

ELENA MOREJÓN, DIRECTORA MÉDICA DE LA UNIDAD DE INMUNOLOGÍA Y ENFERMEDADES RARAS DE GSK

“EN EL ÁREA DE ENFERMEDADES POCO FRECUENTES EXISTE UNA GRAN NECESIDAD DE OFRECER TERAPIAS SATISFACTORIAS”



GSK cuenta con una unidad especializada en la investigación, desarrollo y comercialización de medicamentos destinados a combatir enfermedades poco frecuentes centrada, en la actualidad, en el estudio de 200 enfermedades.



Las enfermedades poco frecuentes (más de 5.500 identificadas) tienen una baja prevalencia (<5 casos/10.000 personas en la Unión Europea) y representan una amenaza para la vida de los pacientes o limitan su calidad de una manera crónica y discapacitante en muchos casos. Un número significativo de dichas enfermedades afecta a la población pediátrica y su pronóstico vital. Pero, en su conjunto, suponen un problema sanitario de gran magnitud, ya que están presentes en el 6-8% de la población mundial y se calcula que solamente un 10% de los pacientes recibe algún tipo de tratamiento.

Con la intención de ofrecer soluciones ante esta problemática, y tal y como señala la Doctora **Elena Morejón**, *directora médica de la Unidad de Inmunología y Enfermedades Raras de GSK en España*, "En GSK hemos apostado por investigar en un área donde existe una gran necesidad de ofrecer terapias satisfactorias que ayuden a mejorar el manejo, la calidad de vida y el pronóstico de estas enfermedades. Además, en la actualidad, con los avances científicos, especialmente en el campo de la genética, somos capaces de identificar qué enfermedades poco frecuentes tienen más probabilidades de responder a la intervención terapéutica".

La "aventura" de esta compañía farmacéutica en el terreno de la investigación en tratamientos eficaces para enfermedades poco frecuentes comienza en la década de los 80 y, desde entonces, GSK lleva poniendo a disposición de médicos y pacientes medicamentos para los que investiga en las diferentes sedes de la compañía en distintos países, aunque, como reconoce la Dra. Morejón, "GSK España ha participado activamente en el desarrollo clínico de algunos medicamentos para estas enfermedades".

Colaboración con compañías e instituciones externas especializadas

Hace cinco años, GSK creó una nueva unidad especializada en la investigación, desarrollo y comercialización de medicamentos destinados a combatir enfermedades poco frecuentes y el objetivo de dicha unidad está centrado en unas 200 de ellas. "La selección de patologías está basada en su prevalencia y gravedad, el potencial para encontrar una terapia que ayude en el manejo de la enfermedad y sus complicaciones e incluso que pueda suponer la curación, el conocimiento de las bases moleculares de la patología y la disponibilidad de biomarcadores subrogados u otros parámetros que ayuden en el diagnóstico y manejo de la enfermedad", detalla la directora médica de la Unidad de Inmunología y Enfermedades Raras de GSK en España.

Por tanto, dicha unidad no está centrada en un área terapéutica específica sino que desde aquí se investiga, por ejemplo, en terapias génicas como son la Inmunodeficiencia combinada grave por déficit de adenosina desaminasa, la leucodistrofia metacromática, el Síndrome de Wiskott-Aldrich o la Mucopolisacaridosis tipo 1. Además de lo anterior, también existe una línea centrada en la investigación de trastornos neuromusculares como la polineuropatía amiloide familiar y la esclerosis lateral amiotrófica y se trabaja, asimismo, en el estudio de alteraciones metabólicas como la Amiloidosis sistémica, la hipertensión arterial pulmonar y otras enfermedades como la Granulomatosis eosinofílica con poliangeitis. En la mayoría de los casos –explica la Dra. Elena Mo-

rejón- este trabajo que realizan los investigadores se lleva a cabo mediante alianzas y acuerdos de colaboración con otras compañías o instituciones externas especializadas en estos campos. El fruto de este esfuerzo investigador de la compañía en esta área de las enfermedades poco frecuentes son los medicamentos que GSK comercializa. Actualmente, en España, GSK dispone de dos medicamentos comercializados para tratar la hipertensión arterial pulmonar (epoprostenol y ambrisentan) pero son muchos más los tratamientos que la farmacéutica tiene en distintas fases de desarrollo, "desde aquellos que están en fase muy temprana (pre-clínica) hasta otros en proceso de evaluación por las autoridades sanitarias", apunta la responsable médica de GSK.

Acceso a las nuevas terapias

En general, los profesionales que manejan estas enfermedades poco frecuentes, acorde con el grado de especialización requerida, suelen disponer de información científica, Consensos y Guías actualizadas sobre el manejo de las mismas y los tratamientos disponibles. Sin embargo, de cara al futuro, GSK quiere seguir demostrando su compromiso con la clase médica, los pacientes y con la sociedad con la comercialización de nuevos productos para estas enfermedades poco frecuentes. "Así lo demuestran los años de experiencia invirtiendo en esta área, la creación de una unidad específica a nivel mundial hace cinco años, las colaboraciones y alianzas externas con compañías e instituciones especializadas y nuestro interés en aportar avances significativos en este campo", resume la doctora. +

"Solamente un 10% de quienes padecen alguna enfermedad poco frecuente recibe algún tipo de tratamiento"

ELENA MOREJÓN

