Entrevista: Graeme Bilbe, Director Global de Neurociencia de Novartis

HDBuzz entrevista a Graeme Bilbe, Director de Neurociencia de la farmacéutica Novartis, sobre su investigación en EH

Por Professor Ed Wild | **19 de agosto de 2011** | **Editado por Dr Jeff Carroll**

Traducido por Asunción Martínez | **Publicado originalmente el 14 de marzo de 2011**

Una de las compañías farmacéuticas más grandes, Novartis, ha estado trabajando en nuevos tratamientos para la EH durante los últimos cinco años. HDBuzz entrevista a Graeme Bilbe, Director Global de Neurociencia de Novartis, para conocer sus progresos.

A las compañías farmacéuticas no les interesa el Huntington, ¿no es así?

Si le preguntan a cualquier investigador con qué frecuencia asisten a una reunión sobre la enfermedad de Huntington se darán cuenta del espíritu general de la comunidad Huntington y de su espíritu único de cooperación y colaboración y de la estrecha relación existente entre las familias Huntington y los médicos y científicos que trabajan para encontrar tratamientos.

Graeme Bilbe, Director Global en Neurociencia de Novartis

Pero la implicación de la industria farmacéutica en la investigación de la EH ha sido históricamente más bien pobre. Las compañías farmaceúticas tienen fama de interesarse sobre todo por enfermedades más frecuentes que puedan ser más lucrativas. Incluso hay

un nombre (“enfermedades huérfanas”) para describir las enfermedades poco frecuentes que no interesan a las compañías farmaceúticas pues no son rentables.

Durante los últimos años esta situación ha empezado a cambiar en la EH. Las compañías farmacéuticas se están interesando cada vez más en la enfermedad de Huntington y algunas están empezando a dedicar bastantes recursos para desarrollar tratamientos. Una de estas compañías es Novartis - la quinta compañía farmacéutica más grande en el mundo y de acuerdo con los que están dentro de la industria, la mejor en el desarrollo de nuevos fármacos. Hace ahora cinco años que Novartis ha dedicado un equipo de científicos para que trabaje en la EH y como veremos han realizado impresionantes avances.

En la reciente Reunión de la CHDI sobre tratamientos en la EH en Palm Springs, HDBuzz se entrevistó con el Director internacional de Novartis en Neurociencia, el Dr. Graeme Bilbe, para averiguar en qué consiste el programa de investigación de Novartis EH.

¿Por qué está trabajando Novartis en EH?

Empezamos preguntando a Bilbe por qué Novartis empezó a interesarse por la investigación en la EH, cuando parece más sensato trabajar en otras enfermedades neurológicas más frecuentes. Nos dijo que las enfermedades neuro-degenerativas como la EH y el Alzheimer, “son crónicas, lentas y son realmente duras”, lo que las convierte en enfermedades caras de estudiar y difíciles de tratar. Además, la mayoría de estas enfermedades se padecen al azar: “no sabemos con certeza quiénes son los pacientes que vamos a tratar” por lo que desarrollar fármacos que prevengan la enfermedad es más complicado. Después de intentarlo durante mucho tiempo, la industria farmaceútica tiene la sensación de que trabajar con enfermedades neuro-degenerativas es muy frustrante, con millones de personas afectas y muy pocos logros.

La EH es diferente, dice Bilbe, porque sabemos exactamente cuál es la mutación genética que causa la EH, “creemos que podemos vencer las estadísticas. Sabemos quienes son los pacientes y eso hace que sea mucho m´s predecible todo el proceso de desarrollo de fármacos y de cómo poner a prueba el medicamento y en qué pacientes debería funcionar.

La ventaja para Novartis de trabajar en la EH no consiste sólo en conocer el defecto genético. "Entender una enfermedad consiste en conocer los mecanismos biológicos de dicha enfermedad” dice Bilbe, cuya filosofía es muy simple cuando se trata del desarrollo de fármacos. “Nuestra estrategia para abordar una enfermedad Gen-Forma de actuación-Paciente”. Conocemos el gen -seguimos estudiando cómo funciona exactamente, queremos conocer sus formas de actuación, sus mecanismos de acción-, cómo daña la célula y después el organismo". A partir de ahí, los investigadores pueden identificar los “objetivos” más prometedores - es decir qué fármacos son capaces de modificar cada uno de los pasos desde el gen al individuomucho.

> **«Tenemos tres enfoques y espero que uno de ellos nos lleve a un ensayo clínico**

> **este año. »**

Los programas de Novartis para la EH

Para ser más específicos, le preguntamos a Bilbe qué objetivos considera Novartis como los más prometedores. “Creemos que la enfermedad es debida a la acumulación de la proteína mutada”, contestó, “por lo que la forma más directa de afrontar la enfermedad es con un fármaco que elimine la proteína”. Su equipo está centrado en desarrollar fármacos que aumenten la capacidad natural de las células para eliminar las proteínas dañinas.

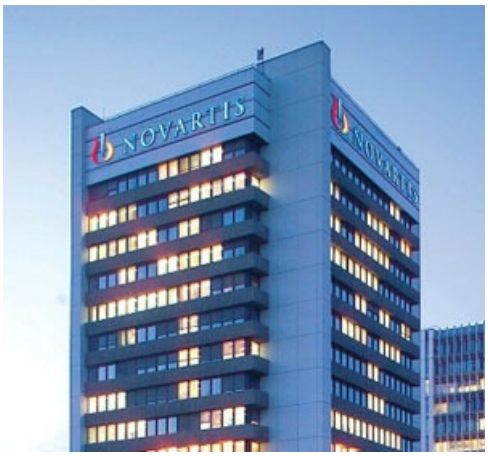
¿Cuáles son los resultados de Novartis después de cinco años? “En este momento estamos probando nuestro fármaco "AFQO56” para los movimientos en la EH. Para los tratamientos que enlentecen la enfermedad tenemos tres enfoques distintos", ha declarado, “y espero que uno de esos enfoques sea probado en un ensayo clínico. Por lo que en lo referente al desarrollo de fármacos estamos muy esperanzados en tener un fármacos que pueda ser probado en pacientes dentro de cinco años”.

Puede que cinco años parezca un largo período de tiempo, pero según la experiencia de Bilbe en el desarrollo de nuevos fármacos, es muy rápido. Ha declarado: “Para conseguir un tratamiento eficaz, normalmente has de emplear 10 años o más. Lleva mucho tiempo hacerlo. Requiere perseverancia y una visión amplia. Es todavía muy pronto pero tenemos esperanza”.

El desarrollo de nuevos tratamientos tampoco es barato y una de las mayores contribuciones que la industria farmacéutica puede hacer a una comunidad de enfermos es la gran inversión inicial precisa para que los tratamientos sean una realidad. “En el dearrollo de fármacos estamos hablando de una inversión de un billón de dólares antes de encontrar un fármaco que realmente llegue a las farmacias”.

¿Por qué el desarrollo de fármacos es tan difícil?

Dice Bilbe que el proceso es tan caro por lo que él llama “attrition”. Esto significa que la gran mayoría de las ideas que parecen prometedoras en un primer momento no conllevan a un fármaco eficaz. “Puede que empecemos con diez mil ideas y probablemente cien de ellas saldrán adelante. A la hora de realizar ensayos clínicos, esas cien ideas se deberían haber traducido en cien fármacos, pero no - normalmente sólo tienes dos o tres fármacos, de los cuales puede que uno llegue al mercado. Cada éxito ha de pagar todos los fracasos.”



Central de Novartis en Basel, Suiza

Imagen por: Novartis

¿Por qué fracasan tantas buenas ideas? Hay muchas cosas que pueden fallar, dice Bilbe, porque las enfermedades como el Huntington son muy complejas. A veces un objetivo prometedor se convierte en un candidato pero no tan importante como se pensó en un principio. Algunos objetivos resultan imposibles de ser "alcanzados" con fármacos, aunque se intente con todas las fuerzas. A veces los fármacos son eficaces en el laboratorio pero sorprendentemente tienen una eficacia muy discreta cuando se prueba en animales o humanos, ya sea porque no actúan o porque produzcan efectos secundarios. "Estas tasas de deserción están cambiando a medida que se va mejorando nuestro trabajo", dice Bilbe, gracias a los nuevos enfoques, como el modelo "Gen, Vía, Paciente".

Novartis y la comunidad EH

Teniendo en cuenta la cantidad de inversión necesaria, uno podría imaginar que Novartis trabaja en solitario, pero nada más lejos de la realidad. El equipo de Bilbe reconoce el gran progreso realizado por la comunidad académica investigadora global en la EH y que la colaboración con los expertos es fundamental para Novartis en su acercamiento a la EH. "Estamos intentando trabajar con los principales grupos de investigación académica en el mundo", dijo. Relaciones como esta entre los investigadores académicos y de la industria son esenciales en el descubrimiento de nuevos fármacos.

La colaboración funciona en ambos sentidos, y Novartis ya ha prometido compartir uno de sus éxitos más importantes con toda la comunidad EH - una prueba de laboratorio que permite medir por primera vez los niveles de la proteína huntingtina mutada directamente. Bilbe no exagera cuando describe la prueba como "un hito en este negocio", porque sabiendo la cantidad de proteína dañina que queda es esencial para cuantificar el éxito de los tratamientos para eliminarla.

Pensando en la comunidad Huntington, hemos querido aprovechar la experiencia de Bilbe en el desarrollo exitoso de fármacos para preguntarle cómo pensaba que los pacientes con EH y sus familias pueden ayudar al desarrollo de tratamientos. "Tenemos que concienciarles de que realmente tenemos posibilidades viables de encontrar la cura de

esta enfermedad", respondió. "La comunidad tiene que estar preparada para que algunos fármacos resulten decepcionantes, algunos serán "quizás" y uno o dos de ellos podrían llegar a ser algo eficaz. Tenemos que ser realistas. Vamos a tener retos en el desarrollo clínico de cualquier fármaco. Sin esas decepciones no vamos a aprender".

El futuro

A pesar de su realismo puro y duro, Bilbe sigue siendo optimista sobre las posibilidades de los investigadores de la EH tanto investigadores básicos como de la industria para encontrar tratamientos eficaces para mejorar la calidad de vida de las personas afectas con EH. "Tenemos que escalar grandes montañas", admite, "y probablemente vamos a tener traspiés en el camino. Para ser optimistas, primero tenemos que ser realistas, y así tendremos opciones. Cuando siendo realistas tengamos opciones, tendremos esperanzas de éxito".

Los autores no tienen ningún conflicto de intereses que declarar Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes

---

GLOSARIO

Proteína huntingtina Proteína producida por el gen de la EH

Ensayo clínico Experimentos muy bien planeados diseñados para responder determinadas preguntas sobre cómo afecta un fármaco a humanos

eficacia Una medida de si un tratamiento funciona o no

© HDBuzz 2011-2024. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una Licencia Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported.
HDBuzz no proporciona consejo médico. Para más información visite hdbuzz.net
Generado el 15 de enero de 2024 — Descargado desde https://es.hdbuzz.net/022

Algunas partes de esta página todavía no han sido traducidas. Se muestran a continuación en el idioma original. Estamos trabajando para traducirlo todo lo antes posible.