CIENCIA Y TECNOLOGÍA

https://daily27.info/2026/09/10/health-and-research-equity-a-matter-of-principles-and-rights/

Equidad en salud e investigación: una cuestión de principios y derechos

Por Antonio Liras

SEP 10, 2026

#Costo económico, *#Cuidado de la salud*, *#Derechos humanos*, *#Innovación*, *#Conocimiento*, *#Medicamento*, *#Enfermedades raras*,*#Investigación*

Imagen generada con inteligencia artificial

Es bien sabido que el objetivo de la investigación básica (I+D) —investigación y desarrollo— es generar nuevos conocimientos, mientras que la investigación aplicada (I+D+i) — investigación, desarrollo e innovación— traduce estos conocimientos en la práctica para mejorar la calidad de vida de las personas. En ambos casos, el coste económico es elevado, y aún más en la investigación aplicada, razón por la cual las empresas (derivadas, startups o grandes multinacionales farmacéuticas) suelen ser las que asumen estos costes. En el ámbito sanitario, esto se traduce en el desarrollo de nuevos métodos de diagnóstico o tratamientos mediante ensayos clínicos con pacientes.

El impacto de esta medicina traslacional es social, ya que busca mejorar la vida de las personas, pero también económico, puesto que se requiere una inversión sustancial para desarrollar innovaciones en el ámbito de la salud. Aquí es donde entran en juego los denominados **objetivos de cartera comercial de una empresa** con respecto a sus clientes o inversores. Este es el punto clave de debate y controversia cuando hablamos de salud *versus* enfermedad, porque habrá un beneficio médico y social mientras exista rentabilidad económica para las compañías farmacéuticas. Esto puede sonar duro al referirse a cualquier tipo de enfermedad, pero aún más en el caso de una enfermedad rara o ultrarrara.

Una enfermedad rara (que afecta a 1 de cada 2000 personas) o una enfermedad ultrarrara (que afecta a 1 de cada 50 000) [1,2] no es particularmente rentable para **la cartera comercial de una empresa**. Aquí radica el conflicto: si no se invierte, no se pueden generar beneficios para la salud, pero dicha inversión se basa en última instancia en la rentabilidad (**las consideraciones económicas basadas en la mayor o menor incidencia de una enfermedad guían las prioridades**). Por otro lado, está la ética de los principios, que establece cuatro pilares sobre los que debería basarse la medicina traslacional actual: **no maleficencia** (pruebas excesivas, mala praxis, etc.); **beneficencia** (hacer el bien a las personas y a la sociedad); **autonomía** (libertad de las personas para tomar decisiones y confidencialidad); y **justicia o equidad** (igualdad en la prestación de atención médica) [3].

Además, debe tenerse en cuenta el artículo 25 de la Declaración Universal de Derechos Humanos [4]: " *toda persona tiene derecho a un nivel de vida adecuado que le asegure, así como a su familia, la salud y el bienestar* "; así como los principios de la Organización Mundial de la Salud [5]: " *la asistencia sanitaria es una obligación jurídica y ética del Estado, que debe garantizar la disponibilidad de sistemas de salud accesibles, de alta calidad y sostenibles* "; y el artículo 14 de la Constitución española [6], que establece el principio de igualdad y equidad ante la ley y prohíbe la discriminación.

La realidad objetiva es que el desarrollo de un **fármaco huérfano** para una **enfermedad rara no es rentable para la industria farmacéutica** . Por esta razón, los gobiernos ofrecen incentivos económicos para promover la investigación y la comercialización en este campo [2]. **El 95% de estas enfermedades aún carecen de un tratamiento específico aprobado y, a nivel mundial, menos del 10% de las enfermedades ultrarraras cuentan con algún programa activo de investigación de fármacos** , en comparación con las enfermedades comunes y las enfermedades raras de mayor prevalencia [7].

Las razones de esta brecha de inversión en estos medicamentos pueden incluir la inversión basada en el tamaño del mercado (el número de pacientes [8]), que no se distribuye **entre** millones de pacientes [9], así como **las carteras** de investigación que se centran en un número limitado de afecciones específicas (cáncer, enfermedades cardiovasculares, obesidad, etc.) [10].

Ante la falta de financiación pública y privada suficiente, los grupos de investigación que trabajan en enfermedades raras deben buscar la colaboración interdisciplinaria con otros grupos afines para compartir recursos. También pueden recurrir a las asociaciones de pacientes, que están cada vez más interesadas en conseguir financiación para la investigación de sus propias enfermedades [11–13].

En este contexto, el Grupo de Terapias Avanzadas, Génicas y Celulares para el tratamiento de coagulopatías congénitas, liderado por el Dr. Antonio Liras, está desarrollando protocolos terapéuticos para el tratamiento de la deficiencia del factor V de la coagulación, una enfermedad ultrarrara [14]. La colaboración interdisciplinaria con otros grupos de investigación es esencial, pero el grupo también recibe apoyo y financiación de la Asociación para la Investigación y Cura de la Deficiencia del Factor V [15]. A pesar de las numerosas dificultades y la falta de apoyo de la administración pública, todo esto ha permitido llevar a cabo investigación de alta calidad, estableciendo protocolos de terapia celular [16]; estudiando mutaciones en pacientes [17]; estableciendo modelos celulares con deficiencia del factor V mediante edición genética (CRISPR) y corrigiendo esta deficiencia [18]; y desarrollando modelos de ratón con deficiencia del factor V [19,20]. Un estudio de prueba de concepto de un protocolo de terapia génica utilizando vectores lentivirales, que tiene un potencial significativo para la traslación clínica, se encuentra actualmente en proceso de revisión editorial para su publicación.

Referencias

[1] Consorcio Internacional de Enfermedades Raras (IRDiRC). Disponible en: https://irdirc.org/.

[2] Orphanet. Disponible en: https://www.orpha.net/es/other-information/about_orphanet.

[3] Principios de bioética de Beauchamp y Childress (1979): Beneficencia, no maleficencia, justicia y autonomía. Disponible en: https://abimad.org/principios-de-etica-biomedica/.

[4] Declaración Universal de los Derechos Humanos. Art. 25. Disponible en:

https://www.unidosporlosderechoshumanos.es/course/lesson/articles-19-25/read-article-25.html

[5] Organización Mundial de la Salud. Disponible en: https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/human-rights-and-health

[6] Constitución Española. Art. 14. Disponible en: https://www.boe.es/buscar/act.php?id=BOE-A-1978-31229

[7]. The Next Generation of Rare Disease Drug Policy: Ensuring Both Innovation and Affordability. Institute for Clinical and Economic Review. Disponible en: https://icer.org/wp-content/uploads/2022/04/ICER-White-Paper_The-Next-Generation-of-Rare-Disease-Drug-Policy_040722.pdf.

[8] Unlocking the full potential of rare disease drug development: exploring the not-for-profit sector's contributions to drug development and access. Front Pharmacol. 2024;15:1441807. doi: https://doi.org/10.3389/fphar.2024.1441807.

[9] Drug development for neglected ultra-rare diseases of no commercial interest: Challenges and opportunities. Drug Discov Today 2025;30(4):104346. doi: https://doi.org/10.1016/j.drudis.2025.104346.

[10] The Hard Truth About Rare Disease and Gene Therapy Drug Development. Applied Clinical Trials 2025;34(2).Disponible en: https://www.appliedclinicaltrialsonline.com/journals/applied-clinical-trials/applied-clinical-trials-04-01-2025.

11. Duchenne Parent Project España. Disponible en: https://www.duchenne-spain.org/investigacion-actual/proyectos-financiados/.

12. Fundación ELA (FUNDELA). Disponible en: https://www.somospacientes.com/noticias/al-dia/asociaciones/ayudas-investigacin-ela-fundela/.

13. Fundación Anemia de Fanconi. Disponible en: https://anemiadefanconi.org/.

14. Déficit de factor V de la coagulación. De la mutación a la "curación" mediante terapias avanzadas. An. R. Acad. Farm. 2025,91(1):17-44. Disponible en: https://analesranf.com/wp-content/uploads/2025/91_01/91_01.pdf.

15. Asociación para la Investigación y Cura del Déficit de Factor V (ASDEFAV). Disponible en: https://unaesperanzaparacelia.org/.

16. Cell therapy for factor V deficiency: An approach based on human decidua mesenchymal stem cells. Biomed. Pharmacother. 2021,142:112059. doi: https://doi.org/10.1016/j.biopha.2021.112059.

17. High Mutational Heterogeneity and New Mutations in the Human Coagulation Factor V Gene. Future Perspectives for Factor V Deficiency Using Recombinant and Advanced Therapies. Int. J. Mol. Sci. 2021,22:9705. doi: https://doi.org/10.3390/ijms22189705.

18. Development and Characterization of a Factor V-Deficient CRISPR Cell Model for the Correction of Mutations. Int. J. Mol. Sci. 2022,23:5802. doi: https://doi.org/10.3390/ijms23105802.

19. Development of a novel and viable knock-in factor V deficiency murine model: Utility for an ultra-rare disease. PLoS One 2025,20(6): e0321864. doi: https://doi.org/10.1371/journal.pone.0321864.

20. Effect of a truncated mutant factor V on hemostatic function and embryonic development in mice. Sci Rep. 2026,16(1):8460. doi: https://doi.org/10.1038/s41598-026-38387-w.

Antonio Liras

Catedrático de Bioquímica y Biología Molecular en la Universidad Complutense de Madrid. Es licenciado en Ciencias Químicas y doctor en Farmacia por la misma universidad, y especialista en análisis clínicos de la Unión Europea. Es miembro del Comité Asesor de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) y director del Grupo de Investigación en Terapias Avanzadas, Génicas y Celulares para el Tratamiento de las Coagulopatías Congénitas. Asimismo, ejerce como coordinador científico de la Asociación para la Investigación y la Cura de la Deficiencia del Factor V.

Es miembro de los consejos editoriales de varias revistas biomédicas y académico de la Real Academia Nacional de Farmacia de España. Ha sido investigador principal de numerosos proyectos de investigación en biomedicina y enfermedades raras, y es autor de más de cien publicaciones nacionales e internacionales, así como de varios libros y capítulos de libros científicos y didácticos. Ha participado como ponente en numerosos congresos nacionales e internacionales.

Su extensa trayectoria en transferencia de tecnología y conocimiento abarca la explotación de resultados de investigación, patentes y contratos con compañías farmacéuticas. Asimismo, ha participado como revisor y evaluador de proyectos de investigación tanto a nivel nacional como internacional. Entre sus logros destaca la patente del primer modelo viable de ratón con deficiencia del factor V de la coagulación. Ha recibido diversos premios de investigación, como el Premio ConfiHe Baxter, el Premio de la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia, el Premio de la Real Fundación Victoria Eugenia y el Premio de la Real Academia Nacional de Farmacia de España.