

creciente desarrollo farmacológico

Las distintas valoraciones sobre el impacto de fármacos huérfanos lastran un acceso equitativo

Las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos han sido los protagonistas de una mesa redonda en la que se han tratado aspectos regulatorios y se han explicado iniciativas públicas y privadas en torno al estudio de estas patologías y el creciente desarrollo farmacológico en los últimos años.

José Antonio Plaza - Viernes, 1 de Octubre de 2010 - Actualizado a las 10:05h.



Ana Belén Irigaray, Fernando Royo, Olga Genilloud, Stuart Medina y Francisco Palau

Fernando Royo, director general de Genzyme, ha introducido la sesión y ha valorado el largo camino recorrido por el abordaje de enfermedades raras. Según ha explicado, algunas voces hablan de que, después de lograr que la ciencia se ocupe de ellas y conseguir una proliferación de moléculas en desarrollo para tratarlas, se ha alcanzado un tope. Royo no está de acuerdo con que el abordaje de estas patologías haya tocado techo y cree que aún hay muchos valores ocultos y que este ámbito es uno de los primeros escalones de la medicina personalizada. Además, ha pedido llegar a un acuerdo para la sostenibilidad del SNS en relación a estos fármacos, porque "no es posible que muchos años de investigación y dar con una solución terapéutica acaben con un fármaco que no se utilice debido a su alto precio".

Ana Belén Irigaray, gerente de Asuntos Regulatorios de Pharmamar, ha apuntado la dificultad de realizar ensayos clínicos debido a la escasa incidencia de estas patologías, y ha explicado que existen numerosas diferencias de conocimiento y experiencia en el abordaje entre investigadores, industria y reguladores, por lo que no es fácil llegar a un consenso. Pese a ello hay estándares claros para la aprobación y comercialización de fármacos huérfanos. Existe una única autorización, pero el problema viene después, ya que el precio reembolso es negociable y cada país decide por su cuenta. Así, cada estado valora de forma distinta el impacto de estas enfermedades y medicamentos.

Esto provoca que el acceso a las soluciones terapéuticas no sea equitativo. El número de fármacos huérfanos difiere mucho entre los países europeos: "El reto es afrontar estas diferencias y conjugar la única directiva existente para comercializar con los numerosos procedimientos de negociación para el precio-reembolso". Es necesario crear una base común en la que cooperen investigadores, industria, reguladores y pacientes.

Olga Genilloud, directora científica de la Fundación Medina, ha explicado la labor de esta iniciativa de colaboración público-privada que une a MSD, la Junta de Andalucía y la [Universidad de Granada](#) y que pretende facilitar la llegada final del producto al paciente. Su labor se centra en enfermedades infecciosas (multirresistencias), tropicales (malaria, Leishmania, Chagas), cáncer, alteraciones de la inmunomodulación y enfermedades raras como el glioblastoma y la ELA. Su búsqueda de soluciones farmacológicas se relaciona con nuevos productos naturales microbianos y el cribado ADME-TOX para la evaluación preclínica de moléculas candidatas.

Por su parte, Francisco Palau ha valorado la labor del Ciberer, que dispone de 61 grupos multidisciplinares que generan el 75 por ciento de la producción científica de enfermedades raras en España. Un biobanco, un servicio de investigación de modelos animales y otro de fenotipado completan las armas del centro.

Stuart Medina, director general de Proretina Therapeutics, ha aportado la visión financiera. Tras reiterar que las inversiones son el gran problema de la investigación en enfermedades raras y fármacos huérfanos, ha presentado la labor de la compañía, spin off del CIB que lleva funcionando desde 2007. Se centra en el estudio de distrofias retinianas y en la retinosis pigmentaria, una enfermedad degenerativa en la que se van destruyendo los fotorreceptores y se pasa de una visión túnel a una ceguera total. No tiene cura por el momento. Su principal valor es la molécula PRO-001, que preserva la visión por más tiempo con una respuesta dependiente de la dosis y un mecanismo de acción que se basa en la inhibición de la muerte celular programada. Mejora la conservación de la retina y el principio activo en que se basa no es tóxico ni inmunogénico. Medina ha apuntado que, aunque en un futuro quizá se enfoquen hacia patologías más incidentes como la DMAE o la retinopatía diabética, por el momento mantendrán una única ocupación en fármacos huérfanos.

NOTICIAS RELACIONADAS

El análisis del microARN de la leptina confirma sus posibilidades frente a la obesidad

Andreu Palou, de la Universidad de las Islas Baleares y del CiberOBN, ha ofrecido una charla sobre nutrición y obesidad en el Congreso Biotec, en Biospain. Según ha explicado, su grupo ha trabajado con la administración de leptina en ratas recién nacidas y ha concluido que es beneficiosa para prevenir la obesidad, ya que disminuye el riesgo de insensibilidad a la hormona en la vida adulta. El reto a partir de ahora es analizar en humanos la forma ideal de aportar suplementos de leptina.

Un nivel bajo de MBL supone más riesgo de rechazo subclínico del injerto

El genoma del mosquito 'Culex' presenta una gran variabilidad

Los genes 'BIN1' y 'EXOC3L2' se asocian al Alzheimer

Los sudasiáticos tienen dos veces más riesgo de infarto tras trasplante de riñón

La terapia con agentes inmunológicos eleva la tasa de supervivencia en niños con neuroblastoma de alto riesgo

El cáncer de páncreas neuroendocrino se puede añadir pronto a las dos indicaciones aprobadas para sunitinib