

Medicina regenerativa

¿Presente o futuro?

presentaci3n

La medicina regenerativa, aquella que quiere recuperar funciones perdidas de 3rganos y tejidos, ofrece hoy en d3a un amplio abanico de l3neas de investigaci3n de cara a futuras terapias. Y no solo despierta inter3s en el 3mbito de la investigaci3n cient3fica, sino que tambi3n los medios de comunicaci3n hablan de ella y alimentan las esperanzas puestas en este tipo de terapias. En los 3ltimos veinte a3os, la medicina regenerativa ha avanzado a una velocidad asombrosa, pero todav3a queda mucho camino por recorrer. Esta Opini3n Quiral muestra qu3 tenemos en el presente y qu3 veremos en el futuro en este 3mbito.

debate

El encuentro empez3 con la introducci3n sobre medicina regenerativa y la pregunta «¿Presente o futuro?» de la mano de Antoni Vila Casas, presidente de la Fundaci3n Vila Casas. A pesar de los asombrosos avances que se han conseguido recientemente, el Sr. Vila Casas remarc3 que faltan resultados concluyentes y la concreci3n de las normas 3ticas sobre su aplicaci3n por parte de las agencias de evaluaci3n.

El debate sigui3 con la intervenci3n de Anna Veiga, doctora en ciencias biol3gicas y directora del Banco de L3neas Celulares del Centro de Medicina Regenerativa de Barcelona (CMR[B]). Veiga empez3 retratando la situaci3n de lo que se est3 investigando a d3a de hoy con las c3lulas madre pluripotentes, es decir, aquellas que se

pueden convertir en cualquier c3lula de un individuo. Estas c3lulas se utilizan en el laboratorio, por una parte, para entender el funcionamiento y las diferencias entre c3lulas y como modelo para el estudio de enfermedades, y por otra, para utilizarlas en terapia humana, sustituyendo las c3lulas que han dejado de funcionar por otras nuevas que restituyan su funci3n. En este 3ltimo sentido, los ensayos cl3nicos con c3lulas madre embrionarias justo acaban de comenzar. De momento se trabaja con pacientes con degeneraci3n macular, es decir, con la retina da3ada. Se investiga la retina porque es un 3rgano poco complejo, de estructura plana, muy accesible y que presenta un grado de rechazo bajo. El primer estudio realizado, publicado en *The Lancet*, demostr3 que el tratamiento con c3lulas madre pluripotentes embrionarias no ten3a efectos adversos remarcables. Despu3s de la retina, lo m3s probable es que se experimente con c3lulas madre en el campo de las enfermedades cardiovasculares.

Anna Veiga tambi3n coment3 que «los centros de investigaci3n est3n intentando acercarse a los grupos cl3nicos, y aunque el di3logo entre ambos ahora es mucho m3s fluido que hace unos cuantos a3os, se tiene que incentivar a3n m3s la colaboraci3n entre ellos». Veiga ilustra este acercamiento con el movimiento «from bench to bed», que en ingl3s significa «de la poyata del laboratorio a la cama del hospital».

Joan Garc3a L3pez, doctor en medicina y director de XCellia del Banco de Sangre y Tejidos, se centr3 en las c3lulas madre adultas y coment3 que, en este caso, s3 que se tiene m3s experiencia en terapia y que los ensayos cl3nicos se hallan m3s avanzados que los de c3lulas embrionarias. Seg3n Garc3a L3pez, «se est3 intentando cambiar el paradigma del tratamiento de enfermedades: se quiere pasar de la sustituci3n a la regeneraci3n. A trav3s de la investigaci3n con c3lulas madre adultas y de la informaci3n de los progenitores, se pueden tratar diversas patolog3as con un margen de seguridad razonable». Garc3a asegur3 que «estamos sentando las bases para que estas terapias sean una realidad en el futuro».

Garc3a tambi3n habl3 sobre la legislaci3n en este campo. Explic3 que en 2008 se cre3 una legislaci3n europea-ame-

Con la colaboraci3n:

rica al ver que los conocimientos derivados de la investigación con células madre podían llegar a generar terapias de manipulación celular. García prevé la aparición de este tipo de productos con interés terapéutico, los llamados «medicamentos celulares», en unos cinco años porque a día de hoy ya se están desarrollando en los laboratorios. Enlazó este tema con la inversión en investigación haciendo hincapié en que los fondos tendrían que ser tanto públicos como privados. Hizo una comparativa entre la situación en Estados Unidos y Europa, señalando que en América, el 90% de la inversión proviene de financiación privada, mientras que en Europa, la gran mayoría es de capital público.

«Antes de 2012, España era el país con más ensayos de las llamadas “terapias avanzadas” en el mundo, un 95% de los cuales estaban financiados públicamente», prosigue García, «pero esta situación ha cambiado recientemente, y ahora se corre el riesgo de alimentar la investigación básica pero sin que esto desemboque en nuevas patentes y, por lo tanto, genere poco valor económico para revertir en la economía del país. España es un país con una amplia tradición en el campo de las terapias avanzadas, pero sin patentes. En otras palabras, cuesta que estas terapias lleguen a los pacientes. Para contrarrestar este fenómeno, en julio de 2014 se aprobó el Real Decreto 477 para regular la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial».¹

Una vez concluidas estas exposiciones, llegó la ronda de preguntas de los asistentes. Primero intervinieron las cinco periodistas de la sala. Carmen Fernández, de *Diario Médico*, puso la investigación dentro del contexto económico actual y habló del coste que tienen estas nuevas terapias. Expresó sus dudas acerca de que el sistema público pueda asumir estos costes y propuso un acuerdo entre este y el sector privado para que los medicamentos puedan llegar al mercado más fácilmente. «No solo se tiene

Se está intentando cambiar el paradigma del tratamiento de enfermedades: se quiere pasar de la sustitución a la regeneración

que invertir en estas tecnologías, sino que tenemos que asegurarnos de que una vez desarrolladas, los pacientes puedan acceder a ellas», concluye.

Milagros Pérez Oliva, periodista de *El País*, comentó que la sanidad pública tendría que adaptarse a estas nuevas terapias teniendo en cuenta el incremento exponencial del

precio de las mismas. Además, quiso saber acerca de las diferencias entre los dos tipos de células madre y cuáles serían sus respectivas posibilidades. En respuesta, Anna Veiga explicó que «las células madre adultas sirven sobre todo para terapias autólogas, es decir, de un paciente para sí mismo, por lo que el riesgo de rechazo o tumor es muy bajo. Las células madre pluripotentes, por otra parte, se pueden convertir en cualquier célula y servirían para cualquier individuo».

Marta Ciércoles, del periódico *Avui*, planteó la posibilidad de trabajar con células madre del cordón umbilical y preguntó sus beneficios frente a las de la médula ósea. A modo de respuesta, Anna Veiga y Joan García explicaron que la ventaja de las células del cordón umbilical es que hay bancos de sangre de cordón que son más compatibles y tienen una eficacia contrastada en aplicaciones concretas. Se han dado casos en que se ha eliminado el VIH gracias a las células madre de cordón, pero «no debemos fantasear con la idea de que nuestro propio cordón nos curará», opina Veiga, «es preferible que haya bancos de sangre públicos y bien abastecidos».

La periodista Àngels Gallardo, de *El Periódico de Catalunya*, opinó que los resultados de la investigación son lentos por culpa de la mala situación económica y se planteó si en España estamos perdiendo la posibilidad de desarrollar medicina regenerativa puntera por falta de recursos económicos. Gema Revuelta, profesora del Departamento de Células Experimentales y de la Salud de la Universitat Pompeu Fabra y subdirectora del Observatorio de la Comunicación Científica de la misma universidad, respondió a esta intervención puntualizando que «la investigación con células madre embrionarias no va lenta, al contrario, es precisamente el campo de la medicina que más ha crecido en toda la historia. Avanza muy rápido, pero no

¹ Según el Real Decreto, se entiende como medicamento de «terapia avanzada» cualquiera de los siguientes: a) medicamento de terapia génica; b) medicamento de terapia celular somática; c) producto de ingeniería tisular, y d) medicamento combinado de terapia avanzada (<http://www.boe.es/boe/dias/2014/06/14/pdfs/BOE-A-2014-6277.pdf>).

al ritmo que todos deseáramos, ya que aún no tenemos terapias consolidadas con células embrionarias».

Finalmente, Ana Macpherson, de *La Vanguardia*, expuso su inquietud respecto a la necesidad de saltarse etapas de la investigación para ser más competitivos. Según la periodista, «acelerar la investigación para conseguir resultados en el menor tiempo posible puede llevar a “camino sin salida”, por lo que la investigación básica siempre es preferible a una situación en que las prisas obliguen a saltarse etapas de la investigación». Anna Veiga respondió que «para trabajar con células madre se tiene que demostrar una base científica, así que no hay peligro de encontrarse con “camino sin salida” ya que solo si el balance entre riesgo y beneficio es favorable (y después de recibir el visto-bueno de un comité ético) se puede tirar adelante la investigación con células madre». Veiga opinó que «es vital que los gobernantes vean la importancia de estas terapias para conseguir recursos públicos». García añadió que «lo deseable sería la colaboración entre el sector público y el privado para que todos los pacientes tuvieran acceso a los medicamentos. La regulación en este campo es muy estricta y, por lo tanto, se puede transmitir un mensaje de tranquilidad en cuanto a la seguridad de la investigación».

Cuando el turno de preguntas pasó al resto de los asistentes, Ernest Giralt, del Instituto de Investigación Biomédica (IRB Barcelona), preguntó acerca de las terapias génicas y su relación con la medicina regenerativa. Veiga respondió que «ambas terapias combinadas pueden dar resultados muy positivos, sobre todo porque estas dos áreas han avanzado muchísimo en los últimos años y se tienen herramientas muy precisas». García añadió que «los medicamentos de terapia génica son instrumentos para conseguir los objetivos de la medicina regenerativa: reconstruir la función de órganos y tejidos».

Jordi Masià concluyó la ronda de intervenciones introduciendo el tema de la esquizofrenia, y quiso saber si hay posibilidades de que se pueda tratar esta enfermedad con terapia génica en el futuro. Veiga respondió que este

ámbito de la medicina avanza tan rápido, que está segura de que en poco tiempo habrá aproximaciones para muchas patologías diferentes.

conclusiones

La medicina regenerativa investiga la creación y reconstrucción de tejidos y órganos con la finalidad de tratar enfermedades. Se basa en la regeneración celular a partir de células madre (o bien embrionarias, o bien inducidas a partir de células diferenciadas adultas o iPS). Su fundamento es el cambio de paradigma: de la sustitución a la regeneración.

Por una parte, las células madre embrionarias han empezado a ser utilizadas en ensayos clínicos. Los primeros ensayos se han dirigido al tratamiento de la degeneración macular, una de las principales causas de ceguera en el mundo. Se han publicado buenos resultados de un ensayo clínico en fase I/II. En esta fase aún es pronto para afirmaciones sólidas sobre la capacidad curativa de la técnica (porque lo que estudia esta fase es la seguridad y tolerabilidad y porque se incluyen muy pocos pacientes). Sin embargo, es de destacar que la mitad de los 18 pacientes incluidos en el estudio (publicado en octubre de 2014 en *The Lancet*) mejoraron su visión.

Por otra parte, se está investigando intensivamente con iPS. Las células madre mesenquimales autólogas (por ejemplo, a partir de la médula ósea o del tejido adiposo del propio paciente) tienen capacidad para dar lugar a algunos tipos de células y se están utilizando también en múltiples ensayos clínicos. En

este momento existen unos 500 ensayos clínicos activos con células mesenquimales, 50 de ellos en España. No obstante, dada la complejidad de sus fases (las cuales se pueden prolongar hasta 10 años), cuesta mucho que lleguen a extenderse a gran número de pacientes.

En junio de 2014 se aprobó un Real Decreto para regular la aplicación de terapias avanzadas de producción no industrial. Con esta regulación se podría lograr una mayor

La regulación en este campo es muy estricta y, por lo tanto, se puede transmitir un mensaje de tranquilidad en cuanto a la seguridad de la investigación

colaboración entre los resultados de laboratorio y el posible beneficio para el paciente.

En la actualidad se está invirtiendo en medicina regenerativa y terapias avanzadas unos 20.000 millones de dólares anuales, lo que supone un incremento de un 25% anual. En EE.UU., el 90% de la financiación proviene de aportaciones privadas, mientras que esta cifra supone en Europa solo el 50%. Es inviable que el sector público financie estudios a partir de Fase II, por lo que es necesario conseguir mayor financiación privada.

Con la finalidad de promover la investigación en terapia celular y trasladar sus avances al Sistema Nacional de Salud, en 2003 se creó *La Red de Terapia Celular (TerCel)*, la cual, con un enfoque multidisciplinar, está integrada por investigadores que trabajan en España y promueve la cooperación entre ellos, tanto de investigación básica como clínica.

El Proyecto Quiral es fruto de la colaboración entre la Fundación Vila Casas y el Observatorio de la Comunicación Científica, de la Universidad Pompeu Fabra.

Ponentes: Joan Garcia López (director de Xcelia, Terapias Avanzadas del Banco de Sangre y Tejidos [BST]) y Anna Veiga (directora del Banco de Líneas Celulares del CMR [B])

Fundació Vila Casas: Antoni Vila Casas, Miquel Vilardell Tarrés, Jordi Vilaseca y M. José Alcoriza

OCC-UPF: Vladimir de Semir, Gema Revuelta de la Poza y Núria Saladié

Periodistas: Marta Ciércoles (*Avui*), Carmen Fernández (*Diario Médico*), Àngels Gallardo (*El Periódico de Catalunya*), Ana Macpherson Mayol (*La Vanguardia*) y Milagros Pérez Oliva (*El País*)

Han participado en el debate: Felipe Alonso Marcos (OCC-UPF), Pilar Ariza Cardenal (Hospital Clínic de Barcelona), Joan Albert Arnaiz (Servicio de Farmacología del Hospital Clínic), Oriol Cabré (Unidad de Genética del Departamento de Genética y Microbiología de la Facultad de Biociencias. Edificio Cn-UAB), Núria Carrera Torres (Hospital Clínic de Barcelona), Roser Monforte (Hospital Clínic de Barcelona), Nieves Casarelo Santamaría (Hospital Clínic de Barcelona), Ernest Giralt (Institute for Research in Biomedicine, IRB Barcelona-PCB), Jordi Masià, Jaume Piulat (Real Academia de Farmacia de Cataluña), Ramon Puigderriols (Almirall Prodesfarma), Ferrán Sabaté (Facultad de Medicina de Barcelona-UB) y Oriol Valls Planells (Colegio Oficial de Farmacéuticos de Barcelona)

Coordinación: M. José Alcoriza

(Debate celebrado en Barcelona el 25 de noviembre de 2014)

Opinión Quiral. Con la voluntad de profundizar en el tema tratado en el Informe Quiral, la Fundación Vila Casas organiza dos veces al año y con temas distintos un debate abierto en el que representantes del mundo sanitario, periodistas y público en general intercambian

opiniones y extraen conclusiones. Con ello, la Fundación Vila Casas pretende contribuir a la formación de buenos criterios sanitarios que redunden en beneficio de la sociedad. Con estas conclusiones la Fundación Vila Casas edita la **Opinión Quiral**.



FUNDACIÓ VILA CASAS

Oficines

Carrer Ausiàs Marc, 20, pral.
08010 Barcelona
Tel. 93 481 79 80

fundacio@fundaciovilacasas.com
www.fundaciovilacasas.com

Espai Volart / Volart 2

Carrer Ausiàs Marc, 22
08010 Barcelona
Tel. 93 481 79 85

espaiolart@fundaciovilacasas.com

Can Framis

Carrer Roc Boronat, 116-126
08018 Barcelona
Tel. 93 320 87 36

canframis@fundaciovilacasas.com

Can Mario

Plaça Can Mario, 7
17200 Palafrugell (Girona)
Tel. 972 306 246

canmario@fundaciovilacasas.com

Palau Solterra

Carrer de l'Església, 10
17257 Torroella de Montgrí (Girona)
Tel. 972 761 976

palausolterra@fundaciovilacasas.com

Próximo coloquio abierto **Opinión Quiral:**

Tema: **Aspectos prácticos de la medicina regenerativa, estado actual**

Fecha: 10 de marzo de 2015

Más información: www.fundaciovilacasas.com

Hora: 10h a 12h

Lugar: Ausiàs Marc, 22 Pl. baja

Aforo limitado

Tel. 93 481 79 80

Año 2014 Número 35.1

Publica: Fundació Vila Casas
Observatori de la Comunicació Científica (OCC, UPF)

© Fundació Vila Casas, 2014

Edición: Rubes Editorial
Diseño gráfico: www.anaclapes.com

ISSN: 2013-486X
Depósito legal: B-7834-2009