

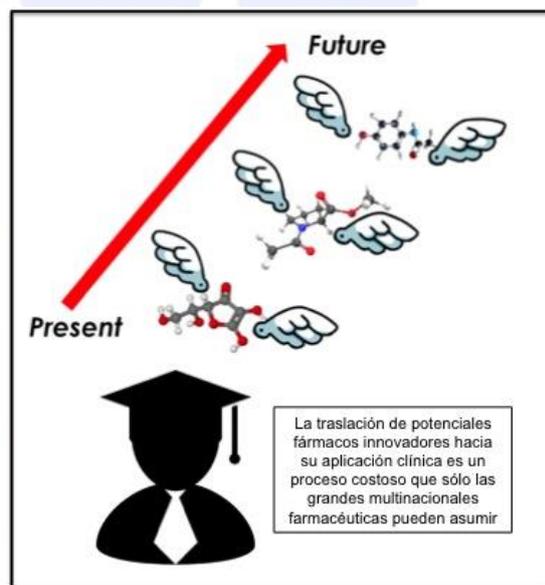
No sabemos tanto como creíamos sobre las enfermedades

Para ilustrar este punto pondré el ejemplo de la genómica, una rama de la biología que tuvo su explosión inicial en los años 80 y que prometía un abanico de nuevos recursos para curar las imperfecciones del organismo escritas en el código genético. Casi treinta años después los tan prometidos avances de la genómica apenas han comenzado a traducirse en soluciones terapéuticas reales. ¿Por qué ha ocurrido esto? Simplemente porque la genómica no guarda todas las claves para predecir ni curar las enfermedades cuyo origen se relaciona con el código genético.

Cuando este hecho se hizo patente e innegable, se desarrollaron nuevas herramientas tecnológicas en el laboratorio para explorar otros aspectos ampliamente desconocidos de la biología, dando así origen a la epigenética, la transcriptómica, la proteómica, y la interactómica, ciencias creadas *ad hoc* que trajeron consigo el desaliento de una complejidad de los sistemas biológicos mucho mayor de la esperada. Ahora se sabe que las expectativas puestas en la terapia génica no sólo supusieron empezar la casa por el tejado, sino más bien empezar a construir el pueblo por el campanario de la iglesia. Debido a la gran cantidad de información escondida en distintos niveles de los sistemas biológicos se ha aceptado que, sin las herramientas de manejo de *big data* adecuadas que permitan desenmarañar la compleja red de interacciones que se dan a nivel celular, los mecanismos últimos de un gran número de enfermedades permanecerán incógnitos. Es por ello que grandes esperanzas están ahora puestas en el desarrollo de esta nueva ciencia.

El peso de la innovación en terapéutica recae sobre la industria farmacéutica

No hay duda de que grandes descubrimientos se realizan cada semana en instituciones académicas de todo el mundo. Algunos llegan a trascender y se convierten en noticias científicas más o menos rigurosas, pero muchos otros hallazgos quedan inexplorados y por siempre en el anonimato. ¿Es que nadie muestra interés en continuar con esas investigaciones? Para responder a esta cuestión debemos preguntarnos qué es necesario hacer para trasladar un hallazgo científico desde un laboratorio académico hacia una solución terapéutica real para los pacientes. Las autoridades nos exigen (de forma justificada) estudios de prueba de concepto preclínica, pruebas de toxicidad en animales, después en humanos y finalmente la comprobación de la eficacia del potencial fármaco en pacientes con la enfermedad. El coste de estas actividades requeridas para la aprobación de un fármaco innovador es tan





elevado que sólo las grandes multinacionales farmacéuticas cuentan con los recursos necesarios para llevarlas a cabo. Esto hace que las compañías farmacéuticas en gran medida guíen el desarrollo de nuevos fármacos y que, en algunos casos, puedan adaptar este proceso a sus necesidades corporativas, llegando a un *status quo* que, dependiendo de la empresa y del momento, no necesariamente ha de estar regido en exclusividad por la innovación pura. Así, mientras que la mayoría de las multinacionales farmacéuticas apuestan por la innovación real aplicada a las soluciones definitivas de las patologías, el coste de esta innovación supone invertir también grandes esfuerzos en áreas terapéuticas tan explotadas y bien cubiertas como el control de la hipertensión arterial o el colesterol, descuidando temporalmente otras como ciertos tipos de cáncer y las enfermedades neurodegenerativas (que suponen una laguna terapéutica mucho mayor) porque la prevalencia y cronicidad de las primeras garantiza una demanda y un mercado estables que a su vez actúa de motor para cubrir los costes de la innovación de primera línea.

Dicho de otro modo, sin este tipo de actividades focalizadas en indicaciones de amplio espectro la investigación temprana en patologías más críticas y huérfanas llegaría a ser insostenible y no habría innovación en absoluto. Una posible alternativa frente a la gran responsabilidad de la industria en el desarrollo farmacéutico pasaría por generar fuentes de financiación pública que cubran los gastos de desarrollo de nuevos fármacos y los ensayos clínicos, un peso al que, por otra parte, los sistemas sanitarios ya saturados no pueden hacer frente.

Además de otras variables que no se han comentado aquí, el conocimiento de nuestras propias limitaciones y una mejor determinación de las prioridades en innovación terapéutica pueden contribuir a aportar el *momentum* necesario para que la investigación biomédica despegue y nos aproxime al sueño de una humanidad libre de enfermedad.



Autor: David Fernández López. Investigador asociado, Unidad de Investigación Neurovascular, Departamento de Farmacología, Facultad de Medicina.

<https://www.ucm.es/farmacologia/investigacion-en-patologia-cerebrovascular>
e-mail: d6fernand@gmail.com

