

Madrid, lunes 28 de febrero de 2011

## **El medicamento huérfano del CSIC, a un paso del ensayo clínico**

- **El raloxifeno, un fármaco contra la osteoporosis, también es efectivo contra una enfermedad rara**
- **La telangiectasia hemorrágica hereditaria afecta a uno de cada 8.000 habitantes en el mundo**

Hoy se celebra el Día Mundial de las Enfermedades Raras. Estas dolencias se caracterizan por tener una incidencia muy baja, inferior a cinco afectados por cada 10.000 personas. Debido a ello, el desarrollo de fármacos que alivien estas afecciones se dificultan a causa de la falta de incentivos económicos para empresas y centros de investigación. No obstante, el Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) avanza en su empeño de aliviar la telangiectasia hemorrágica hereditaria (HHT). El CSIC, junto al Instituto de Formación e Investigación Marqués de Valdecilla y la farmacéutica Lilly, están desarrollando el plan para someter el fármaco, raloxifeno, al proceso de ensayo clínico.

Para que este medicamento pueda llegar a la sociedad, debe ser previamente sometido al proceso en el que se evalúen sus efectos sobre los pacientes. Los centros responsables de su desarrollo están actualmente inmersos en la propuesta del ensayo clínico, que está siendo asesorada por la Agencia Europea del Medicamento. La participación del CSIC en el desarrollo de este fármaco supone la primera inclusión de institutos públicos españoles en la designación de un fármaco huérfano.

Para poder poner en marcha este ensayo clínico y contar con el máximo de apoyos posible, se está en pleno proceso de presentación de la propuesta de proyecto de ensayo clínico para el Programa Intramuros CAIBER 2010, de la Plataforma Española de Ensayos Clínicos, dependiente del Instituto de Salud Carlos III. El proyecto ha sido admitido a trámite para la siguiente fase de evaluación científica, que tendrá lugar a partir del 9 de marzo.

El raloxifeno es un fármaco contra la osteoporosis asociada a la menopausia. No obstante, su composición ha demostrado ser efectiva para combatir la HHT. Tanto en Europa como en Estados Unidos, el medicamento ha recibido la designación de huérfano para la HHT. Esta catalogación concede una serie de beneficios para el diagnóstico, la prevención o el tratamiento de una enfermedad rara.

Además, los investigadores están trabajando en la puesta a punto de un nuevo método para el diagnóstico de esta enfermedad. Este método, patentado por el CSIC y el Ciberer, permite diagnosticar la HHT y diferenciar los distintos subtipos de la enfermedad, de forma fiable, rápida y económica, sin la necesidad del coste y del tiempo que implican las técnicas actualmente utilizadas. El siguiente paso es encontrar empresas de diagnóstico interesadas en su comercialización.

La HHT es una enfermedad rara que, según los cálculos, afecta a unos 8.000 españoles. Esta dolencia se caracteriza por fuertes hemorragias nasales que aumentan con la edad. Sus síntomas reducen sensiblemente la calidad de vida ya que están asociados a la anemia y a la necesidad de transfusiones sanguíneas, sobre todo a partir de los 40 años, y puede llegar a ser mortal.