

# LA JORNADA DE LA ASOCIACIÓN

Una vez más, la jornada sirvió como punto de encuentro y actualización sobre la hemofilia con dos invitados de referencia en sus campos, el Dr. Juan Ignacio Esteban, hepatólogo del Hospital Vall d'Hebron y el Dr. Xavier Anguela, investigador en Spark Therapeutics, INC afiliado al Children's Hospital of Philadelphia.

El pasado mes de diciembre se celebró, un año más, la Jornada de Actualización de la Hemofilia. Punto de encuentro donde compartir, debatir y conocer novedades sobre aspectos y tratamientos de la enfermedad.

## HACIA LA ERRADICACIÓN DE LA HEPATITIS C

La primera ponencia fue a cargo del Dr. Juan Ignacio Esteban Mur, hepatólogo de la unidad de hemofilia del hospital Vall d'Hebron.

El título era realmente la definición del momento actual, a pesar de las controversias políticas que hayamos podido seguir en rotativos y noticiarios. Una nueva generación de medicamentos suponen una auténtica revolución terapéutica para el tratamiento del virus C y un verdadero avance para su curación.

La presentación del Dr. Esteban mostró los distintos nuevos antivirales y los nuevos ratios de curación, que llegan hasta el 95%. Hay datos que lo avalan, ya que por la experiencia en el tema de otros países, como Estados Unidos, los expertos ya están pronosticando la erradicación de esta enfermedad identificada a

principios de los años 90. A día de hoy, en España hay autorizados tres antivirales de nueva generación: Sofosbuvir, Simeprevir y Daclatasvir. Nuevas moléculas para tratar la hepatitis C dependiendo de los distintos genotipos. Estamos hablando de un tratamiento mucho mejor que el usado hasta día de hoy, en el que se prescribían una combinación de fármacos más antiguos, como el interferón y la ribavirina con una tasa de curación del 50% frente al 95% que ofrece la nueva medicación. Las mejoras son muchas: el tratamiento es mucho más corto (12 semanas en la mayoría de los casos por vía oral) y se evitan las inyecciones semanales de interferón. Y una también muy importante, los nuevos medicamentos no tienen efectos secundarios frente a la irritación, depresión, insomnio, pérdida de peso o anemia, que sí podían originarse antes en algunos casos y provocaban que los pacientes abandonaran el tratamiento.

El Dr. Esteban nos presentó también distintos estudios y casos de éxito con las distintas moléculas en distintos países. Realmente, nos encontramos en un momento importante y esperamos que en breve se beneficie de forma real la comunidad afectada. Esta primera ponencia se cerró con

Cap a l'eradicaci  
Dr. Juan Ignacio E  
Hepatòleg de la U  
Hospital Vall d'Heb

una ronda de ruegos y preguntas por parte de los asistentes.

Tras la pausa, fue el turno del Dr. Xavier Anguela que en la actualidad está investigando usos de la terapia génica asociada a la hemofilia.

## LA TERAPIA GÉNICA Y LA HEMOFÍLIA

Una ponencia en tono muy cercano para hacernos comprender, en primer lugar, en qué consiste la terapia génica, y después, sus

usos y avances en la hemofilia, presentando diversos estudios ya realizados con humanos.

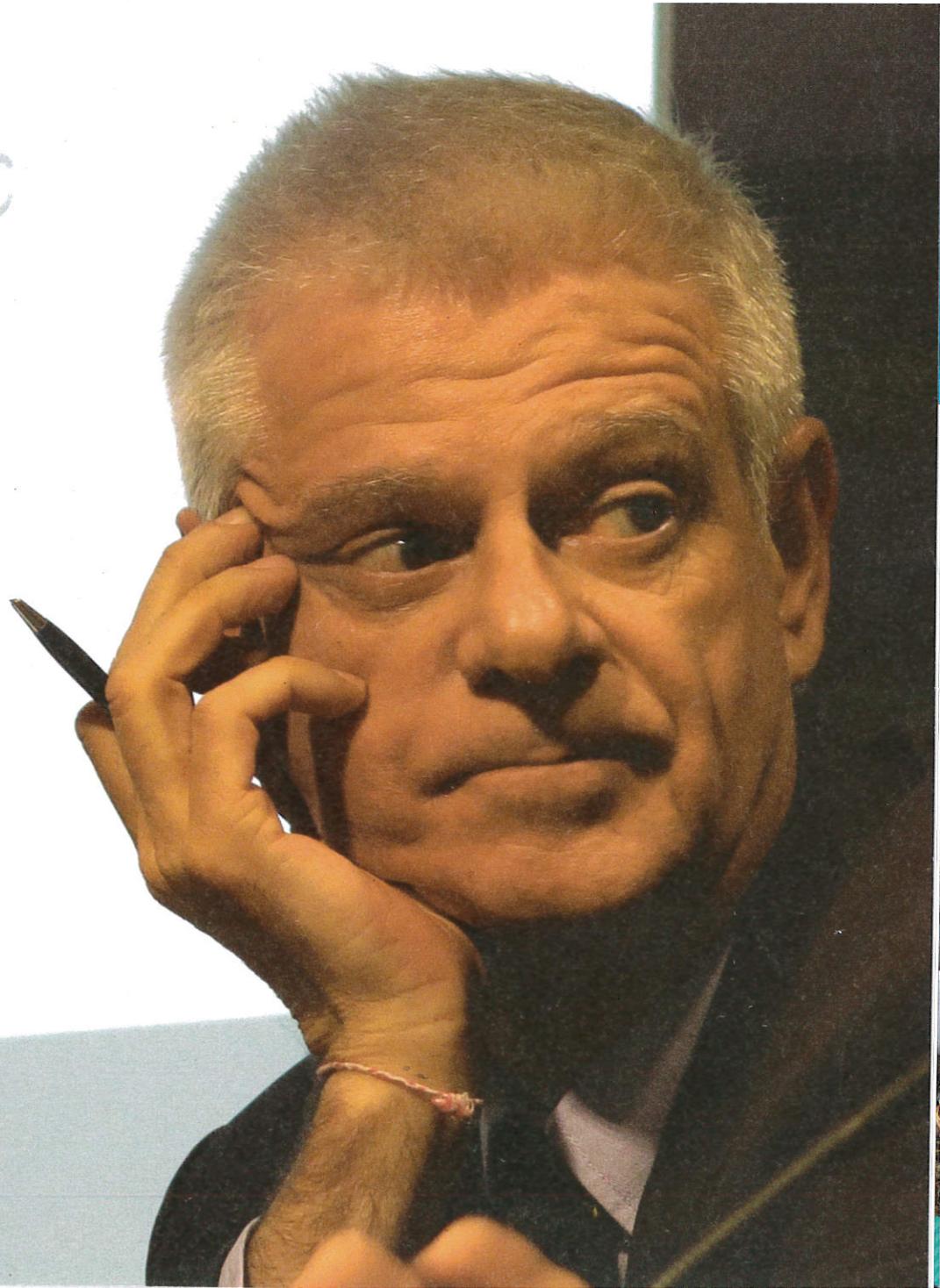
Como punto de partida, "una terapia de sustitución es engorrosa". Ciertamente es que el tratamiento actual de la hemofilia, permite una gran calidad de vida, aún más si lo comparamos con los tratamientos de no hace tantos años. Aunque el 75% de hemofílicos del mundo no tienen acceso a estos tratamientos tan caros utilizados en el primer mundo.

La visión y objetivos inspiradores de la investigación en la que está

trabajando el Dr. Anguela tiene un objetivo tan ambicioso como deseado: encontrar el tratamiento perfecto. Un tratamiento duradero y seguro. La terapia génica, de momento ya ha conseguido, que después de una sola inyección, al cabo de años, todavía exista factor 9.

Y básicamente lo que quiere hacer la terapia génica es tomar una copia correcta del factor 9, colocándola en un vector (vehículo) que transportará esta copia correcta a las células del hígado, liberándose en su núcleo. La terapia génica trabaja de otra forma,

ó de l'Hepatitis C  
steban Mur  
nitat d'Hemofília  
ron



## Avenços en teràpia gènica per a l'hemofília B

Xavier Anguela, PhD



su objetivo es trabajar directamente en el ADN, dándole la información correcta a la célula y que de esta forma por si misma sea capaz de replicarse.

Una ponencia llena de objetividad y positivismo, pero también cargada en todo momento de dosis de realidad: la terapia génica en la actualidad ha conseguido ser ya una "terapia de mejora" para casos graves de

hemofília y por buen camino se dirige a ser una "terapia de curación".

Cerraba la ponencia presentando y abriendo a quien quisiera el ensayo y estudio que está realizando durante 2015 desde la universidad de Philadelphia.

La ponencia fue seguida de un turno abierto de preguntas, dudas e inquietudes que una por

una fueron atendidas de forma didáctica y entendedora para los asistentes.

Unas jornadas que se cerraron valorando de forma positiva una vez más el encuentro, donde compartir novedades, conocimiento y experiencias. Finalmente cerrar este texto con agradecimientos por la colaboración en la organización a Laboratorios Baxter.

