



Madrid, lunes 23 de febrero de 2015

El CSIC descubre un medicamento contra una enfermedad rara

- **Los investigadores observan que un fármaco para la osteoporosis es eficaz contra una enfermedad hemorrágica**
- **La Agencia Europea del Medicamento ha distinguido el hallazgo con la designación de medicamento huérfano, que autoriza a hacer ensayos clínicos para su comercialización**

Un equipo de investigadores del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) ha descubierto que el medicamento acetato de bazedoxifeno, empleado para la osteoporosis, es útil para tratar una enfermedad rara, la telangiectasia hemorrágica hereditaria, que causa sangrados que deterioran la calidad de vida de los pacientes.

Este hallazgo ha sido distinguido por la Agencia Europea del Medicamento con la designación de medicamento huérfano, que es aquel que trata enfermedades de muy baja incidencia (llamadas raras o minoritarias, que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas) y que no suele contar con inversión de la industria farmacéutica por ser poco rentable. La designación autoriza la realización de un ensayo clínico para poder comercializarlo.

La Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria (síndrome de Rendu-Osler-Weber, o HHT, por sus siglas en inglés) es una enfermedad rara con una prevalencia media de 2 cada 10.000 personas en la Unión Europea. “Es una enfermedad genética que causa sangrados nasales frecuentes y manchas de color rojo en la cara, las manos y la boca. También provoca sangrados en órganos internos, como el pulmón, el cerebro, el hígado y la médula espinal”, señala la investigadora del CSIC Luisa María Botella, del Centro de Investigaciones Biológicas, quien ha dirigido el estudio.

“Esta enfermedad puede ser mortal, pero además sus síntomas deterioran la calidad de vida de los afectados, ya que, debido a la profusión de hemorragias, son frecuentes la anemia y la necesidad de transfusiones sanguíneas, sobre todo a partir de los 40 años”, añade. La Agencia indica que la HHT es una enfermedad que debilita a largo plazo y que puede suponer un riesgo mortal si se producen complicaciones, como sangrados internos y alteraciones en el cerebro, el hígado y los pulmones.

Dada la baja prevalencia de las enfermedades raras y la sintomatología particular de cada una, en general no existen remedios terapéuticos para tratarlas. Además, a la

industria farmacéutica no le resulta rentable invertir en ensayos de medicamentos para enfermedades de baja incidencia. Por ello, desde un punto de vista farmacológico, las patologías raras son “huérfanas”.

Existen dos tipos de medicamentos huérfanos: los de nueva creación, específicamente diseñados para tratar una dolencia rara, y aquellos ya empleados en el tratamiento de otra patología y que, tras el preceptivo ensayo clínico, se revelan útiles contra alguna de estas enfermedades. Este tipo de fármaco, que se conoce como uso huérfano o segundo uso de un medicamento, es precisamente el que ha licitado el CSIC.

Esta designación europea es la segunda que consigue este grupo de trabajo del CSIC (la primera fue en el año 2010). Estos dos fármacos son los únicos medicamentos huérfanos reconocidos por la Agencia para esta enfermedad.

El hallazgo es fruto de una investigación conjunta del grupo del Centro de Investigaciones Biológicas (CIB), del CSIC, y médicos del Hospital de Sierrallana (Cantabria). La investigación ha contado con la ayuda del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), la Asociación HHT España, la Fundación HERES y el Ministerio de Ciencia e Innovación.