

USHER SYNDROME COALITION

CONNECTING THE GLOBAL USHER COMMUNITY

BASADO EN LA CIENCIA: Febrero de 2026

Un balance entre noticias de investigación y bienestar
para la comunidad con síndrome de Usher

[Accede a los archivos en inglés](#) | [Acceder al PDF en español](#)

Febrero es un mes importante para la concientización y la defensa de los derechos. Conmemoramos el Mes de la Concientización sobre la Baja Visión, que visibiliza las experiencias y necesidades de las personas con pérdida de visión, y el 28 de febrero celebramos el Día de las Enfermedades Raras, un día mundial dedicado a crear conciencia sobre las enfermedades raras.

Este mes brinda la oportunidad de aumentar la comprensión, fortalecer las conexiones comunitarias y avanzar en nuestro compromiso compartido con la educación, la investigación y el apoyo.

Únase a USH Trust para mantenerse al día sobre ensayos clínicos y los criterios para nuevos participantes. Regístrese respondiendo diez breves preguntas.

Únase al USH Trust

INVESTIGACIÓN DESTACADA: Estudio de fase 1 USH3 BF844

Nos complace anunciar que la Iniciativa Usher III (U3I) ha completado la fase 1 del ensayo clínico en humanos con BF844, un nuevo tratamiento potencial para el síndrome de Usher tipo III (USH3A). Este primer estudio en humanos demostró que BF844 es seguro y bien tolerado, un hito importante que se alcanza con menos del 1 % de los nuevos fármacos. Alcanzar esta etapa posiciona al programa en una posición privilegiada para avanzar hacia estudios con pacientes.

El BF844 está diseñado para abordar la causa subyacente de la USH3A, con el objetivo de ralentizar o estabilizar la pérdida de visión y audición con el tiempo. Los ensayos de fase 1 se centran únicamente en la seguridad y se realizaron en voluntarios sanos, no en pacientes, por lo que los resultados aún no muestran si el fármaco ha sido eficaz. En futuros estudios de fase 2, el objetivo es...

La [Iniciativa Usher III se está preparando ahora para un ensayo clínico de fase 2](#). Pero primero debe completar una fase de transición para prepararse. Esta incluye:

- Producción de más medicamento para estudios de fase 2
- Finalización de una versión de BF844 en una cápsula oral que pueda tomarse durante períodos de tiempo más prolongados
- Completar los estudios de seguridad a largo plazo necesarios para el uso continuo

Al mismo tiempo, U3I ha iniciado conversaciones sobre un nuevo fármaco en investigación (IND) con la FDA, ha identificado sitios clínicos y ha confirmado investigadores experimentados para la Fase 2. También están trabajando con la Fundación para la Lucha contra la Ceguera en un estudio de historia natural a largo plazo para comprender mejor cuándo el tratamiento puede ser más útil para las personas con USH3A.

La Iniciativa Usher III espera recaudar los fondos necesarios para completar la fase puente y encontrar un socio que apoye los ensayos de fase 2. Estos pasos son importantes para impulsar el desarrollo de BF844 y generar los datos necesarios para que este posible tratamiento esté disponible para los pacientes más pronto.

Consulte nuestra [página de investigación actual de USH](#) específicos del subtipo USH, así como otros enfoques [terapéuticos independientes de los genes](#).

Prepárate para nuevas conexiones este verano en USH2026

Únase a nosotros en la Conferencia USH Connections del 17 al 19 de julio en el Radisson Blu Mall of America para un fin de semana de conexión, aprendizaje e inspiración.

Nos complace compartir [la descripción general de nuestro programa preliminar](#). ¡Para USH2026! El fin de semana comienza el viernes por la tarde con una reunión informal, seguida de un programa completo el sábado que incluye:

- Discurso inaugural a cargo de un miembro de la comunidad Usher
- Últimas actualizaciones de investigación sobre desarrollo terapéutico, ensayos clínicos y estudios de historia natural.
- Panel de preguntas y respuestas de investigación con investigadores
- Sesiones de la tarde sobre cómo vivir bien con el síndrome de Usher
- Cena y reunión social por la noche

NUEVO este año: sesiones paralelas los domingos por la mañana para cerrar la conferencia.

Opciones de registro:

- La asistencia virtual brinda acceso a las presentaciones en vivo de la Sesión General del sábado.
- La inscripción en persona es todo incluido: encuentro y saludo el viernes, programa completo el sábado (comidas incluidas) y sesiones paralelas el domingo.

Hemos conseguido un número limitado de habitaciones a una tarifa de conferencia de \$199 por noche.

[Reserva tu habitación](#) ¡antes del 10 de junio de 2026 para asegurar la tarifa con descuento!

[Regístrate ahora](#) ¡Y únete a nosotros este verano para aprender, conectarte y formar una comunidad!

Regístrate hoy para USH2026

EN CASO DE QUE TE LO PERDISTE: Reportaje de noticias científicas

AAVantgarde completa la inscripción en el ensayo clínico de fase 1/2 LUCE-1 de

AAVB-081 para la retinitis pigmentosa asociada al síndrome de Usher tipo B

15 de enero de 2026: AAVantgarde trabaja en una nueva terapia génica y ha iniciado un ensayo clínico para personas con síndrome de Usher tipo 1B. El ensayo, denominado LUCE-1, es un ensayo clínico de fase 1/2 y ya ha completado la inscripción de 15 adultos de entre 18 y 60 años. Este estudio se centra principalmente en comprobar si el tratamiento, denominado AAVB-081, es seguro al administrarse mediante una única inyección intraocular. Los médicos también estarán atentos a las primeras señales de que la terapia pueda ayudar a retrasar la pérdida de visión causada por la retinosis pigmentaria (RP).

Esta terapia genética está diseñada para administrar una copia funcional del gen MYO7A, que no funciona correctamente en personas con síndrome de Usher tipo 1B.

Debido a la gran magnitud de este gen, los investigadores utilizan un sistema especial de dos partes para transportarlo a las células de la retina. Actualmente no existen tratamientos aprobados para la pérdida de visión asociada a esta afección, por lo que este hito es un paso importante.

Los investigadores ahora seguirán a los participantes a lo largo del tiempo para recopilar datos de seguridad y compartir los resultados a medida que estén disponibles.

Qué significa esto para la comunidad con síndrome de Usher: Este hito demuestra el progreso continuo en el tratamiento del síndrome de Usher tipo 1B, una afección para la que no existen terapias aprobadas para la pérdida de visión. Si bien este ensayo se centra en la seguridad, la información obtenida ayudará a orientar estudios futuros y a acercar la investigación a opciones de tratamiento reales.

[Enlace al artículo](#)

AVISO LEGAL: La Coalición del Síndrome de Usher no ofrece asesoramiento médico ni promueve métodos de tratamiento. El objetivo de USH Science News es resumir la literatura más compleja para que la comunidad la utilice a su discreción.

Para más noticias científicas, consulte nuestra [página de Noticias Científicas](#), organizado por enfoque de tratamiento y tipo de síndrome de Usher.

SOBRE EL BIENESTAR:

Encuesta de salud mental para adultos con TIR

Retina International está realizando un estudio plurianual sobre la salud mental y el bienestar de las personas con degeneraciones retinianas hereditarias (DRH), incluyendo aquellas con síndrome de Usher. Se invita a participar a los adultos (mayores de 18 años) residentes fuera de la República de Irlanda con una DRH, así como a sus cuidadores o familiares que les brinden asistencia digital.

Machine Translated by Google El objetivo es comprender mejor cómo los trastornos de la personalidad (IDR) afectan la salud mental y qué factores están vinculados a estos desafíos. La participación es voluntaria y el estudio cuenta con la aprobación ética de la Universidad de Melbourne.

- Encuesta para pacientes: <https://www.surveymonkey.com/r/SDC9R6Y>
- Encuesta para cuidadores y familiares: <https://www.surveymonkey.com/r/X68TZGS>

¿Tiene alguna pregunta? Contacte a la Dra. Ellen Moran en ellen.moran@retina-international.org.

[Descargo de responsabilidad](#): La información y los recursos de este sitio web se ofrecen únicamente con fines educativos e informativos y no ofrecen asesoramiento médico ni terapéutico. Consulte nuestra página de recursos de salud mental en nuestro [sitio web](#).

PROGRAMA DE RECOLECCIÓN DE DATOS SOBRE EL SÍNDROME DE USHER

A medida que el mundo continúa conociendo a las personas que viven con el síndrome de Usher, es un excelente momento para unirse al Programa de recopilación de datos del síndrome de Usher: el [USH DCP](#). Para que los investigadores puedan comprender mejor este diagnóstico. Si desea más ayuda para inscribirse, comuníquese con Yael Saperstein, nuestra Coordinadora de Inscripción Comunitaria del Programa de Cuidados Intensivos de la USH. Yael es experta en el proceso de inscripción, la accesibilidad y la orientación a nuevos participantes en cada paso del proceso. Contacte con Yael aquí: y.saperstein@usher-syndrome.org.

Consejo de USH

Los bastones blancos se pueden ajustar a las necesidades y preferencias individuales. Existen diferentes puntas de bastón para distintos terrenos y la información que pueden proporcionar. Se pueden colocar linternas para proporcionar luz adicional en entornos oscuros o con poca luz. Estas opciones se pueden encontrar en [Ambutech](#).

Envíe sus consejos sobre USH a info@usher-syndrome.org

¿Te has unido al [Discord](#) de la Coalición del Síndrome de Usher? ¿[Servidor comunitario](#)?

Es un lugar seguro para que la comunidad se conecte. [Únete aquí](#).



Nuestra información de contacto

{{Nombre de la organización}}

{{Dirección de la organización}}

{{Teléfono de la organización}}

{{Sitio web de la organización}}

{{Cancelar suscripción}}