

## **Cómo finalizar un ensayo clínico Fase III en Terapia Celular sin morir en el intento.**

Desde el año 2004 los tratamientos celulares se rigen por la Ley de Medicamentos, lo cual implica que las células son un fármaco que deben someterse a la misma rigidez de producción que cualquier fórmula magistral química o biológica, pero con una diferencia esencial, son un fármaco vivo. Otro aspecto a considerar es el desconocimiento por parte de la comunidad científica, así como la comunidad reguladora, de los mecanismos de acción y de la farmacopea de las células. Ambos aspectos hacen que el desarrollo de los ensayos clínicos sea más complicado y aumente su dificultad hasta llegar a ser un fármaco disponible para las farmacias hospitalarias.

Nuestra andadura empezó en el año 2001; en aquel momento no existía legislación asociada al producto celular. No obstante decidimos seguir el protocolo de cualquier otro fármaco; dicha decisión nos ha permitido obtener el primer fármaco de terapia celular a nivel mundial: células troncales mesenquimales alogénicas derivadas del tejido adiposo para el tratamiento de la patología fistulosa perianal.

Si intentamos resumir este proceso en un párrafo debemos destacar los buenos resultados de seguridad del uso autólogo de las células y la dificultad de “educar” a los cirujanos a la hora de aplicar su tratamiento; este hecho, junto con un diseño/seguimiento de aplicación no ajustado a un medicamento vivo, nos hizo fracasar en nuestro primer ensayo clínico en fase III. Afortunadamente, tanto la empresa que “apostó” por nuestra idea, como nosotros, aprendimos enormemente de dicho “fracaso”, aunque costó una enorme cantidad de dinero y puestos de trabajo. Una vez repasados los errores, empezamos de nuevo el ciclo del ensayo clínico: Fase I (seguridad), Fase II (seguridad y primeros datos de eficacia) y Fase III (eficiencia frente al tratamiento convencional), pero en esta ocasión, y por cuestiones económico-operativas, se decidió utilizar las células de forma alogénica, aprovechando una propiedad de las células mesenquimales que las hace inmunoprivilegiadas.

Como conclusión, me gustaría destacar las enormes dificultades legislativas, económicas y farmacológicas que implica el proceso de un ensayo clínico. Pero paralelamente me gustaría animar a todo el mundo a insistir en las ideas y seguir los protocolos de las buenas prácticas de investigación, tanto de laboratorio como clínicas, para alcanzar el éxito. Y por último, exponer que, para avanzar en este camino, son tan importantes los errores/fracazos como los éxitos; sin las enseñanzas de los errores es difícil progresar hasta obtener resultados óptimos. Me gustaría acabar con una frase de paulo Coelho: “una búsqueda comienza siempre con la suerte del principiante y termina con la prueba del conquistador”.