribado neonatal de la cartera común del Sistema Nacional de Salud incluye 21 enfermedades y ninguna es lisosomal , aunque Galicia ya criba desde noviembre de 2024 la enfermedad de Pompe y la mucopolisacaridosis tipo I. La Ley 3/2026 obliga a evaluar ese programa al menos una vez al año y a contar con las asociaciones de pacientes. Allí estaremos, para que las enfermedades lisosomales con tratamientos capaces de cambiar su pronóstico sean evaluadas con criterios científicos.

Por: Jordi Cruz, director de la Asociación MPS Lisosomales

Onclusive Todos los derechos reservados https://onclusive.com/en-gb/talk-to-us/