

USHER SYNDROME COALITION

CONNECTING THE GLOBAL USHER COMMUNITY

BASADO EN LA CIENCIA: Marzo 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](#)

Cada año, el 3 de marzo, el Día Mundial de la Audición, organizado por la Organización Mundial de la Salud, arroja luz sobre la importancia de la salud auditiva en todo el mundo. Para la comunidad de USH, este día es profundamente personal. El síndrome de Usher es la principal causa genética de pérdida auditiva y visual combinada. Las personas con síndrome de Usher nacen con pérdida auditiva o la desarrollan más adelante en la vida.

Basada en la ciencia e impulsada por la esperanza, la investigación ha ayudado a los médicos a comprender mejor los genes que causan el síndrome de Usher y a mejorar el diagnóstico temprano mediante la detección auditiva neonatal y las pruebas genéticas. La identificación temprana abre las puertas a la tecnología auditiva, la atención oftalmológica, el apoyo educativo y la conexión con la comunidad.

Estamos comprometidos con la concientización, la investigación y la colaboración: trabajar juntos para garantizar que nadie con síndrome de Usher se sienta solo y que se avance hacia Los tratamientos continúan.

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: Datos trienales del MCO-010
Muestra mejoras duraderas en la visión

En nuestra [edición de noviembre de 2025](#), compartimos que Nanoscope Therapeutics había iniciado el proceso de solicitud de aprobación de la FDA para MCO-010, un posible

Machine Translated by Google

la retinosis pigmentaria (RP) que podría ayudar a las personas con síndrome de Usher. Este mes, tenemos una actualización importante para compartir.

A fines de febrero de 2026, los investigadores presentaron los resultados de tres años de dos estudios clínicos, RESTORE y REMAIN, en la [Reunión Anual de la Macula Society](#). Estos resultados son una parte importante del proceso de aprobación en curso de la FDA.

¿Qué es MCO-010? MCO-010 es una terapia génica que se administra mediante una única inyección intraocular. Funciona activando una capa diferente de células retinianas para que respondan a la luz, evitando así las células que ya se han perdido debido a la RP. Al no actuar sobre una mutación genética específica, podría ayudar a las personas independientemente del gen que haya causado su pérdida de visión, incluso en diferentes subtipos del síndrome de Usher.

¿Qué mostraron los nuevos datos? En ambos estudios, las personas con RP avanzada que recibieron MCO-010 mostraron mejoras significativas en su agudeza visual, aproximadamente el equivalente a leer tres líneas adicionales en una tabla optométrica. Estas mejoras se mantuvieron durante tres años de seguimiento y no se reportaron efectos secundarios graves relacionados con el tratamiento.

¿Qué significa esto para la comunidad con síndrome de Usher? La pérdida de visión causada por la RP afecta a personas con todos los tipos de síndrome de Usher. Dado que MCO-010 no depende de la corrección de un gen específico, podría ser una opción para toda nuestra comunidad, incluyendo a quienes presentan subtipos o mutaciones menos comunes y aún no cuentan con un tratamiento específico en desarrollo. [La solicitud continua de la BLA](#) de Nanoscope a la FDA está actualmente en proceso. De aprobarse, MCO-010 sería una inyección ~~única que no requiere~~ pruebas genéticas.

Para mantenerse informado sobre los ensayos clínicos que pueden ser relevantes para usted, [únase a la USH Confianza](#).

Consulte nuestra [página de investigación actual sobre USH](#) específica para el 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 el [resumen preliminar del programa para USH2026](#)! El fin de semana comienza el viernes por la tarde con una reunión informal, seguida del programa completo del sábado, que incluye:

- 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.

[Reserve su habitación](#) antes del 10 de junio de 2026 para asegurar la tarifa con descuento!

[Regístrese ahora](#) y únase a nosotros este verano para aprender, conectarse y formar una comunidad!

Regístrate hoy para USH2026

POR SI TE LO PERDISTE: Noticias de Ciencia

Pequeños órganos cultivados en laboratorio ayudan a los científicos a estudiar y tratar el síndrome de Usher.

Síndrome

8 de abril de 2025: Científicos del Hospital Infantil de Boston y de la Facultad de Medicina de Harvard estudian cómo el cuerpo crece y se repara mediante la creación de diminutos "miniórganos" en el laboratorio. Estos miniórganos, llamados organoides, se crean a partir de células madre humanas. Algunos están diseñados para asemejarse a partes del oído interno, mientras que otros se asemejan a la piel. Los organoides del oído interno pueden desarrollar las células especiales similares a pelos necesarias para la audición, y los organoides de la piel pueden formar capas de piel e incluso pelos diminutos.

Al observar el crecimiento de estos miniórganos, los investigadores pueden observar cómo las enfermedades genéticas afectan al cuerpo en tiempo real. En el caso de las personas con síndrome de Usher, los organoides creados a partir de las propias células del paciente pueden revelar cómo las células auditivas comienzan a dejar de funcionar debido a mutaciones genéticas específicas. Esto ofrece a los científicos una forma de probar nuevos tratamientos de forma temprana y segura, sin esperar a ensayos en animales o humanos. En algunos estudios, se colocaron organoides de piel en ratones y se les desarrolló cabello humano real, lo que demuestra que el tejido cultivado en laboratorio puede sobrevivir y funcionar en el cuerpo.

Este mismo equipo de investigación está utilizando activamente estas herramientas para estudiar específicamente el síndrome de Usher, incluyendo la prueba de tratamientos que tienen como objetivo reparar las células ciliadas dañadas responsables de la pérdida auditiva.

Lo que esto significa para la comunidad con síndrome de Usher: Los organoides ofrecen a los investigadores una forma más rápida y relevante para comprender cómo el síndrome de Usher afecta el oído interno y para probar nuevas terapias antes de que lleguen a los ensayos clínicos. Cada avance en esta tecnología acerca a los científicos un paso más a tratamientos que abordan la causa raíz de la pérdida auditiva y visual en nuestra comunidad.

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

SOBRE EL BIENESTAR: ¿Qué pasa si la discapacidad no es algo que se pueda solucionar?

Actualizaciones de investigación como la anterior nos recuerdan lo lejos que ha llegado la ciencia. Pero el progreso no solo ocurre en un laboratorio. Rebecca Alexander, al aceptar el Premio al Logro Helen Keller de la Fundación Americana para Ciegos, nos recordó que la forma en que vivimos con el síndrome de Usher es tan importante como lo que descubrimos sobre él.

Estas palabras, publicadas recientemente por Rebecca Alexander [en Instagram](#), son muy oportunas, ya que celebramos el Día de las Enfermedades Raras y el Día Mundial de la Audición. El mensaje es simple, contundente y se transcribe aquí:

Mi propósito, mi legado, no es solo
educar e informar, sino también mostrar a la
gente cómo es tener una discapacidad. Mi legado es erradicar los estereotipos y
las suposiciones que la gente suele hacer sobre lo que
significa tener una discapacidad, con la esperanza de que esto suscite curiosidad, comprensión
y un mayor
sentido de comunidad.

El título dice: “¿Qué pasaría si la discapacidad no fuera algo que se pueda arreglar, sino una forma diferente de ser humano?”

Machine Translated by Google Como mujer sordociega, mi propósito en el escenario no es solo educar o inspirar. Es desafiar la idea de que la cura es el objetivo y preguntar qué se hace posible cuando invertimos en acceso, inclusión y diseño reflexivo.

Descripción del video: Rebecca se encuentra en un podio mientras acepta el premio Helen Keller al Logro de la Fundación Americana para Ciegos. Lleva un vestido formal negro y el cabello recogido en un moño bajo.

[Aviso legal:](#) 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 \(USH DCP\)](#) 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 USH DCP. 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

Cómo transcribir un video para facilitar su accesibilidad

Usa un sitio web: Copia el enlace del video y pégalo en un sitio como [RecCloud](#) o [Kapwing](#). Estos sitios pueden convertir el sonido del video a texto automáticamente.

Descargar y subir: Guarda el video en tu computadora o teléfono. Luego, súbelo a una herramienta como [Otter.ai](#) o [HappyScribe](#) para obtener una versión escrita.

Ver subtítulos: En tu teléfono, toca los tres puntos del video. A veces hay un botón "Mostrar transcripción" que puedes pulsar para ver el texto.

Usar subtítulos en vivo: Puedes activarlos en la configuración de tu teléfono. Esto mostrará el texto en pantalla mientras se reproduce el video.

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

¿Te has unido al servidor comunitario [de Discord](#) de Usher Syndrome Coalition?

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}}