

Recordati refuerza su compromiso con las enfermedades raras

En el universo de la innovación biomédica, donde las prioridades suelen estar marcadas por la prevalencia y el retorno inmediato, hay compañías que apuestan por avanzar hacia lo difícil, lo desconocido, lo urgente.

Es el caso de Recordati Rare Diseases, una división del grupo farmacéutico internacional Recordati, cuya actividad se centra en la investigación, desarrollo y comercialización de terapias para enfermedades raras. Bajo el liderazgo de Juan Vila, European Regional Head – North, East & Iberia, esta compañía representa un ejemplo de compromiso sostenido con una causa que afecta a millones de personas en todo el mundo, muchas de las cuales aún esperan una solución médica.

La dimensión del reto es considerable. Se estima que existen cerca de 7.000 enfermedades raras en el mundo, aunque solo un pequeño porcentaje de ellas cuenta con un tratamiento aprobado. “Actualmente, en España hay 87 tratamientos comercializados para estas patologías. Apenas cubrimos el 1 %”, advierte Vila. En ese escenario, Recordati Rare Diseases ha logrado posicionarse como un agente relevante gracias a su trabajo en tres grandes áreas terapéuticas: oncología, endocrinología y enfermedades metabólicas.

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS, NECESIDADES URGENTES

El enfoque de la compañía se articula en torno al desarrollo de medicamentos huérfanos, productos destinados a tratar patologías que afectan a un número muy limitado de pacientes. Estos tratamientos, por su complejidad y baja rentabilidad, no suelen ser abordados por la industria en general. Sin embargo, la legislación europea facilita ciertos incentivos regulatorios que permiten avanzar en su investigación y aprobación. “Con estas medidas conseguimos que los laboratorios nos animemos a investigar estas enfermedades y se consigan medicamentos novedosos para este tipo de patologías”, explica el Dr. Vila.

Actualmente, Recordati Rare Diseases dispone de 15 tratamientos aprobados que cubren 27 enfermedades poco frecuentes. Algunas de estas patologías incluyen la enfermedad de Castleman, un trastorno linfoproliferativo infrecuente; el neuroblastoma, tumor sólido pediátrico de mal pronóstico; el carcinoma renal avanzado, dentro del grupo de tumores huérfanos; así

como trastornos endocrinos como la acromegalia y el síndrome de Cushing, ambos causados por desequilibrios hormonales severos que requieren un abordaje altamente especializado.

No obstante, los desafíos trascienden el plano científico. Las dificultades de diagnóstico, la escasa población afectada y la falta de conocimiento clínico hacen que cada paso en este ámbito sea una conquista colectiva. “En la investigación en enfermedades raras, todos tenemos que arrimar el hombro”, subraya el directivo.

En España solo existe tratamiento para un 5% de los pacientes con enfermedades raras, lo que evidencia la necesidad de reforzar la colaboración entre instituciones públicas, pacientes e industria farmacéutica

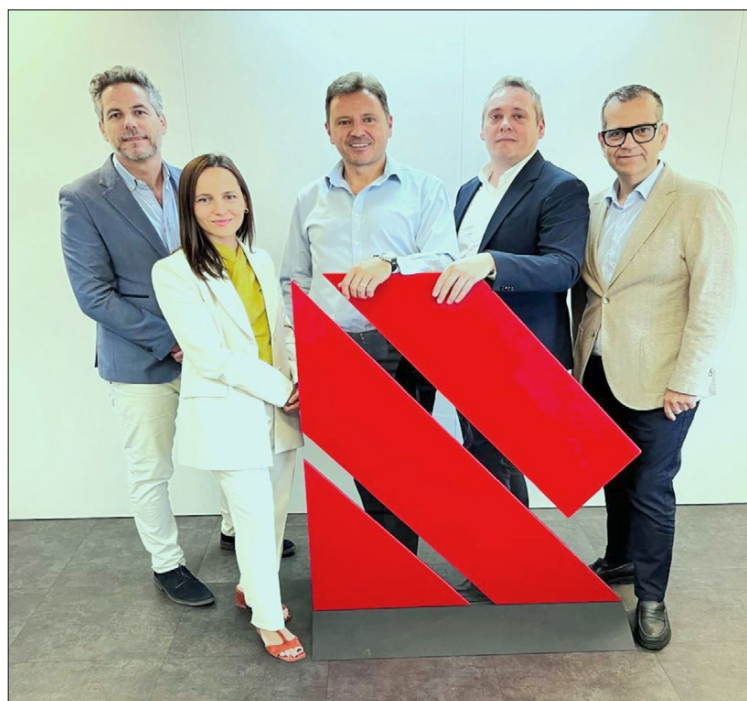
COOPERACIÓN ESTRATÉGICA Y CAPITAL HUMANO

El trabajo de Recordati Rare Diseases no se entiende sin la cooperación multidisciplinar entre profesionales de distintas áreas. En este sentido, destaca el papel de Sergio López, Franchise Head Oncology; Antonio Muñoz, Medical Manager Oncology; Celia Pérez, Medical Manager Endocrinology & Metabolics; y Pablo Barbero, Head of Strategic Business Operations, External Affairs & Communication. Todos ellos forman parte de un equipo que entiende que el avance médico en enfermedades minoritarias requiere una estrategia integral, donde la investigación clínica, el acceso al tratamiento y la comunicación con las autoridades sanitarias sean engranajes perfectamente sincronizados.

Precisamente, uno de los grandes retos en España es el retraso en la aprobación y financiación de nuevos fármacos. Según datos de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), la demora media es de 23 meses desde la solicitud hasta la disponibilidad efectiva. “Se hacen grandes esfuerzos entre el Ministerio y los laboratorios, pero los tiempos se



Juan Vila, European Regional Head – North, East & Iberia de Recordati Rare Diseases



De izq. a der.: Pablo Barbero, Celia Pérez, Juan Vila, Antonio Muñoz y Sergio López

demoran más de lo deseable”, afirma el Dr. Vila. Una de las posibles soluciones, en su opinión, pasa por reforzar los recursos técnicos y presupuestarios del sistema sanitario: “Estamos casi un punto porcentual por debajo de la media europea de inversión sanitaria”.

AVANCES CONCRETOS, ESPERANZA REAL

Entre los casos de éxito de la compañía se encuentra el desarro-

llo del único tratamiento aprobado en España para el déficit de N-acetilglutamato sintetasa (NAGS), una enfermedad que puede causar daños neuronales irreversibles desde los primeros días de vida. También ha impulsado soluciones para patologías como la acromegalia, provocada por una sobreproducción de la hormona de crecimiento en adultos, y que puede generar serias complicaciones si no se diagnostica a tiempo. “Es la enfermedad en la que te

crece la talla de zapato”, señala Vila con una claridad pedagógica que también ilustra la complejidad de su identificación.

La apuesta de Recordati Rare Diseases va más allá del presente. Uno de sus grandes proyectos consiste en aplicar los principios de la medicina de precisión a enfermedades raras, reduciendo el ensayo y error en los tratamientos. “Hasta ahora se había empleado la fórmula del café para todos”, explica el directivo. Hoy, gracias a la identificación de biomarcadores específicos, se abre la posibilidad de asignar el tratamiento más eficaz desde el principio, mejorando los resultados clínicos y acortando los tiempos de sufrimiento.

Además, Recordati Rare Diseases ha desarrollado y lanzado un medicamento huérfano con un plan de desarrollo completo para el síndrome de Cushing, una enfermedad minoritaria, grave y debilitante, causada por una exposición crónica a niveles excesivos de cortisol.

RECONOCIMIENTO AL COMPROMISO

La trayectoria de la compañía ha sido recientemente reconocida con el galardón a la “Multinacional del Año en el Sector Farmacéutico” en los Premios Multinacional del diario La Razón. Durante el acto, el Dr. Vila recordó que “hay más de 7.000 enfermedades raras que pueden afectar al 6-8 % de la población española, y solo disponemos de tratamiento para ese 5 % de la población”. Un dato que resume la magnitud del desafío, pero también la responsabilidad de todos los actores implicados.

El compromiso de Recordati Rare Diseases con las enfermedades raras es parte de un esfuerzo global y sostenido. Desde su sede en España, Portugal y otros países europeos, la compañía promueve una filosofía en la que la innovación biomédica no se mide únicamente en cifras, sino también en impacto humano. “Una farmacéutica sola no puede dar solución a todas las enfermedades raras”, afirma Vila. Pero cuando cada actor –autoridades, investigadores, pacientes y empresas– cumple su parte, el progreso se convierte en una posibilidad real.

La compañía seguirá explorando nuevos territorios terapéuticos, fiel a una misión que no deja a nadie atrás. Como concluye Vila: “Lo que tenemos que conseguir es que, entre todas las farmacéuticas, cubramos todas las áreas terapéuticas, y lo conseguiremos si hay iniciativas y compromiso por todas las partes”.