

Avances de la investigación en EB. ¿Qué hay de nuevo, viejo?

Resumen de la presentación realizada por nuestro colaborador incondicional Ander Izeta sobre el estado de la investigación sobre EB en el mundo.

Ander Izeta, Instituto Investigación Sanitaria Biodonostia, Hospital Universitario Donostia, San Sebastián.

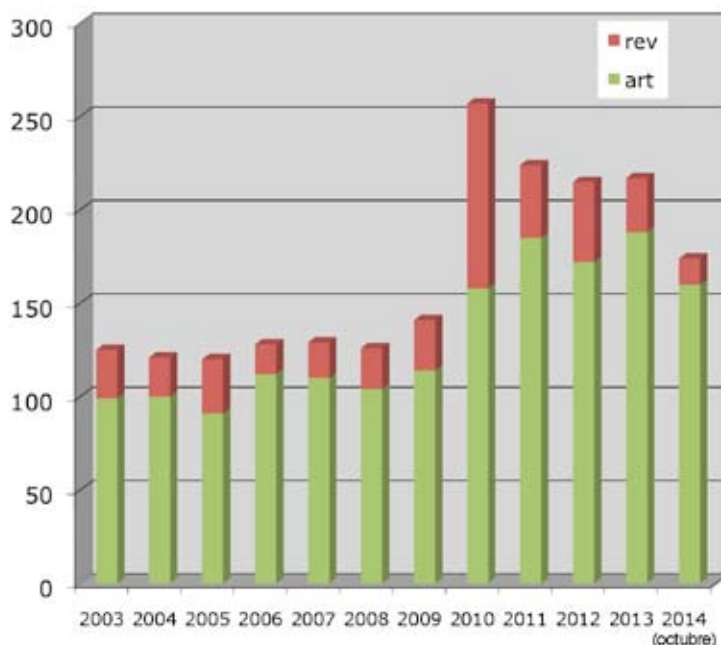
Un año más fue un auténtico placer para mí encontrarme con vosotros en el XXII Encuentro Nacional EB-Piel de Mariposa, que además este año coincidió con el Día Internacional de la Piel de Mariposa. Ese día "llevé alas", y me emocioné no sólo en la Puerta del Sol sino también en el hotel, como todos los años, por vuestro esfuerzo, tesón y sobretodo por la calidad humana tan especial que se respira en este Encuentro. Muchas gracias por ser como sois.

Investigar sobre EB está de moda

Afortunadamente, aunque me equivoqué de hotel y llegué tarde y acelerado, me dio tiempo de contaros que los grandes esfuerzos dedicados a la investigación en EB indican que ésta no sólo disfruta de buena salud, sino que además está de moda. Sí, sí, de moda. Como muestra la Figura 1, hemos pasado de una media de 104 artículos originales y 22 revisiones por año (en el periodo 2003-2009) a la media actual de 175 artículos originales y 52 revisiones por año (en el periodo 2010-2013). Es decir, siendo la EB una enfermedad rara es sin duda una de las más estudiadas, y esto es algo que debemos poner en valor en estos tiempos de crisis económica, no sólo aquí sino también en los países que lideran la investigación biomédica a nivel global. Los motivos de este aumento de la investigación tan notable (un 68%) son difíciles de dilucidar, pero seguro que tenéis algo que ver vosotros, los pacientes y sus familiares y cuidadores, por supuesto DEBRA, y su incesante labor de comunicación a los gestores, los científicos y a la sociedad en general de los abundantes problemas no resueltos. ¡Bien hecho!

En segundo lugar, destaca también un gran aumento en el número de potenciales terapias actualmente en desarrollo, que se pueden consultar por ejemplo en la base de datos del NIH (gobierno americano)

Figura 1



que está alojada en la página web www.clinicaltrials.gov (Figura 2). Ahí podéis ver que el número de ensayos clínicos prácticamente se ha triplicado desde 2012, algo fuera de lo normal. Como sabéis muy bien, la investigación clínica es un proceso largo (unos 15 años de media), costoso y no exento de riesgos, pero de tanta semilla que se está sembrando, alguna tendrá que dar su fruto. Así que por ahí vamos bien. Pero hasta aquí las buenas noticias: un problema que se detecta ya en esta misma base de datos es que **varios de estos estudios han terminado prematuramente por insuficiente reclutamiento de pacientes** o que ha habido pérdidas al seguimiento (en otras palabras, pacientes incluidos en estos ensayos han dejado de acudir a las citas médicas, perdiéndose información potencialmente muy valiosa). Es por tanto un mensaje importante a transmitir que hay que implicarse en la investigación y comprometerse con completar el seguimiento establecido en los protocolos clínicos, ya que sin vuestro compromiso e implicación no va a cambiar nada. Es más, **empresas, inversores y otros promotores de ensayos clínicos pueden desanimarse si perciben que es muy difícil conseguir la evidencia científica de la eficacia y seguridad de una potencial nueva terapia**. Por lo tanto, animaros a participar en todo lo que os sintáis con fuerza y aportar vuestro granito de arena.

Terapias avanzadas: celular y génica

En la charla hicimos un repaso del estado de los principales ensayos clínicos en terapias avanzadas (celular y génica) que os describió también perfectamente la Dra. Del Río en su ponencia y en su artículo para este número de la revista. Así que aprovecho el espacio restante para describir dos estudios terminados relacionados con terapias más "clásicas", uno de ellos con buenos resultados y otro con resultados malos.

El primero fue un estudio Fase II realizado en 2009-2010 en Chicago (código NCT00825565), donde se estudió la aplicación diaria de una pomada con un 3% de alantoína (Alwextin) por todo el cuerpo. Aunque sólo se incluyeron 8 pacientes, el estudio mostró resultados prometedores en la reducción de ampollas y erosiones cutáneas (de un 57 a un 25% del área corporal total). Cuando midieron una herida concreta y se propusieron detectar si había curado a las 12 semanas de aplicación, 7/8 habían curado. Estos resultados deben ser tomados con mucha precaución porque son muy pocos pacientes y además no han sido publicados en la literatura científica, lo cual validaría su seriedad. Pero son ciertamente interesantes.

El segundo estudio, también Fase II aunque en este caso claramente fallido (y por tanto, seguramente nunca será publicado; se puede ver los resultados en esta base de datos con el código NCT00311766), incluyó a 30 pacientes y fue promovido por la empresa RegeneRx Biopharmaceuticals. Esta empresa analizó la aplicación tópica de un gel con timosina beta 4 durante 56 días en comparación a placebo. Los resultados fueron que 5/8 pacientes que se pusieron una pomada sin principio activo alguno (eso es el placebo) mejoraron sus heridas, y en cambio en el grupo de timosina beta 4 sólo lo hicieron 8/22. Un fracaso, vaya.

En resumen: vamos avanzando, pero despacio. Un pasito para adelante, un pasito para atrás. Mucho ánimo, cuidaos mucho y os deseo un fenomenal año 2015 lleno de nuevas y prometedoras terapias. Seguiremos informando.

Agradecimiento

Desde DEBRA España queremos agradecer al Dr. Ander Izeta el tiempo y el cariño que nos dedica siempre desinteresadamente y robándosele a su propio tiempo personal.

El número de ensayos clínicos prácticamente se ha triplicado desde 2012.

Figura II

2012

2014

