La biotecnología, clave en la medicina del futuro

La biotecnología está marcando un antes y un después en el avance de algunos tratamientos, sobre todo los relacionados con las enfermedades genéticas o autoinmunes. Gracias al potencial de la biología molecular y de la genética humana se ha podido analizar el origen de muchas enfermedades y ha sido posible descubrir y desarrollar terapias innovadoras que están mejorado la vida de los pacientes.

Cada ser humano, comenzando por uno mismo, es una secuencia de ADN, que es la molécula que almacena toda la información genética que conforma a un ser vivo y está “escrita” con una combinación de cuatro moléculas que se representan con las letras: G, A, T, C. Cada uno de nosotros está configurado con 3.200 millones de estas letras.

Pues bien, el orden en el que se disponen estos cuatro elementos básicos forma los diferentes genes y cada gen contiene las instrucciones necesarias para formar una proteína específica. Los genes de una célula específica pueden estar activos o inactivos, dependiendo de la función y las necesidades de dicha célula. Una vez que se activa un gen, la información que contiene se utiliza para sintetizar o expresar la proteína a la cual codifica. **Muchas enfermedades se deben a genes activados o desactivados incorrectamente.**

Convencidos de que la cura a las enfermedades se encuentra dentro de cada uno de nosotros, **los fundadores de la biotecnológica Amgen aprovecharon este conocimiento de la biología molecular para diferenciarse de otras compañías farmacéuticas.** Decidieron, en un primer momento, centrar sus esfuerzos en analizar las complejidades de las enfermedades y comprender mejor su origen para, posteriormente, descubrir terapias innovadoras que pudieran mejorar la vida de los pacientes. Todo ello gracias a un uso innovador de la biotecnología.

En la actualidad, Amgen está a la vanguardia de los tratamientos biológicos más punteros. Con una ciencia de máximo nivel y una tecnología de última generación, aprovecha el enorme potencial de la biología molecular y la genética humana avanzada para estudiar miles de millones de compuestos biológicos, con el objetivo de descubrir terapias que están cambiando el curso de algunas de las enfermedades más graves o dan respuesta a necesidades de tratamiento no cubiertas en áreas como la oncología, la hematología, la cardiología, la nefrología, las enfermedades cardiovasculares, las inflamatorias y el metabolismo óseo.

Los fármacos biológicos

El 30 % de los fármacos de nuestro sistema sanitario ya son biológicos, y a pesar de que algunos de ellos, como la insulina y algunas vacunas, se utilizan desde hace varias décadas, son todavía grandes desconocidos para la población general. **Los medicamentos biológicos son moléculas similares o idénticas a las proteínas y otras sustancias complejas de las que depende nuestro cuerpo para mantenerse sano.** Se producen en líneas celulares vivas cultivadas en biorreactores y adquieren la modalidad de proteínas recombinantes terapéuticas, anticuerpos monoclonales y proteínas de fusión, entre otras modalidades.

Los fármacos biológicos son demasiado grandes y complejos para elaborarse por métodos exclusivamente químicos. En concreto, son de 200 a 1000 veces el tamaño de un medicamento de síntesis química (como comprimidos o cápsulas) y altamente sensibles. Esto hace que sus procesos de caracterización y fabricación sean complejos. Además, deben inyectarse o infundirse en el organismo para evitar que su compleja estructura se degrade durante la digestión, lo que ocurriría si se administraran por vía oral.

Aplicando el poder de las ciencias ómicas a la I + D

En las últimas décadas, los avances tecnológicos han transformado también la investigación científica mediante el estudio a gran escala de muchos genes, proteínas y metabolitos, permitiendo la creación de la genómica (ciencia que estudia el genoma o ADN), la proteómica (encargada de estudiar las proteínas presentes en una muestra), la metabolómica (tecnología que determina los cambios globales en la concentración de los metabolitos presentes en un fluido, tejido u organismo en respuesta a una variación genética, a un estímulo fisiológico o patológico), la transcriptómica (ciencia que estudia la expresión de los transcritos que provienen de diferentes genes) y la epigenómica (conjunto de procesos por medio de los cuales se regula la transcripción de los genes sin afectar la secuencia del ADN). Cada una de estas ciencias ómicas ha ayudado a un mejor entendimiento del origen de ciertas enfermedades.

En este contexto, **Amgen lleva años aplicando las ciencias ómicas a su I+D.** En su esfuerzo por transformar la forma en que se descubren y desarrollan los medicamentos, sus científicos han descubierto factores genéticos esenciales que subyacen a docenas de enfermedades cardiovasculares y a diversos tipos de cáncer, gracias a la contribución de su subsidiaria deCODE Genetics, líder mundial en investigación genética, que publicó en 2019 el mapa más preciso del genoma humano.

Amgen utiliza la experiencia única en genética humana de deCODE combinada con su creciente conocimiento en transcriptómica y proteómica de la población para encontrar vínculos significativos entre estos dos conjuntos de datos. El propósito de comprender la genética de la enfermedad es utilizar toda esa información para crear nuevos métodos de diagnóstico, tratamiento y prevención de la enfermedad.

De hecho, estas ciencias y tecnologías ómicas están facilitando a los investigadores un mejor entendimiento sobre la causa de ciertas enfermedades. “Hay suficiente información en bruto en un solo genoma humano para llenar una pequeña biblioteca. Los datos que fluyen de varias ramas de la ómica son como píxeles que se pueden juntar para construir una imagen más nítida de cómo la enfermedad se arraiga y se desarrolla” comenta Fina Lladós, directora general de Amgen para España y Portugal.

Estas tecnologías tienen el potencial de **ofrecer nuevos biomarcadores** para el diagnóstico más temprano de algunas enfermedades y facilita que los ensayos clínicos sean más rápidos y exitosos, al reducir drásticamente su tamaño y duración. Todo ello, está posibilitando que los medicamentos sean aprobados y lleguen mucho antes a los pacientes que los necesitan. Además, con la genética y otros datos humanos, será posible predecir cómo va a evolucionar la enfermedad de un paciente y mejorará la capacidad de prevenir enfermedades antes de que se vuelvan más graves.

Así, las ciencias ómicas van a permitir a Amgen aproximarse a **una medicina cada vez más dirigida**, acorde a la información genética y las características individuales de cada paciente. “Estamos convencidos de que los próximos avances científicos tendrán lugar en el área de las ciencias biológicas mediante el estudio de la genética humana, que ya están demostrando su capacidad para resolver los desafíos más importantes de la humanidad. La genética sigue siendo una de las herramientas más poderosas que podemos aplicar para comprender cómo funciona la naturaleza”, apunta la directora general de Amgen para España y Portugal.

Un cambio radical en el diseño de fármacos

El paradigma que ha gobernado el descubrimiento de fármacos durante las últimas décadas está dando paso a una nueva era de innovación marcada por la aparición de la ingeniería genética, piedra angular de la biotecnología moderna.

En el campo de la oncología, por ejemplo,**la epigenómica es probablemente una de las ciencias ómicas que está jugando un papel más relevante**, debido a la gran cantidad de alteraciones genéticas que presentan los tumores. Los investigadores de Amgen han logrado descubrir un inhibidor efectivo de un subtipo de mutación del gen KRAS, presente en uno de cada ocho nuevos diagnósticos de cáncer de pulmón de células no pequeñas (CPCNP), un tipo de cáncer de pulmón que representa hasta el 85% de los casos, cuyo descubrimiento podría suponer nuevas opciones de tratamiento específicas para este tipo de tumor.

Además, **la ingeniería genética permite a los científicos de Amgen fabricar moléculas complejas**, que serían imposibles de obtener a través de la síntesis química. Mientras los primeros fármacos biotecnológicos, eran versiones modificadas de proteínas humanas, hoy en día ya se pueden diseñar estructuras moleculares complejas gracias al estudio de la maquinaria molecular de las células y al uso de tecnologías sofisticadas.

Un área de investigación en donde se están logrando innovaciones sin precedentes es la inmunooncología, que aprovecha específicamente el poder de las células T, cruciales para el sistema inmune. Amgen investiga desde hace años nuevas vías para combatir el cáncer mediante la inmunoterapia, una nueva clase de terapias biológicas orientadas a aumentar la capacidad del sistema inmunitario para detectar y destruir las células cancerígenas. Es el caso de la innovadora plataforma de tecnología desarrollada por Amgen (BiTE®), un tipo de inmunoterapia que puede ayudar al sistema inmunológico a detectar y atacar solo las células tumorales.

La compañía

[**Amgen**](http://pubads.g.doubleclick.net/gampad/clk?id=5566670088&iu=/21614288668) es la mayor compañía independiente de biotecnología farmacéutica a nivel mundial. Con sede en Thousand Oaks, California (EEUU), nació en 1980 pocos años después de los descubrimientos que dieron lugar a la biotecnología moderna. Fue una de las primeras empresas en darse cuenta de la potencialidad de este nuevo campo y en descubrir y desarrollar tratamientos biológicos.

El trabajo de los más de 23.000 empleados de Amgen repartidos en más de 100 países ha hecho posible que **más de 20 millones de pacientes mejoren su salud y su calidad de vida**. En la actualidad, la compañía cuenta con más de 139 ensayos clínicos internacionales puestos en marcha, imprescindibles para convertir el medio centenar de moléculas en desarrollo en fármacos biológicos eficaces y seguros.

Amgen inició su actividad en España en 1990, con lo que este año está celebrando su 30 aniversario. Con sede en Barcelona, Amgen España es el quinto mercado mundial para la compañía y el tercero en Europa. Comercializa una docena de fármacos innovadores además de 3 biosimilares. La actividad en I+D en España es de las más importantes de la compañía a nivel mundial, con 44 ensayos clínicos en marcha en un amplio espectro de áreas terapéuticas, en colaboración con diversos centros sanitarios del país. La plantilla está formada por más de 340 empleados, de las que más del 60% son mujeres, porcentaje que se sitúa por encima de la media nacional. La directora general, Fina Lladós, es miembro de la iniciativa ‘Mujeres de la Sanidad’.

[www.revistamuyinteresante.com](http://www.revistamuyinteresante.com) vida y salud