

### NOTA DE PRENSA

## **FACILITAR UNA APLICACIÓN MÁS DIRECTA DE LA TERAPIA GÉNICA Y DAR UN SENTIDO MÁS PRÁCTICO A LAS INVESTIGACIONES EN NUEVOS FÁRMACOS, RETOS DE LOS TRATAMIENTOS DE ENFERMEDADES RARAS**

- **Así quedó expuesto en la nueva sesión del Foro InnovaER, promovido por la Fundación Mehuer y la iniciativa Cátedras en Red de Janssen**
- **El foro se ha celebrado en la Clínica Universitaria de Navarra y se ha centrado en la innovación de los tratamientos de las patologías de baja prevalencia**
- **En el caso de las terapias génicas, el gran reto pasa por producir a gran escala sistemas que permitan conducir, vehiculizar (conocidos como vectores) dicho tratamiento innovador hasta sus órganos diana**
- **En lo que respecta a la innovación en tratamientos farmacológicos, uno de los ponentes solicitó promover verdadera investigación traslacional que permita llevar a cabo una aplicación práctica de la investigación clínica**
- **Los pacientes solicitaron dotar de mayor presupuesto a la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras y la creación de una hoja de ruta de derivación entre comunidades autónomas**

**Pamplona, 24 de noviembre de 2015.-** Aplicar la innovación a los tratamientos de enfermedades raras tiene ante sí dos retos fundamentales: en el caso de las terapias génicas, producir a gran escala sistemas que permitan conducir, vehiculizar (conocidos como vectores) dicho tratamiento innovador hasta sus órganos diana; mientras que en el ámbito farmacológico, consistiría en realizar una verdadera investigación traslacional que permita llevar a cabo una aplicación práctica de la investigación clínica.

Estos son algunas de las principales conclusiones alcanzadas en una nueva edición del Foro InnovaER, celebrada recientemente en la Clínica Universitaria de Navarra, integrada en Cátedras en Red, que también participa en la realización de este foro. En esta sesión celebrada en Pamplona, el foro promovido por la Fundación Mehuer y Janssen se centró en analizar medidas que permitan realizar una aplicación real y

equitativa de las innovaciones en el acceso a los tratamientos para enfermedades raras, que afectan a más de tres millones de personas en España.

Precisamente una de las apuestas más innovadoras en cuanto a tratamiento de estas patologías es la terapia génica. Pese a lo avanzado en estos últimos años, este tipo de terapias aún tienen ante sí un problema que coarta su efectividad: un sistema eficaz que permita transportar el material genético desarrollado en laboratorio hasta las células afectadas.

Sobre este tema ahondó la Dra. González Aseguinolaza, directora del Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión del CIMA (Centro de Investigación Médica Aplicada de la Universidad de Navarra), y quien explicó la solución adoptada para su centro para tratar la porfiria aguda intermitente, una enfermedad ultra rara con una prevalencia de un caso entre un millón. Para introducir el nuevo material genético y llegar al órgano diana (en este caso, el hígado) han creado un virus no patógeno que permite alcanzar de manera satisfactoria las partes afectadas.

A la dificultad por encontrar vectores óptimos para vehicular la llegada de la carga genética a las células huésped se une otro problema a solventar: “Determinar la eficacia de un nuevo producto génico en modelos animales es relativamente fácil. Pero cuando queremos aplicarlo a un paciente tenemos que multiplicar por mil los vectores a utilizar, por lo que se nos presenta como gran reto la necesidad producir vectores virales a gran escala para su uso clínico”, aseveró esta ponente.

Sobre la innovación aplicada a los nuevos tratamientos farmacológicos habló el Dr. José Rifón, miembro del Servicio de Hematología de la Clínica Universitaria de Navarra y especialista en Leucemia Linfocítica Crónica (LLC), de la que se diagnostican unos 1.200 nuevos casos al año en España. En su intervención, este ponente consideró esencial apoyar el desarrollo de nuevos medicamentos pero tratando de primar que se haga desde una “visión clínica que permita auténtica investigación traslacional en la que los investigadores puedan tener en el horizonte una aplicación práctica de sus descubrimientos”.

### **Mayor dotación a la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras**

Esta nueva sesión del Foro InnoVaER tuvo un marcado carácter participativo, ya que muchos de los pacientes asistentes pudieron plantear consultas concretas sobre sus patologías a alguno de los especialistas participantes. Como representante del colectivo de afectados intervino Juan Carrión, presidente de FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras), quien también aprovechó la ocasión para desgranar algunas demandas que abanderara la entidad que preside.

Entre estas peticiones estaba la de dotar de presupuesto a la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras, que a día de hoy, según Carrión, no deja de ser “un simple documento”. En ese sentido, el presidente de FEDER exigió la existencia de un marco normativo sólido que regule la cronicidad en el SNS, que haya centros de referencia y que se doten del presupuesto necesario para su funcionamiento autónomo.

En relación a esto último, Juan Carrión cuestionó la inexistencia de una hoja de ruta de derivación: “¿De qué sirve tener centros de referencias si los profesionales no tienen un protocolo de derivación? Se prometió para finales de 2013 pero aún no se ha publicado”.

El máximo representante de los colectivos de pacientes de enfermedades raras en España no quiso dejar pasar la ocasión para recordar la inequidad en cuanto al acceso a tratamientos a dichas patologías. A este respecto, solicitó que no se consintiera que el acceso al mismo fuera distinto según la zona del país así como que se agilizase el proceso de aprobación e implementación de nuevos medicamentos huérfanos en el país.

### **Las enfermedades raras y las CC.AA**

La inequidad en el acceso a los tratamientos para enfermedades raras según la comunidad autónoma del paciente fue uno de los temas más citados en este encuentro. En este sentido, fue muy representativa la intervención del presidente de la Fundación Mehuer y el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla, Manuel Pérez, quien expuso que “hay dos códigos que marcan a los pacientes de enfermedades raras: el código genético, que va a marcar la aparición o no de la patología, y el código postal, que va a marcar el acceso o no al tratamiento de la patología”.

En relación a estas palabras, María Jesús Lasanta, jefa de Sección de Ciudadanía Sanitaria, Aseguramiento y Garantías de Salud de la Consejería de Salud del Gobierno de Navarra, expresó que el gran reto más inmediato para ofrecer una mejor atención a los afectados por estas dolencias pasa por una mejor coordinación, ya que sea entre distintos profesionales, distintos servicios clínicos, distintos niveles de atención, distintas comunidades autónomas e incluso entre países europeos.

Como una medida básica para alcanzar una mayor coordinación, Lasanta expuso que sería positivo que una normativa estatal obligase a todas las comunidades a contar con un registro de enfermedades raras, tal y como sucede en Navarra desde 2013, año en el que se aprobó la Ley Foral para el Registro Poblacional de Enfermedades Raras.

Junto a estos ponentes participaron también en esta nueva edición del Foro InnovaER. Roberto Flores Amondaraín, director de Área de Relaciones Institucionales de Janssen (quien habló sobre acceso a la investigación en enfermedades raras); el Dr. Manuel Landecho Acha, del Departamento de Medicina Interna de la Clínica Universitaria de Navarra, (y que ahondó en las ‘Inmunodeficiencias congénitas del adulto’); Dra. Ana Patiño García, de la Unidad de Genética Clínica Universitaria de Navarra (expuso sobre la ‘Enfermedad de Dravet’) y el Dr. Agustín España Alonso, del Departamento de Dermatología de la Clínica Universitaria de Navarra. Ejerció de moderador el Dr. Jorge Quiroga Vila, del Departamento de Medicina Interna de la Clínica Universidad de Navarra.

### **Sobre Fundación Mehuer**

La Fundación Mehuer es una entidad creada por el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla en el año 2010 dedicada a fomentar la investigación y la divulgación en torno a las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos. En este sentido, esta fundación

impulsa actividades tales como el Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, del que ya se han organizado siete ediciones con carácter bienal (la octava edición tendrá lugar en febrero de 2017) y que reúne a los principales expertos en diagnóstico y tratamiento sobre estas enfermedades. Esta actividad se lleva a cabo en colaboración con FEDER y el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla.

Aparte de la dotación de becas para la investigación (de las que se han entregado más de una veintena), Mehuer también convoca anualmente un premio periodístico que reconoce a las mejores piezas, publicadas en prensa, radio, televisión o Internet, relacionadas con estas patologías.

### **Sobre Janssen**

Desde sus inicios, Foro InnovaER cuenta con el patrocinio de Janssen, que lleva 25 años investigando en torno a las enfermedades hematológicas.

Actualmente, esta firma sigue innovando en mieloma múltiple, en leucemia, linfomas y enfermedades de muy baja prevalencia como la macroglobulinemia de Waldenstrom y la Enfermedad de Castleman, en las que trabajan para dar acceso a los pacientes a distintos fármacos innovadores.

### **Sobre Cátedras en Red**

Cátedras en Red es una iniciativa pionera en España compuesta actualmente por cuatro grupos multidisciplinares de investigadores que, desde diferentes perspectivas, abordan asuntos relacionados con la medicina y la atención sanitaria en España. Cada una de las cátedras que forman parte del proyecto (Aula de Innovación en Terapéutica Farmacológica, de la Clínica Universidad de Navarra, la Cátedra de Economía de la Salud y Uso Racional del Medicamento, de la Universidad de Málaga, la Cátedra de Innovación y Gestión Sanitaria, de la Universidad Rey Juan Carlos, de Madrid y el Aula en Innovación en Política Sanitaria Janssen - Universitat Internacional de Catalunya) están especializadas en una disciplina concreta.

Esta visión interdisciplinar de Cátedras en Red contribuye al enriquecimiento de los conocimientos adquiridos, individualmente, gracias a un abordaje global de los diferentes ámbitos de interés. La divulgación de dicho conocimiento es, precisamente, uno de los principales objetivos del proyecto, patrocinado por Janssen.

### **Para más información:**

**Gabinete de comunicación de la Fundación Mehuer (Colegio de Farmacéuticos de Sevilla): Manuela Hernández (95 462 27 27 / 651 867 278) y Tomás Muriel (95 462 27 27 / 605 603 382)**