

Víctor Valcárcel - Analista de la Fundación General CSIC (FGCSIC)

La Unidad de Vigilancia Estratégica de la Fundación General CSIC (FGCSIC) elaboró el informe *'Terapias avanzadas: actores clave, tendencias y situación en la Comunidad de Madrid'*, cuyo responsable es Víctor Valcárcel. Estas terapias son tratamientos de enfermedades basados en la genómica

y la bioingeniería que, además de evidentes beneficios para la salud, representan también una oportunidad estratégica para el desarrollo económico regional. Valcárcel explica que "ante todo, tienen un impacto incalculable en la salud de pacientes que no cuentan con otras opciones terapéuticas"

“Aunque suene a ciencia ficción, las terapias avanzadas ya han empezado a aplicarse y pueden cambiar la vida de los pacientes”

C. Villanueva / EM

-Las “terapias avanzadas” de las que habla el informe son un gran avance científico con evidentes beneficios para la salud y para el desarrollo económico de la Comunidad. Explíquenos cuáles son las innovaciones más destacadas.

Cuando hablamos de “terapias avanzadas”, nos referimos a tres grupos de tratamientos muy innovadores que están marcando un antes y un después en la medicina. En cierto modo, todos ellos suenan a ciencia ficción, pero son terapias que ya han empezado a aplicarse en hospitales y que pueden cambiar radicalmente la vida de muchos pacientes, porque traen esperanza frente a enfermedades que, en términos generales, no pueden curarse con otras tecnologías.

Como digo, se trata de tres tipos principales. Por un lado, están las terapias génicas, que consisten, dicho de forma sencilla, en “reparar” el ADN de una persona. Es como si pudiésemos reescribir la información que cada célula utiliza para cumplir su función en el cuerpo. Esto permite corregir errores que están grabados en las instrucciones de nuestras células, ya sea por herencia genética o por mutaciones que surgen con el tiempo.

Después tenemos las terapias celulares, que buscan sustituir células que han dejado de funcionar bien por otras nuevas y sanas. Estas células pueden proceder del propio paciente o de un donante. Por ejemplo, se investiga mucho en este campo para tratar enfermedades como el Parkinson o la diabetes.

Y, por último, está la ingeniería



de tejidos. La idea es fabricar tejidos, como piel o cartilago, para reparar zonas dañadas del cuerpo. Como si se tratara de un taller de precisión, permite sustituir “piezas” del organismo, como la piel, muy útil en casos de quemaduras graves.

-Según el estudio, estas terapias representan una oportunidad estratégica para el desarrollo económico regional. Detállenos más esta afirmación, ¿cómo repercute en el tejido económico?

Estas terapias tienen, ante todo, un impacto incalculable en la salud de pacientes que no cuentan con otras opciones terapéuticas. Y eso, aunque no siempre se traduzca en cifras,

tiene un valor inmenso. Pero entiendo perfectamente la pregunta, porque el impacto económico también es real y muy interesante. Para empezar, desde el punto de vista de la investigación, las terapias avanzadas impulsan el desarrollo de grupos científicos punteros, capaces de atraer financiación a nivel regional, nacional e incluso europeo. Eso permite que hospitales, universidades y centros de investigación consoliden equipos altamente cualificados, cuya presencia en la comunidad genera riqueza, empleo y conocimiento. Además, estas terapias requieren un tejido empresarial sólido, con empresas biotecnológicas, farmacéuticas, de diagnóstico, logística,

regulación... Es un ecosistema que necesita estar interconectado y que atrae inversiones de fondos especializados. Como bien sabemos, la inversión genera actividad económica, y esta, a su vez, impulsa empleo y bienestar.

Y no olvidemos que todo este movimiento gira en torno a una idea poderosa: mejorar la vida de las personas. Desde el diagnóstico más preciso hasta los tratamientos personalizados, pasando por la concienciación social sobre enfermedades raras o poco visibles, todo forma parte de una maquinaria que, cuando funciona, nos convierte en una sociedad más digna, más justa y más esperanzada. Seguro que eso tie-

“Aplicar genómica y bioingeniería en la investigación impulsa una medicina más precisa, más humana y con más esperanza”

ne valor económico también...

-¿En qué medida supondría un avance utilizar la genómica y la bioingeniería en la investigación de enfermedades neurodegenerativas como el Parkinson o el Alzheimer?

Para ser sincero, y hasta donde hemos podido detectar en este informe de la Fundación General CSIC, todavía no existen tratamientos definitivos para estas enfermedades. Pero, sin duda, el uso de la genómica y la bioingeniería supondría un avance enorme, y no solo por la posibilidad de desarrollar tratamientos más eficaces. Desde mi punto de vista, estas dos herramientas están revolucionando la forma en que entendemos y abordamos muchas dolencias, y en el caso del Parkinson o el Alzheimer pueden marcar una diferencia decisiva.

Por un lado, la genómica nos permite conocer en profundidad el “manual de instrucciones” de cada persona: su ADN. Gracias a ello, los científicos pueden identificar los genes implicados, entender por qué algunas personas desarrollan estas enfermedades y otras no, y buscar nuevas formas de prevenirlas o tratarlas. Además, nos acerca a una medicina más personalizada, adaptada a las características genéticas de cada paciente.

“Madrid dispone de una importante red de centros de investigación que desempeña una labor muy destacable”

Por otro lado, la bioingeniería permite diseñar soluciones a medida. Por ejemplo, se pueden crear modelos celulares en laboratorio a partir de células de pacientes para estudiar cómo progresa la enfermedad, o incluso generar neuronas nuevas a partir de células madre. Sería como construir “banco de pruebas” vivos, reduciendo así la necesidad de experimentar en animales.

Además, fuera de lo que es el campo propiamente de las terapias avanzadas, también se continúa trabajando desde la medicina tradicional y al mismo tiempo se está investigando en dispositivos que ayuden a mejorar la función cerebral o incluso restaurar la comunicación entre neuronas dañadas.

Yo creo que aplicar genómica y bioingeniería no solo mejora nuestro conocimiento, sino que impulsa una medicina más precisa, más humana y con más esperanza.

-¿La Comunidad de Madrid tiene una posición privilegiada en cuanto al conocimiento, la investigación y el desarrollo de las terapias avanzadas?

Sin duda, la Comunidad de Madrid se ha consolidado como una de las regiones más dinámicas del país en este ámbito. Su ritmo de crecimiento, el nivel de inversión y la concentración de talento la convierten en un polo de atracción para prácticamente cualquier tecnología, y las terapias avanzadas no son una excepción.

Es cierto que, históricamente, Cataluña ha sido pionera en este campo y sigue manteniendo una posición de liderazgo, pero Madrid está acortando distancias de forma notable. Lo está haciendo gracias a su capacidad para atraer inversión, tanto en emprendimiento e innovación como en la instalación de centros de producción o logística de grandes compañías farmacéuticas y biotecnológicas.

En cuanto a los tratamientos, Madrid se sitúa como la segunda comunidad con más solicitudes de terapias avanzadas, solo por detrás de Cataluña. Cuenta, además, con una red



hospitalaria muy potente, en la que muchos centros están vinculados a institutos de investigación.

También dispone de una importante red de centros de investigación, tanto del CSIC como de las universidades, que desempeñan, a nuestro entender, una labor muy destacable. En el informe que hemos elaborado en la FGCSIC hemos tratado de identificar fortalezas, pero también áreas de mejora. Entre ellas, podríamos destacar la necesidad de impulsar más el emprendimiento en torno a estas terapias, fomentando la creación de nuevas empresas, así como mejorar las sinergias entre los centros de investigación (universitarios y del CSIC) y la red hospitalaria. Potenciar estas conexiones permitiría avanzar aún más rápidamente en la aplicación de estos tratamientos innovadores.

-Y a nivel europeo, ¿cómo está nuestro país en este sentido, si lo comparamos con el resto de Europa?

A nivel mundial, en el ámbito de la investigación en terapias avanzadas, España estaría aproximadamente en el décimo puesto en lo que respecta

a la producción científica, pero si lo ponemos en relación con el PIB, diversos estudios colocan a nuestro país en una destacable quinta posición, por delante incluso de Reino Unido, Corea del Sur e Italia.

Dentro de Europa, España ocupa una posición destacada en este ámbito de las terapias avanzadas, sobre todo en lo que respecta a la realización de ensayos clínicos. De hecho, somos uno de los países con mayor número de ensayos activos, lo cual refleja cierta capacidad del sistema para integrar investigación e innovación en contextos hospitalarios.

-¿Cuáles son las técnicas y terapias avanzadas más relevantes que ya se están desarrollando en la Comunidad de Madrid y qué entidades lideran estas investigaciones?

En la Comunidad de Madrid ya hay terapias avanzadas en uso clínico que, aunque suenan a ciencia del futuro, son hoy una realidad gracias a años de investigación pública en hospitales y universidades. Podemos destacar tres ejemplos especialmente representativos.

La primera es Alofisel, una terapia celular desarrollada en

colaboración entre la Universidad Autónoma de Madrid (UAM) y el CSIC. Está dirigida al tratamiento de fístulas perianales complejas en pacientes con enfermedad de Crohn, un tipo de complicación muy dolorosa y difícil de tratar. Alofisel utiliza células madre con propiedades antiinflamatorias para favorecer la curación del tejido dañado.

El segundo caso es NC1, una terapia pionera del Hospital Puerta de Hierro de Majadahonda para tratar lesiones medulares traumáticas crónicas. Utiliza células madre del propio paciente, que se extraen de la médula ósea, se cultivan en el laboratorio del hospital y se reimplantan en la zona dañada. Aunque no cura la lesión, en algunos casos hay mejoras en sensibilidad o movilidad.

El tercer ejemplo es Celyvir, desarrollado en el Hospital Infantil Niño Jesús. En este caso, las células madre se usan como vehículo para transportar un virus modificado que ataca exclusivamente a las células cancerosas. Esta estrategia, que comenzó a aplicarse en 2005, ha dado resultados prometedores, especialmente en pacientes pediátricos con cáncer que

no respondían a otras terapias. **-Las terapias avanzadas requieren una gran inversión en I+D. ¿Cómo se presenta el futuro en este sentido?**

Las terapias avanzadas representan una de las áreas más prometedoras en la medicina actual, ofreciendo soluciones esperanzadoras para enfermedades complejas y, en muchos casos, sin opciones terapéuticas previas. Sin embargo, su desarrollo y aplicación requieren inversiones significativas en investigación y desarrollo (I+D), lo que plantea desafíos y oportunidades para el futuro.

Es necesario poseer un ecosistema muy maduro, que integre una legislación que asegure, por un lado la agilidad en la implantación de las terapias, pero sin comprometer la seguridad de los pacientes.

Los costes de desarrollo e incluso los costes finales de los tratamientos son a veces muy elevados, por lo que desde su origen hay que hacer apuestas: por la viabilidad, la aplicabilidad, la cobertura... Es un tema muy complejo, desde luego.

En España, la inversión en I+D ha alcanzado cifras récord, reflejando el compromiso creciente con la innovación científica y tecnológica. No obstante, persisten desafíos para mejorar la posición del país en índices globales de innovación, lo que subraya la necesidad de aplicar eficazmente la excelente ciencia producida.

La colaboración entre el sector académico y empresarial es esencial para avanzar en estos campos, destacando la importancia de aprovechar el talento local y fomentar una mentalidad innovadora. Además, la complejidad organizativa y la inversión que requieren las terapias avanzadas exigen nuevos modelos de gestión sanitaria. Es fundamental desarrollar estrategias que permitan una inversión continuada y sostenible en el tiempo, evitando interrupciones en proyectos y fomentando la innovación y el desarrollo de nuevas terapias.

Como un gran aprendizaje de nuestro informe, creo que el futuro de la inversión en I+D para terapias avanzadas en España dependerá de la capacidad para mantener y aumentar el compromiso financiero, fomentar la colaboración público-privada y ser capaces de desarrollar modelos de gestión que faciliten la innovación continua en el sector sanitario.