

# USHER SYNDROME COALITION

CONNECTING THE GLOBAL USHER COMMUNITY

---

## BASADO EN LA CIENCIA: abril de 2026

Un equilibrio entre noticias sobre investigación y bienestar para la comunidad del síndrome de Usher.

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

Nos complace compartir novedades de nuestra renovada [serie de los viernes sobre educación científica](#). ¡En redes sociales! Esta primavera, comenzamos desde cero, explicando qué es el síndrome de Usher, cómo funciona la genética y desglosando la ciencia en contenido breve y atractivo. Cada semana, seguiremos profundizando en estos fundamentos, haciendo que los temas complejos sean accesibles y fáciles de entender para nuestra comunidad.

Manténganse atentos, ya que ampliaremos la serie para abordar los avances en la investigación, los enfoques de tratamiento y la ciencia que impulsa el progreso en el síndrome de Usher.

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

Únete a la Fundación USH

## INVESTIGACIÓN DESTACADA:

### Ensayo clínico CLARICO de BlueRock Therapeutics

BlueRock Therapeutics, filial de Bayer AG, anunció que la FDA ha otorgado la designación de medicamento huérfano (un estatus especial que la FDA concede a los tratamientos para enfermedades raras) a su tratamiento experimental, OpCT-001, para la retinosis pigmentaria (RP). La RP es un grupo de enfermedades oculares hereditarias (genéticas) que provocan una pérdida gradual de la visión con el tiempo, debido a que las células fotorreceptoras del ojo dejan de funcionar progresivamente.

OpCT-001 es una terapia celular derivada de iPSC. iPSC significa células madre pluripotentes inducidas. Estas son células adultas que han sido reprogramadas en un laboratorio para convertirse nuevamente en células madre pluripotentes.

Se encuentran en un estado de célula madre, lo que les confiere la capacidad de desarrollarse en diversos tipos de células. En este caso, el objetivo es utilizarlas para crear fotorreceptores nuevos y sanos e implantarlos en el ojo para ayudar a restaurar la visión. Este es el primer ensayo clínico de este tipo de terapia con células madre para enfermedades de los fotorreceptores, por lo que representa un hito histórico en este campo de investigación.

Actualmente, el tratamiento se está estudiando en un ensayo clínico llamado CLARICO, que evalúa la seguridad y eficacia de OpCT-001. Dado que la retinosis pigmentaria (RP) afecta a un número relativamente pequeño de personas, las compañías farmacéuticas suelen tener menos incentivos económicos para desarrollar tratamientos. Sencillamente, hay menos pacientes a los que vender. La FDA creó la designación de medicamento huérfano precisamente para ayudar a solucionar este problema, ofreciendo a las compañías financiación y apoyo adicionales para incentivarlas a desarrollar tratamientos para enfermedades raras como la RP.

Lo que esto significa para la comunidad del síndrome de Usher: Dado que la pérdida de visión en el síndrome de Usher se debe al daño de los fotorreceptores causado por la retinosis pigmentaria, un tratamiento que reemplace esas células podría aplicarse algún día también a las personas con este síndrome. Aún se encuentra en fase de pruebas iniciales, pero representa un paso importante hacia posibles tratamientos que podrían restaurar la visión en las personas con síndrome de Usher.

[Enlace al artículo](#)

---

Consulta nuestra [página de Investigación actual de USH](#), específicos para el subtipo USH, así como otros enfoques [terapéuticos independientes de los genes](#).

Se ha ampliado la tarifa de inscripción anticipada para 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.

Un recordatorio: hemos extendido el plazo de inscripción anticipada hasta el 15 de abril. Aún tienes cinco días para aprovechar esta oportunidad y asegurar tu plaza presencial.

Precio de inscripción anticipada: 200 dólares por adulto (aumenta a 250 dólares por adulto el 16 de abril). Las entradas presenciales son todo incluido, lo que proporciona acceso a las oportunidades de encuentro y saludo del viernes por la tarde, a la conferencia de día completo del sábado (desayuno, pausa para el café, almuerzo y cena incluidos), además de las sesiones paralelas del domingo por la mañana.

Opciones de boletos adicionales: \$100  
por niño  
\$100 Acceso ÚNICAMENTE virtual

Viernes 17 de julio : la programación comienza por la tarde. Sábado 18 de julio :

jornada completa de sesiones. Domingo 19 de julio: de

9:30 a 11:30. Novedad de este año: por primera

vez, tendremos sesiones paralelas los domingos.

Estas sesiones más reducidas te brindarán más oportunidades para conectar y aprender. Próximamente compartiremos más detalles sobre el programa.

[Reserva tu habitación de hotel](#) ;Reserve antes del 10 de junio para obtener la tarifa con descuento! Hemos reservado un número limitado de habitaciones a una tarifa especial para conferencias de \$199 por noche.

Regístrese hoy mismo para USH2026.

## POR SI TE LO PERDISTE: Noticias científicas

Correr voluntariamente previene parcialmente la muerte de las células fotorreceptoras en la retinosis pigmentaria.

31 de marzo de 2025: Para las personas con síndrome de Usher, la pérdida de visión suele ocurrir lentamente con el tiempo. Este estudio analizó [la retinosis pigmentaria \(RP\)](#). [La retinosis pigmentaria \(RP\)](#) es una afección ocular que causa pérdida de visión. Daña las células fotorreceptoras del ojo, necesarias para ver, especialmente en condiciones de poca luz. Para comprender mejor cómo proteger estas células, los investigadores estudiaron ratones con RP. Algunos ratones pudieron ejercitarse corriendo en una rueda, mientras que otros no. Los ratones que se ejercitaron mantuvieron células oculares más sanas. Los investigadores también observaron niveles más altos de la hormona adiponectina en los ratones que se ejercitaron. Esta hormona podría ayudar a proteger la retina y favorecer la salud ocular. Si bien este estudio se realizó en ratones, sugiere que el movimiento podría ayudar a ralentizar el daño ocular.

Lo que esto significa para la comunidad del síndrome de Usher: Este estudio sugiere que algo tan simple como la actividad física podría formar parte de un plan integral para proteger la visión. El ejercicio no es un tratamiento, y se necesitan más estudios en humanos. Sin embargo, esta investigación ayuda a los científicos a comprender cómo responde el ojo al estrés y qué medidas de protección podrían ser beneficiosas. Cada descubrimiento como este acerca a los investigadores un paso más a encontrar maneras de ralentizar la pérdida de visión y proteger la vista de las personas con síndrome de Usher.

[Enlace al artículo](#)

**AVISO LEGAL:** La Coalición del Síndrome de Usher no ofrece asesoramiento médico ni promueve tratamientos. USH Science News tiene como objetivo resumir la literatura científica más compleja para que la comunidad la utilice a su criterio.

## SOBRE EL BIENESTAR: Comprensión y conexión

Mi historia | Anna Radová, República Checa

Me llamo Anna y soy la madre de un niño de cinco años, Štěpán, al que le diagnosticaron el síndrome de Usher tipo 1D.

Cuando recibimos el diagnóstico, me sentí completamente perdida. En la República Checa, casi nadie conoce el síndrome de Usher. No existen grupos de pacientes, ni recursos locales, y muy pocos médicos lo comprenden realmente. Que yo sepa, aparte de mi hijo, solo hay dos pacientes adultos con USH1D en nuestro país.

Encontrar la Coalición del Síndrome de Usher lo cambió todo para mí. Gracias a su sitio web, por fin encontré información real y clara sobre genética, investigación e incluso ensayos clínicos en curso.

También registré a nuestra familia en la Fundación USH, lo que me ayudó a sentirme conectada por primera vez con una comunidad más amplia, con personas que comprenden nuestra situación. Me dio esperanza. Y esa esperanza se transformó en acción. Comencé a contactar a otras familias, científicos y organizaciones, y poco a poco, creé USH1D United, una pequeña red internacional de familias con el mismo subtipo poco común. Compartimos nuestros conocimientos, nos apoyamos mutuamente e intentamos concienciar sobre el síndrome de Usher relacionado con CDH23.

Creo firmemente que la concienciación y la conexión pueden marcar la diferencia. Si unimos a las personas y compartimos conocimientos, tal vez podamos acelerar la investigación y, algún día, acercar un tratamiento a nuestros hijos. Gracias, Coalición del Síndrome de Usher, por ayudarme a empezar. Por la información, la inspiración y la certeza de que no estamos solos. Porque, al fin y al cabo, se trata de nuestros hijos y de su futuro.

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

### PROGRAMA DE RECOPIACIÓN DE DATOS SOBRE EL SÍNDROME DE USHER

A medida que el mundo sigue conociendo a las personas que viven con el síndrome de Usher, es un buen 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 ayuda adicional para inscribirse, comuníquese con Yael Saperstein, nuestra Comunidad.

Machine Translated by Google de Inscripciones del Programa de Desarrollo de la Salud de Usher (USH DCP). Yael es experta en el proceso de inscripción, la accesibilidad y en guiar a los nuevos participantes en cada etapa. Puede contactar con Yael aquí: [y.saperstein@usher-syndrome.org](mailto:y.saperstein@usher-syndrome.org).

### Consejo de USH

Transcripciones en tiempo real con Otter.ai para un diálogo inclusivo.

[Nutria.ai](#) Creates proporciona texto en tiempo real para conversaciones y diálogos grupales inclusivos a medida que ocurren, a través de varias funciones clave de accesibilidad:

Subtítulos en tiempo real: La aplicación convierte las palabras habladas en una transcripción en vivo que se desplaza por la pantalla, lo que proporciona un respaldo visual si el ruido de fondo dificulta seguir el habla.

Identificación de locutores: Otter.ai puede aprender y etiquetar diferentes voces, lo que facilita saber quién está hablando en un grupo.

Transcripciones con función de búsqueda: Todas las conversaciones se guardan y se pueden buscar. Puedes volver a consultar el texto más tarde para aclarar detalles o revisar información que hayas pasado por alto en el momento.

Vocabulario personalizado: Puedes añadir nombres específicos o términos técnicos al diccionario de la aplicación para mejorar la precisión de la transcripción, tanto para tu vida personal como profesional.

Envía tus sugerencias sobre el síndrome de Usher a [info@usher-syndrome.org](mailto:info@usher-syndrome.org)

¿Ya te uniste al [Discord](#) de la Coalición del Síndrome de Usher? ¿[Servidor comunitario](#)?

Es un lugar seguro para que la comunidad se conecte entre sí. [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}}\*