

ASH 2018 abordará los retos en genómica y los últimos avances biotecnológicos

● Varias de las comunicaciones se centrarán en la integración de la inmunoterapia en diferentes patologías

CARMEN LÓPEZ

Madrid

Esta semana la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés) celebra su 60 Conferencia Anual en San Diego. Se trata de una cita muy esperada en la que se van a presentar resultados clínicos importantes en patologías de la sangre. Una de las novedades de mayor relevancia es el uso de las últimas novedades biotecnológicas en el abordaje de estas enfermedades, con un papel crucial en el campo de la oncohematología.

Se prevé que asistan alrededor de 25.000 asistentes de 155 países diferentes; además, responsables de este encuentro aseguran que en esta edición se presentarán "grandes ensayos con grandes resultados", que casi con seguridad "cambiarán la práctica clínica".

Las células CAR-T son un buen ejemplo. De hecho, durante el encuentro mundial varias de las comunicaciones se centrarán en la integración de la inmunoterapia en el tratamiento de enfermedades como linfoma, mieloma y leucemia, y

en las estrategias para maximizar los resultados de los pacientes.

La trayectoria para el desarrollo de la ingeniería genómica se ha acelerado a medida que se implementan rápidamente nuevas herramientas para el descubrimiento científico en diversas patologías de la sangre. El apoyo temprano y continuo de las principales agencias de investigación, como los Institutos Nacionales de la Salud, ha catalizado el progreso de las terapias basadas en genes. Sin embargo, este discurso ha revelado la necesidad de una clara articulación de pautas y estándares que contemplen las consideraciones sociales y éticas de la modificación genómica. De esta manera, durante el simposio presidencial, los expertos discutirán la evolución de la tecnología genómica, las aplicaciones clínicas emergentes y las cuestiones éticas —sobre todos los aspectos de la investigación con células madre y su traducción clínica—.

Precisamente, otra de las conferencias se centrará en la comprensión de los mecanismos celulares y el potencial que tienen las células madre. Estos mecanis-



Imagen de la pasada Conferencia Anual de la Sociedad Americana de Hematología (ASH)

mos permiten que se produzcan trillones de células sanguíneas maduras de corta duración a lo largo de toda una vida, algo que ha despertado el interés de médicos y científicos durante más de un siglo. Uno de ellos es E. Donnal Thomas, quien reconoce el potencial clínico de este hallazgo y además ha iniciado estudios al respecto. Los experimentos realizados posteriormente para identificar las células responsables llevaron a los primeros ensayos de crecimiento clonal in vivo; es decir, métodos que detectan y cuantifican simultáneamente células individuales de forma retrospectiva, en función de sus resultados de la progenie cuando se estimulan in vivo.

Los ensayos clonales han permitido la investigación de la patogenia de muchas enfermedades hematológicas y han revolucionado los enfoques de su terapia. También han servido de paradigma para

investigaciones más amplias de los mecanismos celulares responsables del mantenimiento y la regeneración de otros tejidos.

De hecho, los desarrollos más recientes ahora hacen posible identificar características moleculares críticas de células humanas normales y anormales con propiedades de crecimiento definidas al realizar diferentes evaluaciones en células individuales fijas y viables con fenotipos de superficie de coincidencia precisa. La aplicación de este enfoque está revelando que existe una heterogeneidad mucho mayor que la imaginada anteriormente.

Este encuentro tampoco pasará por alto el papel de los biosimilares en hematología. Con todo, se espera que sea un encuentro que seguirá arrojando luz con nuevos datos de ensayos clínicos que seguirán cambiando la práctica clínica.

CON LA VENIA:

Los retos alfa y los retos beta

La semana pasada tuve el placer de participar en la 5ª Jornada *Hacia un sistema sanitario basado en la creación de valor* de la Fundación Instituto Roche. Presenté una breve ponencia sobre el "Marco legal y nuevos modelos de financiación en terapias innovadoras", que cerré con una reflexión que he venido repitiendo al menos en los últimos cinco años: la innovación es posible porque hay personas e instituciones (privadas y públicas) que se esfuerzan por resolver retos alfa. En el ámbito sanitario lo han hecho muy bien. Basta ver cómo ha evolucionado la esperanza de vida en los últimos 30 años. Sin embargo, al resolver un reto alfa aparecen retos beta. Es inevitable, no puede ser de otro modo. Al innovar, se generan nuevos interrogantes.

En el caso del medicamento, y en nuestro entorno, el gran reto beta es la sostenibilidad del sistema sanitario, a pesar de que estudios recientes de los que se hace eco El Global en su número 861 indican, como apunta Carlos B. Rodríguez, que "el león podría no ser tan fiero como lo pintan". Mi reflexión al respecto concluía con la idea de que la gestión de los retos beta, que es muy necesaria, debe hacerse respetando dos condiciones: en primer lugar, deben protegerse los derechos fundamentales de los pacientes (aquí la equidad juega un papel muy importante). En segundo lugar, los gestores de riesgos beta deben velar por que quienes se preocupan de los riesgos alfa sigan pedaleando. A mí me parece que quienes están pedaleando en el desarrollo de nuevas terapias —lo cual

seguro que es más duro que el Mont Ventoux, que es muy muy duro—, pueden desanimarse si al llegar a la cima les dicen que no hay premio porque las dificultades que tienen los pacientes para acceder a sus productos son prácticamente insuperables.

La sostenibilidad exige mucha prudencia y medidas adecuadas para que los pacientes puedan beneficiarse de las nuevas terapias, pero no puede ser un monstruo que impida seguir trabajando para superar retos alfa. Para cumplir con esta segunda condición, es indispensable desterrar algunos prejuicios absurdos. ¿Quieren un ejemplo? Es frecuente escuchar que los medicamentos que no aporten valor terapéutico incremental no deben financiarse. Si así fuera, no habría medicamentos genéricos ni biosimilares, cuya gran aportación es que generan competencia en precios, algo fantástico, pero que sólo existe en las economías de mercado. Resulta así que quien ataca el libre mercado tiene que apostar por algo, la competencia, que sólo ese libre mercado le proporciona.

Para acabar, un apunte jurídico: las normas europeas y la jurisprudencia dejan claro que la fabricación hospitalaria, para pacientes concretos, de medicamentos cuya seguridad y eficacia no se evalúa del mismo modo que en el caso de los productos industriales es una excepción a la regla general; y que cuando para una indicación existe un producto industrial autorizado, los pacientes deben tratarse con el producto industrial autorizado, no con la preparación hospitalaria.

 @FausJordi

Jordi Faus
Abogado y socio
de Faus & Moliner

