

Cómo se fabrica un fármaco.

Fase 2: Selección de objetivo

Más de 12 años y unos costes de más de 1000 millones de euros de media es lo que supone realizar toda la investigación y el desarrollo necesarios para que pueda ponerse un nuevo medicamento a disposición de los pacientes.

El desarrollo de fármacos es una empresa de alto riesgo. La mayoría las sustancias (alrededor de un 98 %) que se desarrollan no llegan nunca al mercado en forma de nuevos medicamentos. El motivo suele ser que al examinar las ventajas y los riesgos (efectos secundarios negativos) que se han hallado durante el desarrollo, la comparación no resulta ventajosa respecto a fármacos de los que ya disponen los pacientes.

El desarrollo de un nuevo fármaco puede dividirse en 10 fases diferentes. El siguiente artículo abarca la fase 2: Selección de objetivo.

¿Qué es un "objetivo"?

Las enfermedades surgen cuando los procesos corporales normales sufren alteraciones o no funcionan debidamente. Al desarrollar un fármaco, es importante comprender en detalle (a nivel de moléculas), qué es lo que ha fallado. De esa manera, puede establecerse como objetivo el proceso anormal y corregirse. El "objetivo" puede ser: una molécula que se ha producido en exceso y que interfiere con el funcionamiento corporal normal; o que no se produce en cantidades normales; o que tiene una estructura anormal. Por ejemplo, en la diabetes, la producción de insulina es insuficiente o bien las células no responden a esta, y en el cáncer puede haber demasiada cantidad de un mensajero químico que hace que las células

tengan un crecimiento anormal.

¿Cómo funciona el "establecimiento de objetivos"?

La figura a continuación muestra una representación sencilla de una célula, con un núcleo y un receptor en la superficie de la célula.

- El núcleo actúa como centro de control de la célula, dado que contiene el material genético.
- El receptor permite que los mensajeros químicos se comuniquen con el núcleo.

Cuando un mensajero químico, en este caso el "factor de crecimiento", se combina con el receptor del factor de crecimiento en la superficie de la célula, se genera un mensaje dentro de la célula. Este, a continuación, estimula la célula para que se divida. Cuando las señales se descontrolan, el crecimiento celular lleva al cáncer. El bloqueo del receptor en las células cancerígenas evitará la transmisión del mensaje al núcleo, impidiendo así un crecimiento celular descontrolado.

Si se puede bloquear el receptor en las células cancerígenas, se evitará:

- que se envíe el mensaje.
- el crecimiento celular descontrolado.

El "objetivo" en este ejemplo es, por lo tanto, el receptor del factor de crecimiento.

La importancia de la selección del

objetivo

A menudo es imposible saber en detalle qué es lo que no ha funcionado. En una enfermedad suele haber varias anomalías u "objetivos", pero los científicos no pueden decir con exactitud qué objetivo es el responsable de la enfermedad. También podría suceder que dichas anomalías no sean la causa de la enfermedad y que, por lo tanto, intentar corregirlas no sea el tratamiento para esa enfermedad. En este caso, el proyecto de desarrollo puede estar detrás del objetivo equivocado y acabar fracasando. Eso significa que seleccionar el mejor objetivo sobre el que trabajar resulta crucial en un proyecto.

Referencias

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Eds.). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3rd ed.). Oxford, UK: Wiley-Blackwell.

Anexos

A2-1.02.2-V1.1