

13:00h.- Estudios moleculares en enfermedad celíaca: Hacia un mejor diagnóstico y conocimiento de la enfermedad.

Dña. Concepción Núñez Pardo de Vera. Investigadora Miguel Servet de la UGC de Inmunología. Instituto de Investigación Sanitaria del Hospital Clínico San Carlos (IdISSC).

La enfermedad celíaca (EC) se caracteriza por una inflamación intestinal crónica que se desencadena tras la ingesta de gluten en individuos genéticamente susceptibles. Se conoce el principal factor ambiental desencadenante, el gluten, y también los principales factores genéticos de riesgo (HLA-DQ2 y HLA-DQ8), presentes en casi la totalidad de los enfermos. A pesar del extendido consumo de cereales y de que los receptores HLA-DQ2/DQ8 aparecen en alrededor del 40% de la población caucásica, sólo aproximadamente el 1% de la población presenta EC. Otros factores genéticos, probablemente interaccionando con factores ambientales, sean posiblemente decisivos para que se desencadena esta enfermedad. Nuestro grupo de investigación ha contribuido a aumentar el conocimiento sobre la base genética de esta enfermedad compleja. Hemos participado en estudios internacionales de genotipado a gran escala que han identificado nuevos factores genéticos de riesgo y han puesto especialmente de relevancia la importancia de la regulación de la expresión génica y la base genética común existente entre diversas enfermedades mediadas por el sistema inmune. Actualmente, nuestros estudios se centran también en tratar de desarrollar nuevos métodos diagnósticos para EC.

Bibliografía:

- Romanos J et al. Improving coeliac disease risk prediction by testing non-HLA variants additional to HLA variants. Gut 2014;63:415-22.
- Medrano LM et al. HLA and celiac disease susceptibility: new genetic factors bring open questions about the HLA influence and gene-dosage effects. PLoS One 2012;7:e48403.
- Medrano et al. Th17-related genes and celiac disease susceptibility. PLoS One 2012;7:e31244.
- Trynka G et al. Dense genotyping identifies and localizes multiple common and rare variant association signals in celiac disease. Nat Genet 2011;43:1193-201. 5.
- Dubois PC et al. Multiple common variants for celiac disease influencing immune gene expression. Nat Genet 2010;42:295-302.

13:30h.- Medicamentos de terapias avanzadas y normas GMP.

Dña. María del Pilar Tornero Esteban. Responsable de la Sala Blanca. Instituto de Investigación Sanitaria del Hospital Clínico San Carlos (IdISSC).

Las Terapias Avanzadas entendiéndose como tales la terapia celular, la terapia génica y la ingeniería tisular, representan una nueva estrategia terapéutica cuyo desarrollo aportaría nuevos avances para el tratamiento de algunas enfermedades que en la actualidad adolecen de un tratamiento eficaz. En este contexto, hay que cuestionarse qué se considera un medicamento de Terapia Avanzada y cuál es su marco legislativo y regulatorio.

En la actualidad, el marco legal requiere que los medicamentos de Terapia Avanzada, definidos según la Directiva 2009/120/CE, sean elaborados por fabricantes autorizados lo que implica que dichas instalaciones cuenten con la certificación de cumplimiento de Normas de Correcta Fabricación (NCF/GMPs) y que estén en posesión de la correspondiente autorización por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. Los requisitos de aplicación de las Normativa (GMPs) para la acreditación y puesta en funcionamiento de la Sala Blanca del HCSC cubren aspectos relacionados con el correcto diseño de las instalaciones, la adecuada formación del personal implicado en el proceso de producción y la realización de una serie de ensayos y validaciones que en definitiva permita garantizar la producción de medicamentos sin que supongan ningún riesgo para los pacientes a causa de una inadecuada seguridad, calidad o eficacia.

Bibliografía:

- Normas de Correcta fabricación de Medicamentos de uso humano y veterinario. Agencia Española del Medicamento y Productos sanitarios.
- (www.aemps.gob.es/industria/inspeccionNCF/guiaNCF/home.htm)
- Reglamento (CE) nº 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo de 13 de Noviembre de 2007 sobre medicamentos de terapia avanzada.
- Directiva 2001/83/CE, del Parlamento Europeo y del Consejo, de 6 de Noviembre de 2001. (Última actualización Directiva 2009/120/CE)

13:50h.- PREGUNTAS