

CASTILLA Y LEÓN

NÚMERO 135 / LUNES 25 DE FEBRERO DE 2013

innovadorescyL@elmundo.es

> 'GOOGLE BUSSINES'

**Fotos para  
abrir al mundo  
los negocios  
de León** PÁGINA 3

> **Alberto Orfao**

*Investigación clínica*  
PÁGINA 4

> **Miguel Lacaci**

*Me gusta (si es  
gratis)*  
PÁGINA 5

> **Síguenos en**

Innovadores CyL El Mundo

twitter @InnovadoresCyL



> **Javier López Tazón**

*La formación sí  
que cuenta*  
PÁGINA 8



Los investigadores del IBGM Rebeca Torres, Miguel Ángel de la Fuente, Alejandra Bernardi y María Simarro, en las instalaciones del instituto. / J. M. LOSTAU

## 'Cirujanos' de los genes

> **ENFERMEDAD 'RARA'** / El Instituto de Biología y Genética Molecular de la UVA trabaja en una técnica para tratar el síndrome de Wiskott Aldrich (WAS, una extraña afección que fulmina las plaquetas y provoca múltiples infecciones) que sustituye un gen sano por otro enfermo y evita un efecto secundario habitual: el cáncer. Por **E. Lera**

PÁGINAS 4 Y 5

> **FORO UNIVERSIDADES**

**Técnicas arqueológicas revelan  
la biografía de los edificios**

PÁGINA 7

> **PROYECTO**

**La tecnología 4G pasa de un tipo  
de red a su rival con un 'clic'**

PÁGINA 2

## CRÓNICAS DE LA SALUD

### Investigación clínica

ALBERTO ORFAO

La investigación clínica constituye uno de los pilares de la investigación biomédica. Podríamos decir que dentro de la investigación biomédica, la investigación clínica es aquella que resulta más cercana al enfermo. Habitualmente es el médico quien lidera la investigación clínica, asentándose esta sobre un flujo de investigación bidireccional y complementaria. Por un lado, la investigación parte del problema clínico no resuelto y que plantea hipótesis que la investigación traslacional trata de demostrar fundamentándose en avances de la investigación bá-

sica. Por otra parte, la investigación clínica se nutre de conocimientos y herramientas ya disponibles, para identificar los que podrían potencialmente contribuir a encontrar una solución a los problemas clínico-asistenciales que persisten sin resolver. Aunque habitualmente el investigador clínico se siente más cómodo liderando la investigación que parte del sujeto enfermo, ambas aproximaciones presentan importantes sinergias que incrementan la tasa de éxito de la investigación clínica y acortan sus tiempos.

En periodos de crisis económica, la investigación clínica se ve también mermada significativamente. En ello influyen políticas que abogan por que el médico intensifique su actividad asistencial en detrimento de la formación, la investigación y el tiempo disponible para identificar y contribuir a resolver aquellos aspectos de la práctica asistencial diaria que requieren de investigación, conocimiento e innovación. En los últimos años, se ha intentado cubrir en parte este déficit, mediante la promoción de los ensayos clínicos como modelo que parte del fármaco ya desarrollado, buscando su implementación como nueva herramienta terapéutica. Aunque los ensayos clínicos son en sí mismos un beneficio, estos pueden contribuir también a desenfocar la investigación clínica. De he-



cho, los ensayos clínicos pueden terminar dirigiendo los recursos de la investigación clínica ya de por sí limitados, hacia objetivos marcados por los promotores de los ensayos (por ejemplo, la industria farmacéutica), y la gestión hospitalaria. Para evitar su efecto negativo, es importante que el retor-

no de los ensayos clínicos revierta en la propia investigación clínica, contribuyendo a consolidar programas de intensificación de la actividad investigadora, políticas de formación y redes multicéntricas de investigación temática. Así, lograremos que los ensayos clínicos contribuyan positivamente al desarrollo de la investigación clínica.

Alberto Orfao es director del Banco Nacional de ADN e investigador del CIC

#### > ENFERMEDAD 'RARA'

## Cambio de genes para evitar cáncer

El IBGM halla una técnica para tratar el síndrome de Wiskott Aldrich que sorte el peor efecto secundario: un tumor maligno. Por **E. Lera**

Un camino complicado, silencioso y lleno de obstáculos. Las personas afectadas por una enfermedad rara tienen una dura lucha para que la ciencia se ocupe ellos. Los principales obstáculos a los que se enfrentan son el retraso en el diagnóstico correcto, la falta de conocimiento científico sobre su trastorno, los problemas de integración, las dificultades en el acceso al tratamiento y la escasa calidad de cuidados apropiados.

Por todo ello y por las consecuencias de la propia patología, la vida de estas personas se hace muy cuesta arriba. Una de estas enfermedades poco comunes (4 o 5 casos por cada millón de nacimientos) es el síndrome de Wiskott Aldrich (WAS).

El WAS es una inmunodeficiencia hereditaria que afecta únicamente al sexo masculino, ya que se hereda de forma recesiva ligada al sexo (cromosoma X) y se caracteriza por presentar infecciones recurrentes, eczemas y disminución del número de plaquetas en la sangre. Algunas terapias que lo combaten a veces llevan asociadas efectos secundarios muy nocivos, como la derivación en un tumor.

En este escenario, el grupo de investigación 'Modificación génica dirigida' del Instituto de Biología y Genética Molecular de Valladolid (IBGM) está poniendo a punto una nueva estrategia basada en la terapia génica 'dirigida'. Ésta tratará de corregir el gen enfermo sustituyéndolo por uno en

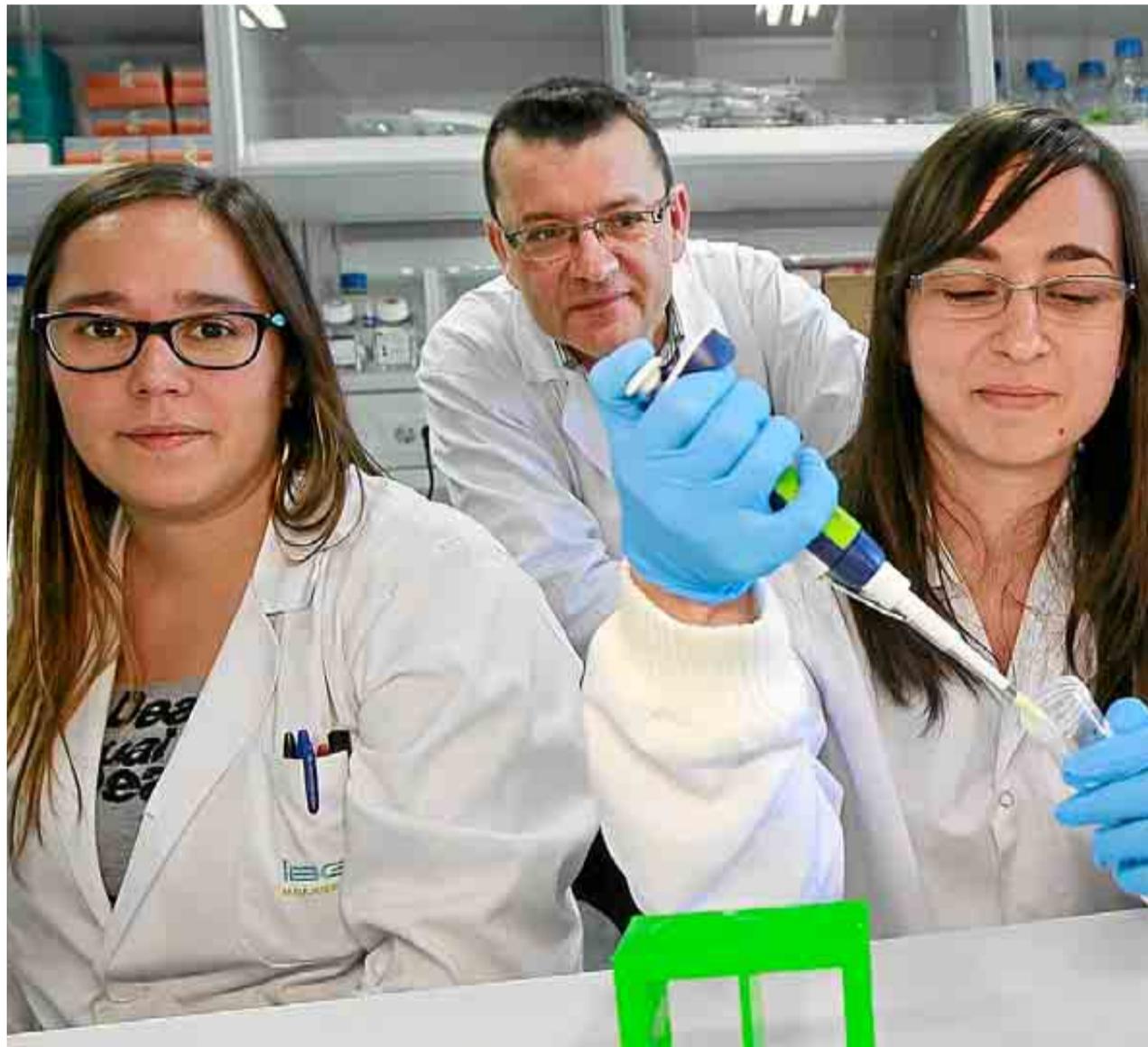
buen estado y así evitar, como ocurría con la anterior técnica, la terapia génica 'aditiva', que se integra al azar y pueda derivar en cancerígeno.

Esta investigación pretende mejorar las opciones actuales. El tratamiento curativo más rápido para esta patología es el trasplante de médula, pero no es fácil ya que hay que encontrar un donante compatible.

Por ello, diferentes expertos han realizado ensayos alternativos basados en lo que se denomina terapia génica 'aditiva': una técnica basada en reponer el gen afectado introduciendo en la célula un virus sano portador de la proteína que falta (WASP) para que ésta se produzca normalmente. Pero el principal problema de este tipo de tratamientos es que el virus se integra al azar, no en un sitio controlado, de forma que en algunos casos la célula puede acabar transformándose en cancerosa.

De ahí la importancia de la investigación del grupo que coordina Miguel Ángel de la Fuente sobre otra terapia, la génica 'dirigida'. «Es la prueba de que esta tecnología puede funcionar para tratar enfermedades genéticas. Aunque de momento son investigaciones básicas, hemos demostrado que los virus adenoasociados [AAV] –un virus inocente que actúa como un transportador– pueden ser útiles en nuestro camino a la curación», afirma De la Fuente.

«En los últimos meses ya hemos



Alejandra Bernardi, Miguel Ángel de la Fuente y María Simarro (d) observan cómo Rebeca Torres realiza pruebas en el laboratorio.

#### P & R

### Plaquetas bajo mínimos

**¿Qué es el síndrome de Wiskott Aldrich (WAS)?**

Es una enfermedad rara que se caracteriza por presentar infecciones recurrentes, eczemas y disminución del número de plaquetas en sangre que provocan mayor tendencia al sangrado.

**¿En qué etapa se detecta la enfermedad?**

En los primeros meses de vida de los bebés.

**¿A quién afecta?**

Solo a los varones, ya que se hereda de forma recesiva ligada al

sexo (al cromosoma X).

**¿A qué porcentaje de población?**

Se da en uno de cada 250.000 nacimientos de varones.

**¿Qué consecuencias tiene?**

La carencia de plaquetas hace que los niños sean más susceptibles a todo tipo de infecciones, ya sean de tipo viral, bacteriano o por hongos, siendo lo más co-

## TENDENCIAS DEL MERCADO

### Me gusta (si es gratis)

MIGUEL LACACI

El pasado octubre Facebook (FB) alcanzó los mil millones de usuarios, lo que le convertiría en el tercer país más poblado del planeta solo por detrás de China e India. La séptima parte de la humanidad pulsamos el botón 'me gusta' regularmente. No es pues de extrañar que analistas y consultoras internacionales afirmen que «comprar acciones de FB equivale a adquirir derechos sobre el mundo», que «la capacidad de FB de mantener a la gente enganchada durante horas terminará generando ingentes cantidades de dinero», o que «el dinero

sigue al tiempo y que éste lo gastamos en FB». ¿Estaremos ante el nuevo alquimista del siglo XXI que convertirá el tiempo en oro? Permítanme que lo dude. Ese tiempo es tiempo perdido por sus usuarios, burlado al ocio, al ocio de calidad, y, con frecuencia, hurtado a las horas laborales. No deja de ser paradójico que durante unas pocas semanas de 2012 uno de los mayores destructores de la productividad laboral del planeta se convirtiera en una de las empresas más valoradas en el mercado bursátil. El día de su salida a bolsa, FB, la

empresa que nació ocho años antes en un dormitorio de la Universidad de Harvard, fue valorada en más de 100.000 millones de dólares. Con esa cantidad se hubiese podido rescatar a todo el sistema bancario español y todavía sobraría un buen pico.

En 2011, Facebook ingresó más de 2,9 millones de euros de los que el 85% procedían de la publicidad, su verdadero modelo de negocio. Ciertamente no está nada mal, aunque la opinión mayoritaria de los analistas es que debería ganar mucho más. Su argumento es contundente: «Más de mil millones de clientes y apenas ingresa 3 euros por cabeza». Quizás por ello, FB, junto a las nuevas 'punto.com', empresas como Groupon o Zynga, entre otras, parecen haber caído en desgracia ante los inversores que penali-



zan su cotización bursátil. Si FB acumula una caída en bolsa del 27% desde su estreno en mayo pasado, ese desplome es del 76% interanual en el caso del desarrollador de videojuegos Zynga y del 71% en el de la firma de cupones de descuento Groupon.

Es obvio que la economía digital se caracteriza por una penetración enorme pero con un rendimiento limitado. Cuanto más digital es una compañía menos empleos crea y menos ingresos por usuario recibe. Para los internautas, el ocio es el cimiento de internet y la mayoría de los productos que se ofrecen son gratuitos. La revolución de las redes sociales no es económica, es cultural. Luego, ¿por qué pagar por algo que se encuentra gratis?

Miguel Lacaci es experto en TIC



Fotografía del IBGM. / J. M. LOSTAU

mún las complicaciones en las vías respiratorias. A largo plazo, el WAS implica un aumento de la incidencia de la malignidad, incluyendo el riesgo de desarrollar leucemia y de las enfermedades autoinmunes.

#### ¿Qué avances ha habido estos últimos años respecto a su tratamiento?

El tratamiento más seguro es el trasplante de médula ósea, pero

es complicado por la compatibilidad. Se han buscado alternativas como la terapia génica 'aditiva', que consiste en la restauración del gen afectado a través de la inyección en la célula de un virus sano para conseguir eliminar el deficiente. Este grupo del IBGM busca el éxito de la terapia génica 'dirigida' para reducir efectos secundarios y mejorar el pronóstico del síndrome de Wiskott Aldrich.

creado dos virus capaces de corregir mutaciones del síndrome de WAS localizadas en la primera mitad del gen, lugar donde se concentran casi todas las mutaciones». Si estos resultados se trasladan en un futuro a la clínica, pueden marcar la diferencia, evitar el tan temido cáncer y mejorar el pronóstico de la enfermedad.

El punto de partida del ensayo clínico son las células de la piel de los enfermos. «Primero, hemos cultivado estas células en nuestro laboratorio y después, hemos creado los vectores de los virus que contienen la proteína normal que falta a los enfermos de WAS. Hemos inyectado estas células con el virus y hemos visto que, aunque a muy baja frecuencia, se logra que en algunas células la mutación desaparezca», apostilla el investigador.

Y es que el WAS es una enfermedad rara causada por una mutación de un gen que produce la proteína denominada WASP, que se localiza exclusivamente en las células de la sangre.

Los resultados les han llevado a decidir extrapolar esta técnica a otras enfermedades genéticas en las que se produce la mutación de un solo gen. «Estamos colaborando con un laboratorio de Boston. Ellos enviarán las células de la piel que han extraído a enfermos reales de Wiskott Aldrich y otras inmunodeficiencias y nosotros probaremos en esas células que los virus que hemos diseñado pueden corregir el WAS y otras patologías genéticas», resume De la Fuente. Este científico apunta que uno de los fines «es conseguir aumentar la frecuencia de la recombinación homóloga, función clave para el éxito».

Sus estudios abren la esperanza a un futuro tratamiento alternativo si se lograra mejorar la efectividad de esta técnica. Además, podrá aplicarse a otras enfermedades genéticas como la fibrosis quística, algunos tipos de cáncer o diferentes inmunodeficiencias, entre otras amenazas.

#### M. A. DE LA FUENTE / INVESTIGADOR IBGM

### «Sin investigación, no hay progreso»

**Pregunta.**— ¿Qué supondría el desarrollo de esta terapia génica dirigida para los enfermos?

**Respuesta.**— Ofrecer una alternativa fiable de curación a los afectados por el síndrome de Wiskott Aldrich. Además, con este ensayo se podrán corregir otras inmunodeficiencias primarias en mutaciones que solamente afectan a un gen. Por ejemplo, la fibrosis quística, algunos tipos de cáncer y el síndrome de Duchenne, entre otros.

**P.**— ¿Piensa que se invierte lo suficiente en avances para la investigación?

**R.**— Por desgracia no y, sin investigación, no hay progreso. La crisis afecta a la ciencia de una forma muy dura. Hay mucho personal que no puede conseguir financiación. No se trata de un artículo de lujo, sino de una necesidad para la sociedad.

**P.**— ¿Qué importancia tienen los grupos de investigación para las universidades?

**R.**— Son su mayor fuente de

prestigio. Que la Universidad de Valladolid (UVA) cuente con estos grupos es un privilegio.

**P.**— ¿Qué consejo daría a los jóvenes que quieran dedicar su vida a la investigación?

**R.**— Simplemente les diría que la situación es complicada, pero en la vida siempre hay que hacer lo que a uno le gusta y le hace feliz. Los grupos de investigación veteranos no pueden conseguir dinero y la contratación de becarios se está reduciendo al límite.

**P.**— ¿Cómo está el panorama en Castilla y León con respecto al síndrome de WAS?

**R.**— Hay muy pocos casos, se pueden contar con los dedos de una mano. La ventaja es que ahora existen expertos que se están interesando en estudiar y buscar soluciones a las denominadas enfermedades raras. La ventaja con la que parten estas patologías genéticas es que con un mismo método se pueden curar varias afecciones.

