

# ESCLEROSIS MÚLTIPLE

La enfermedad  
de las mil caras

*Los pacientes  
impulsan un  
nuevo modelo  
de investigación*

■ POR JUAN CARLOS ESTEBAN\*

**C**asi 150 profesionales, representantes de empresas de biotecnología, laboratorios de investigación, fundaciones y asociaciones de pacientes se reunieron recientemente en el Parque Científico de Barcelona para explorar un nuevo modelo de colaboración entre la industria biomédica y los pacientes. Este modelo, ya introducido en Cataluña por la Fundación GAEM (Grupo de Afectados de Esclerosis Múltiple) se está desarrollando con fuerza en países líderes en investigación, como Estados Unidos. La colaboración afectados-industria, además de empoderar a los pacientes y hacerles pasar a un rol activo, presenta numerosas ventajas para la industria y los investigadores.

## ACELERACIÓN DE LA INVESTIGACIÓN

Por un lado, la implicación activa de los pacientes permite detectar necesidades reales no cubiertas y acelerar los procesos de investigación. Por otra parte, para los investigadores y la industria es de mucha utilidad conocer y compartir de primera mano la problemática y el día a día de los usuarios finales de los

tratamientos. “Pacientes e industria deben relacionarse”, es la opinión de Melqui Calzado, secretario general de la patronal de biomedicina CataloniaBio. Por su parte, Marta Príncipe, CEO de la Fundación GAEM, señaló que “el futuro de la investigación está en el desarrollo de nuevos modelos de investigación colaborativa industria-pacientes”.

Tal como expresó Luis Ruiz Ávila, CEO de Spherium Biomed: “la industria puede encontrar en las fundaciones de pacientes clientes y experiencia, validación conceptual, financiación inteligente, capacidad prescriptora y acceso a pacientes”. En estas conclusiones estuvieron de acuerdo la Fundación Pasqual Maragall (alzheimer), la Fundación Josep Carreras (leucemia) y la Fundación Richi (cáncer infantil).

## FUNDACIÓN GAEM

En el caso concreto de la esclerosis múltiple, sus afectados llevan tiempo con ese tipo de planteamiento, como lo demuestra la actividad de la Fundación GAEM, fundada en 2006 y muy activa en la aceleración de proyectos de investigación.

Se abarcan fármacos innovadores y terapias avanzadas; nuevos biomarcadores para el diagnóstico; dispositivos médicos y apps de salud que mejoren la calidad de vida.

En biomedicina, la creación de nuevas terapias o medicamentos, biomarcadores y dispositivos médicos implica un proceso de investigación y desarrollo (I+D)



■ JUAN CARLOS ESTEBAN\*  
Periodista y asesor de comunicación. Secretario de la Asociación de Comunicadores de Biotecnología

muy largo y costoso en el que muy pocos productos llegan al paciente. El objetivo principal es acortar sensiblemente el tiempo de llegada al paciente.

La aceleradora de proyectos en esclerosis múltiple, un modelo único en Europa entre las entidades que dan soporte a los afectados, agiliza y disminuye el riesgo de la transferencia de potenciales productos y tecnologías innovadoras de la academia a empresas, y de éstas a la sociedad.

## ESCLEROSIS MÚLTIPLE

La esclerosis múltiple es una enfermedad en la que nuestro propio sistema inmunitario ataca el sistema nervioso, degradando la capa de mielina que recubre los nervios y anulando su correcto funcionamiento.

La mielina es una membrana grasa que aísla cada nervio en el cerebro y la médula espinal como una funda de plástico alrededor de un cable eléctrico. Esta es la envoltura protectora que garantiza la transmisión normal de los mensajes nerviosos de una parte del cuerpo a otra. Al degradarse, el nervio queda expuesto y deja de funcionar adecuadamente.

Los ataques de la esclerosis múltiple se van produciendo a lo largo del tiempo, afectando a diferentes partes del sistema nervioso de manera aleatoria (motora, sensorial, lingüística, etc.) y generando síntomas diferentes en cada paciente, de ahí el sobrenombre de “la enfermedad de las mil caras”.

A pesar de no seguir un patrón idéntico en todos los pacientes, la degradación es irreversible en el 100% de los casos y la mayoría de los pacientes de esclerosis múltiple acaban sus días en una silla de ruedas. Actualmente, después de los accidentes de tráfico, la esclerosis múltiple es la segunda causa de discapacidad en adultos jóvenes.

## TRATAMIENTOS

Actualmente, todos los tratamientos que hay en el mercado se basan en la inmunomodulación. Estos se sustentan en la base de que disminuyendo la actividad del sistema inmunitario, responsable de la destrucción de la mielina, se reducirá el avance de la enfermedad. Sin embargo, aunque los brotes de la enfermedad se reduzcan o se espacien en el tiempo, y/o sean de menor intensidad, la realidad es que siguen produciéndose, y el daño sigue acumulándose



### Jornadas de trabajo de las fundaciones de pacientes y biomedicina.

a largo plazo provocando graves secuelas irreversibles, y los pacientes acaban desarrollando todos los síntomas aunque en un plazo de tiempo más largo. Una segunda aproximación es la neuroprotección, basada en la promoción de la supervivencia neuronal y en la prevención de la neurodegeneración. Esto es conocido dentro de la neurología como el Santo grial, ya que un fármaco neuroprotector, además de ser útil en la esclerosis múltiple, también lo sería en cualquier enfermedad neurodegenerativa, con el impacto que ello supondría. Estamos hablando de enfermedades como el Alzheimer, Parkinson, Glaucoma, ELA... Actualmente no hay ningún fármaco con esta actividad en el mercado.

Otra aproximación que genera muchas esperanzas es la regeneración de la capa de mielina, o remielinización.

Actualmente, el posible tratamiento más prometedor para la esclerosis múltiple se está enfocando a la Neuritis Óptica Aguda (NOA), que suele ser la primera manifestación. Los pacientes con NOA sufren de dolor en el ojo y pérdida de visión, pudiendo ser esta parcial (un punto negro en el centro del campo de visión) o total.

La principal razón para iniciar los estudios en este subgrupo de la esclerosis múltiple es que se ha conseguido que se designe la NOA como enfermedad huérfana (dolencia con una incidencia menor de 5 por 10.000 habitantes y sin tratamiento alguno) y esto hace que los trámites legales se reduzcan enormemente y se permita alargar la patente hasta 5 años suplementarios.

Desgraciadamente este tipo de enfermedades suelen ser olvidadas por las grandes farmacéuticas ya

Es una de las enfermedades neurológicas más comunes entre la población de 20 a 30 años





que tienen un mercado objetivo reducido. Por este motivo, las agencias del medicamento como la FDA de Estados Unidos o la EMA en Europa, han creado incentivos regulatorios y fiscales para promover la investigación y la inversión en estas patologías.

### MERCADO POTENCIAL

Pero la esclerosis múltiple afecta a 2,5 millones de personas en todo el mundo, con un coste anual de unos 43.000 dólares por paciente. En España hay 47.000 afectados, y unos 600.000 en el resto de Europa. Se calcula que el mercado para un fármaco regenerativo crónico sería de unos 1.200 millones de dólares.

En España  
hay 47.000  
afectados y  
unos 600.000  
en el resto  
de Europa

La esclerosis múltiple es una enfermedad crónica del sistema nervioso central. Está presente en todo el mundo y es una de las enfermedades neurológicas más comunes entre la población de 20 a 30 años. Puede producir síntomas como fatiga, falta de equilibrio, dolor, alteraciones visuales y cognitivas, dificultades del habla, temblor, etc.

El curso de la esclerosis múltiple no se puede pronosticar, es una enfermedad caprichosa que puede variar mucho de una persona a otra. No es contagiosa, ni hereditaria, ni mortal. Afecta a las personas al principio de su vida laboral, cuando están iniciando sus proyectos vitales, y se da con más frecuencia (más del doble) en mujeres que en hombres. Hasta ahora, no se conoce su causa ni su cura.

### TIPOS DE ESCLEROSIS MÚLTIPLE

**Forma remitente-recurrente:** Es el tipo más frecuente y afecta a más del 80% de las personas con esclerosis múltiple. En las fases iniciales puede no haber síntomas, a veces incluso durante varios años. Sin embargo, las lesiones inflamatorias en el sistema nervioso central ya se están produciendo, aunque no lleguen a dar lugar a síntomas. Los brotes son imprevisibles y pueden aparecer síntomas en cualquier momento –nuevos o ya conocidos– que duran algunos días o semanas y luego desaparecen de nuevo. Entre las recidivas no parece haber progresión de la esclerosis múltiple.

Otros tipos de esclerosis múltiple son: forma progresiva secundaria; forma progresiva primaria; forma progresiva recidivante. ■

