



**Biblioteca
Cochrane**

Base de Datos **Cochrane** de Revisiones Sistemáticas

Ácido ascórbico para el tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (Revisión)

Gess B, Baets J, De Jonghe P, Reilly MM, Pareyson D, Young P

Gess B, Baets J, De Jonghe P, Reilly MM, Pareyson D, Young P.
Ascorbic acid for the treatment of Charcot-Marie-Tooth disease
(Ácido ascórbico para el tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth).
Cochrane Database of Systematic Reviews 2015, Issue 12. Art. No.: CD011952.
DOI: [10.1002/14651858.CD011952](https://doi.org/10.1002/14651858.CD011952).

www.cochranelibrary.com/es

[Revisión de intervención]

Ácido ascórbico para el tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth

Burkhard Gess¹, Jonathan Baets^{2,3,4}, Peter De Jonghe^{2,3,4}, Mary M Reilly⁵, Davide Pareyson⁶, Peter Young⁷

¹Department of Neurology, University Hospital RWTH Aachen, Aachen, Germany. ²Neurogenetics Group, Department of Molecular Genetics, VIB, Antwerp, Belgium. ³Laboratory of Neurogenetics, Institute Born-Bunge, University of Antwerp, Antwerp, Belgium. ⁴Department of Neurology, Antwerp University Hospital (UZA), Antwerp, Belgium. ⁵MRC Centre for Neuromuscular Diseases, National Hospital for Neurology and Neurosurgery and UCL Institute of Neurology, London, UK. ⁶Unit of Clinics of Central and Peripheral Degenerative Neuropathies, Department of Clinical Neuroscience, IRCCS Foundation, C. Besta Neurological Institute, Milan, Italy. ⁷Department of Sleep Medicine and Neuromuscular Disorders, University Hospital of Münster, Münster, Germany

Dirección de contacto: Burkhard Gess, Department of Neurology, University Hospital RWTH Aachen, Pauwelsstraße 30, Aachen, 52074, Germany. burkhard.gess@gmail.com.

Grupo Editorial: Grupo Cochrane Neuromuscular.

Estado y fecha de publicación: Editada (sin cambios en las conclusiones), publicada en el número 12, 2015.

Referencia: Gess B, Baets J, De Jonghe P, Reilly MM, Pareyson D, Young P. Ascorbic acid for the treatment of Charcot-Marie-Tooth disease (Ácido ascórbico para el tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth). *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2015, Issue 12. Art. No.: CD011952. DOI: [10.1002/14651858.CD011952](https://doi.org/10.1002/14651858.CD011952).

Copyright © 2015 The Cochrane Collaboration. Publicada por John Wiley & Sons, Ltd.

RESUMEN

Antecedentes

La enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (CMT) comprende una gran variedad de formas diferentes de neuropatía hereditaria motora y sensorial. Durante los últimos 20 años se ha aclarado la base molecular de varias formas de CMT. Debido a que la debilidad muscular y los trastornos sensoriales lentamente progresivos son las características principales de estos síndromes, los tratamientos intentan mejorar el deterioro motor y los trastornos sensoriales para mejorar las capacidades. Los ensayos del tratamiento farmacológico para la CMT son poco frecuentes. Esta revisión se derivó de una revisión Cochrane, "Treatment for Charcot Marie Tooth disease" (Tratamiento para la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth), que se actualizará mediante esta revisión y un próximo título, "Treatments other than ascorbic acid for Charcot-Marie-Tooth disease" (Tratamientos diferentes del ácido ascórbico para la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth).

Objetivos

Evaluar los efectos del tratamiento con ácido ascórbico (vitamina C) para la CMT.

Métodos de búsqueda

El 21septiembre 2015, se hicieron búsquedas de ensayos controlados aleatorios (ECA) de tratamientos para la CMT en el registro especializado del Grupo Cochrane de Enfermedades Neuromusculares (Cochrane Neuromuscular Disease Group), Registro Cochrane Central de Ensayos Controlados (Cochrane Central Register of Controlled Trials) (CENTRAL), MEDLINE, EMBASE y en LILACS. También se verificaron los registros de ensayos clínicos para encontrar estudios en curso.

Criterios de selección

Se incluyeron los ECA y los ensayos controlados cuasialeatorios de cualquier tratamiento con ácido ascórbico para los pacientes con CMT. Se incluyeron los estudios que procuraban evaluar el tratamiento de síntomas neuromusculares generales de personas con neuropatía periférica, incluida la enfermedad de CMT, si era posible identificar el efecto del tratamiento en el grupo de CMT. No se incluyeron estudios observacionales ni informes de casos del tratamiento con ácido ascórbico en pacientes con CMT.

Obtención y análisis de los datos

Dos autores de la revisión (BG y JB) extrajeron de forma independiente los datos y evaluaron la calidad de los estudios.

Resultados principales

Seis ECA compararon el efecto del ácido ascórbico oral (1 a 4 gramos) y el tratamiento placebo en la CMT1A. En cinco ensayos que incluyeron a adultos con CMT1A, 622 participantes recibieron ácido ascórbico o placebo. La mayoría de los ensayos tuvo bajo riesgo de sesgo. Hay pruebas de alta calidad de que el ácido ascórbico no mejora el curso de la CMT1A en adultos, medido con la puntuación de neuropatía de la CMT (escala de 0 a 36) a los 12 meses (diferencia de medias [DM] -0,37; intervalos de confianza [IC] del 95%: -0,83 a 0,09; cinco estudios; n = 533), o a los 24 meses (DM -0,21; IC del 95%: -0,81 a 0,39; tres estudios; N = 388). El tratamiento con ácido ascórbico mostró un efecto positivo sobre la prueba de nueve clavijas versus placebo (DM -1,16 segundos; IC del 95%: -1,96 a -0,37), aunque la importancia clínica de este resultado es probablemente pequeña. Los metanálisis de otros parámetros de resultados secundarios no mostraron efectos beneficiosos relevantes del ácido ascórbico. En un ensayo, 80 niños con CMT1A recibieron ácido ascórbico o placebo. El ensayo no mostró efectos beneficiosos clínicos del tratamiento con ácido ascórbico. Los efectos adversos no difirieron en su naturaleza o cantidad entre el ácido ascórbico y placebo.

Conclusiones de los autores

Pruebas de alta calidad indican que el ácido ascórbico no mejora el curso de la CMT1A en adultos en cuanto a los parámetros de resultado utilizados. Según pruebas de baja calidad, el ácido ascórbico no mejora el curso de la CMT1A en los niños. Sin embargo, la CMT1A es lentamente progresiva y los parámetros de resultado muestran solamente un cambio pequeño con el transcurso del tiempo. Se deben considerar duraciones más largas de los estudios, y se deben diseñar y validar parámetros de resultado más sensibles al cambio con el transcurso del tiempo para los estudios futuros.

RESUMEN EN TÉRMINOS SENCILLOS

Vitamina C para la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (neuropatía hereditaria motora y sensorial)

Pregunta de la revisión

¿Cuáles son los efectos beneficiosos o perjudiciales de la vitamina C (ácido ascórbico) en el tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (CMT)?

Antecedentes

La enfermedad de CMT representa un espectro amplio de neuropatías periféricas hereditarias (trastornos en los que los nervios fuera del cerebro y la médula espinal presentan daño) que, en general, progresan lentamente y causan emaciación muscular y pérdida de la sensación. La emaciación muscular y la pérdida de la sensación son causadas por la destrucción de las fibras nerviosas que van a los músculos o la piel. La vitamina C se ha propuesto como un tratamiento para la CMT debido a que es necesaria para la mielinización (desarrollo de la mielina, o aislamiento alrededor de las fibras nerviosas) en los cultivos de laboratorio de las células nerviosas y los nervios periféricos de ratones.

Características de los estudios

Se realizaron búsquedas en la bibliografía médica para obtener ensayos de la vitamina C en la enfermedad de CMT y se encontraron seis ensayos (cinco en adultos y uno en niños) sobre el tratamiento de la CMT tipo 1A (CMT1A) con vitamina C. Todos compararon dosis de vitamina C de 1 a 4 gramos por día con placebo (una pastilla simulada o de azúcar que se asemeja a la vitamina C), administradas durante 12 ó 24 meses. Los ensayos en adultos incluyeron un total de 622 pacientes. El otro ensayo incluyó a 80 niños. La medida principal de los efectos de la vitamina C en esta revisión fue el cambio en el deterioro. También se recopiló información sobre la discapacidad, los estudios de conducción nerviosa, la sensación, la fuerza muscular, la calidad de vida y los efectos perjudiciales de la vitamina C.

Resultados clave y calidad de las pruebas

Se encontró que el tratamiento con ácido ascórbico no mejoró el deterioro causado por la CMT1A en adultos, medido con la puntuación de la neuropatía de la CMT (CMTNS, por sus siglas en inglés). En los niños no se informó la CMTNS debido a que es una medida desarrollada para los adultos con CMT. Las medidas utilizadas para los niños en este estudio no mostraron efectos beneficiosos de la vitamina C. Los estudios en su mayoría tuvieron bajo riesgo de sesgo, lo que significa que estuvieron bien diseñados y los resultados no fueron influenciados fácilmente por el azar. Los eventos adversos fueron similares en naturaleza y en cantidad en los grupos de vitamina C y placebo.

Hay pruebas de alta calidad en los adultos y pruebas de baja calidad en los niños de que la vitamina C no mejora el curso de la CMT1A. Sin embargo, la CMT progresa lentamente, por lo que las duraciones de los estudios de 12 ó 24 meses pueden no haber sido suficientemente prolongadas para detectar efectos del tratamiento. Se deben realizar estudios de investigación adicionales con una duración mayor de los estudios y parámetros de resultado más sensibles, aunque es poco probable que haya algún efecto grande en los adultos o los niños.