

JPND Research Strategy

Tackling the challenge of Alzheimer's and other neurodegenerative diseases in Europe

Resumen ejecutivo



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Antecedentes y propósito de la estrategia de investigación

Las enfermedades neurodegenerativas (ND) son causantes de estados atenuantes, en gran medida sin tratamiento y que están estrechamente vinculados con la edad. Entre estos trastornos, las demencias son responsables de la mayor carga de enfermedad, siendo la enfermedad de Alzheimer y otros trastornos relacionados la causa de afectación de aproximadamente 7 millones de personas en Europa, cifra cuya duplicación está prevista cada 20 años, a medida que se produzca el envejecimiento de la población. En la actualidad, la atención y tratamiento de pacientes con algún tipo de demencia en Europa, supone un coste del orden € 130 millones (billones) de euros al año, poniendo de manifiesto que las enfermedades neurodegenerativas relacionadas con la edad, constituyen uno de los principales retos médicos y sociales a los que se enfrenta nuestra sociedad.


El Programa Conjunto de la UE para la Investigación en Enfermedades Neurodegenerativas (JPND-“Joint Programming on Neurodegenerative Disease Research”) es una iniciativa innovadora de investigación colaborativa creada para afrontar los crecientes desafíos que plantean estas enfermedades. Su objetivo es potenciar el impacto de la investigación mediante la alineación de programas nacionales de investigación existentes y la identificación de objetivos comunes cuyo alcance se beneficiaría a través de una acción conjunta. Esta Estrategia de Investigación proporciona un marco para futuras inversiones y demuestra que el esfuerzo de investigación en el seno de la Unión Europea puede aprovecharse para mejorar la atención en la prevención, diagnóstico y tratamiento de pacientes que sufren estas enfermedades.

2. Prioridades científicas y actividades de apoyo

Prioridades científicas

Para lograr este impacto, es necesario potenciar enfoques novedosos y multidisciplinarios, fortalecer y extender las capacidades existentes a todo el espectro de la investigación básica, clínica, en salud pública y traslacional. A tal efecto, se han identificado una serie de temas prioritarios para las futuras investigaciones:

- **Orígenes de las enfermedades neurodegenerativas (ND):** es necesario un mayor conocimiento sobre las causas específicas de las ND, los factores que determinan el riesgo de las personas y la resistencia así como los eventos que disparan la enfermedad. La caracterización de las poblaciones en riesgo deberá, en última instancia, definir las estrategias en materia de prevención para lo cual será necesario desarrollar programas de investigación que revelen y evalúen la interrelación de nuevos factores de riesgo genéticos, epigenéticos y medioambientales. Junto a esto hay una necesidad de comprender mejor el proceso normal de envejecimiento y su relación con el desarrollo y la progresión de las enfermedades ND. La identificación de moduladores ambientales y de comportamiento de estos procesos también proporcionará información sobre los factores que determinan la protección y la capacidad de recuperación de la enfermedad.
- **Mecanismos y modelos de enfermedad:** la mejor comprensión de los mecanismos de la enfermedad es fundamental para favorecer el desarrollo de nuevas técnicas diagnósticas y terapéuticas, así como la identificación de las ventanas temporales más adecuadas para la intervención. Entre los múltiples objetivos que se persiguen, es necesario establecer nuevas herramientas de trabajo experimental basadas en nuevos modelos animales y cultivos celulares capaces de representar con precisión los elementos clave del proceso de la enfermedad, y que tengan en cuenta factores como la naturaleza progresiva de las ND, las comorbilidades, el género y el envejecimiento. Será también esencial dilucidar las bases biológicas y ambientales de los síntomas conductuales y psicológicos en las enfermedades ND.
- **Definición y Diagnóstico de la enfermedad:** la evaluación clínica estándar no logra captar la complejidad de la enfermedad neurodegenerativa común, siendo por tanto un requisito básico el perfeccionamiento y actualización de los criterios de diagnóstico actuales. La diversidad de formas y subtipos de enfermedades ND, incluyendo las etapas previas a la aparición de los síntomas clínicos, requieren una mejor definición. De





forma paralela, es importante mejorar y crear nuevas herramientas de diagnóstico que permitan la detección precisa y en su etapa más temprana de las mismas. El establecimiento de nuevos biomarcadores que proporcionen el vínculo entre los ensayos en humanos y las investigaciones en modelos animales, así como las medidas de progresión de la enfermedad, el pronóstico y los efectos del tratamiento, es esencial. La normalización, armonización y evaluación a través de estas herramientas será fundamental para asegurar la comparabilidad de los resultados y los estudios transversales de centros.

- **Tratamiento y prevención:** El progreso en la identificación de nuevas dianas terapéuticas y el desarrollo de fármacos contra ellos se verá reforzado a través del fomento de una conexión bidireccional entre los estudios en modelos animales y celulares y los pacientes. Alternativamente, los procedimientos para mejorar la selección (o estratificación), de los pacientes en ensayos clínicos proporcionaría una mayor probabilidad de mostrar la eficacia clínica de nuevos tratamientos. Deben impulsarse estudios orientados a un mayor desarrollo de las intervenciones psicosociales, prestando especial atención a la promoción de la inclusión social y la participación del cuidador/a; por otro lado, el establecimiento de cohortes de pacientes con ND preclínicas proporcionaría una plataforma para el análisis futuro de las intervenciones con el objeto de prevenir o retrasar la progresión de la enfermedad. Por último, deben realizarse propuestas a largo plazo que promuevan estrategias regenerativas y que desarrollen nuevos sistemas para el suministro y selección de medicamentos y productos biológicos destinados a dianas específicas en el cerebro y el sistema nervioso.
- **Salud y asistencia social:** en la actualidad no es eficiente la coordinación entre los sistemas de salud y asistencia social en los distintos países de la UE. Esto exige una evaluación de la equidad en el acceso a los mismos, su eficacia y rentabilidad así como las vías para el diagnóstico, tratamiento, atención y cuidados de las END en toda Europa. Existe una necesidad de identificar los factores críticos que inciden en la discapacidad y la salud relacionados con la calidad de vida (*Quality of Life –QoL-*) en las ND, incluyendo los efectos de la comorbilidad, la nutrición y la fragilidad, la interacción con la familia, los cuidadores, el medio ambiente y la salud y los sistemas de asistencia social. También es necesario afrontar el hecho de que actualmente la evidencia de las estrategias terapéuticas, se deriva principalmente de estudios intensivos y de corta duración que no reflejan fácilmente la configuración del "mundo real". Esto hace necesario adoptar medidas de mejora de los resultados que reflejen adecuadamente las perspectivas de los pacientes y de sus cuidadores. Tecnologías de vida cotidiana asistida pueden ayudar a responder a las necesidades de los pacientes con ND en los estados de enfermedad temprana y moderada, así como a las de sus cuidadores, a pesar de que debe hacerse un mayor énfasis en la carga específica de las ND en lugar de centrarse en el envejecimiento en general. La investigación en el futuro debe desarrollarse en relación a los medicamentos paliativos y el final de la vida que, junto con otras áreas de investigación de ND, deberían integrar la complejidad de cuestiones éticas que acompañan a estas enfermedades.


Actividades de apoyo

Para asegurar el avance de las prioridades científicas descritas anteriormente, será necesario el desarrollo de una serie de actividades de carácter:

- **Conocer nuestra capacidad de investigación:** se ha realizado un mapa de la actividad investigadora a nivel de país y de la UE con el objetivo de identificar tanto las carencias como aquellas oportunidades que se pueden abordar a través de una mejor coordinación y financiación. A partir de este estudio se ha creado una base de datos pública que no solo será un escaparate de la investigación en curso de las enfermedades ND en toda Europa, sino que permitirá promover un mejor uso de los recursos y las infraestructuras.
 - **Infraestructura de apoyo y plataformas:** Al tratar de crear un entorno propicio para la investigación de enfermedades ND, surge la necesidad de impulsar la integración y armonización de bases de datos e instrumentos, así como de promover herramientas de acceso abierto (*open access*) para su uso. Se deben potenciar la normalización de directrices, métodos y herramientas para la recolección y el análisis de datos, que permitan hacer frente a las exigencias de las plataformas tecnológicas de alto rendimiento y a los
- 



biobancos así como ejercer una mejor explotación de las cohortes poblacionales. Será fundamental revisar las políticas científicas actuales para facilitar la investigación en todo el espectro de las estructuras de salud, incluyendo hospitales generales y centros de atención primaria y comunitaria.

- **Colaboración con la industria:** son muchas las entidades privadas comprometidas con la investigación de las ND; desde los sectores farmacéutico, de diagnóstico y biotecnológico hasta los sectores de asistencia cotidiana de la vida, los profesionales de la salud y la industria del cuidado del hogar. Es por tanto esencial una conexión entre y a través de los ámbitos académicos y comerciales que posibiliten la oferta de nuevas propuestas en el tratamiento y en los cuidados. Desde la iniciativa JPND se promoverá el intercambio de datos y de recursos entre la industria y las instituciones generadoras de conocimiento.
 - **Colaboración con organismos reguladores:** El fomento de la traslación efectiva de la investigación a través de beneficios para el paciente requiere el compromiso y la cooperación con las principales agencias reguladoras europeas y nacionales, para asegurar una comprensión adecuada de la normativa por los investigadores y de las condiciones que su adopción conlleva. Es fundamental la creación de redes de apoyo a la normativa a través de las cuales pueda darse orientación e información acerca del diseño de proyectos y potenciales cuellos de botella en los momentos iniciales del proyecto.
 - **Asociación internacional más allá de Europa:** se reconoce que la investigación clínica y el impacto social de las enfermedades ND es un problema de alcance mundial, y que por ello pueden surgir oportunidades para unir los esfuerzos de investigación que se están llevando a cabo en todo el mundo dentro de esta área. Se contempla una cooperación estratégicamente dirigida y orientada a crear valor añadido a los objetivos del JPND.
 - **Construcción de Capacidad:** resulta necesario el fortalecimiento de determinadas áreas de investigación que carecen del desarrollo adecuado. En este sentido, deben establecerse redes transversales de investigadores intra e interdisciplinarios. De forma especial, habrá que realizar un esfuerzo para promover investigadores clínicos y traslacionales, aumentando el número de profesionales con experiencia en las enfermedades ND dentro de campos como la economía de la salud, estadística, biología computacional y bioinformática. Con el fin de garantizar que la excelencia en el campo de la atención sanitaria y social se establece sobre una base más amplia en toda Europa, se podrían crear nodos de investigación que apoyen el estudio y la evaluación de las vías de las intervenciones, servicios y atención.
 - **Educación y capacitación:** El asesoramiento a los pacientes con enfermedades ND por los diferentes profesionales de la salud y la atención social, debe basarse en una buena comprensión de la enfermedad, las necesidades especiales de los pacientes con estas condiciones y las opciones de tratamientos basados en la evidencia. Con el fin de lograr este objetivo, deberán adecuarse programas de formación en investigación clínica, que logren incorporar una cultura de investigación en todos los ámbitos de la atención sanitaria y social. Paralelamente, surge la necesidad de promover mensajes de salud pública que ayuden a mitigar los factores de riesgo de las enfermedades ND y que están asociados con un estilo de vida poco saludable. Dichos mensajes deberán estar respaldados por la investigación acerca de cual es el mejor procedimiento para lograr un cambio de comportamiento a nivel de población.
- 

- **Conexión con los responsables políticos:** El JPND proporcionará un marco a través del cual se podrán detectar y definir temas relevantes a tener en consideración por las políticas nacionales, las cuales deberán fomentar la compatibilidad entre los programas nacionales de investigación de los diferentes países. Deben abordarse dos lagunas existentes actualmente en las políticas de investigación de las enfermedades ND; en primer lugar, la aplicación de nuevas tecnologías en áreas como la telemedicina, la vida asistida cotidiana o en la prestación de servicios, y en segundo lugar, en la traslación e implementación eficaz de resultados de la investigación en las políticas de salud pública.
- **Comunicación y difusión:** Para una traducción efectiva a la política y a la práctica, la agenda de investigación debe conectarse y trabajar con un amplio rango de sectores. JPND se asegurará de que todas las comunidades interesadas están bien informados sobre la investigación más actual de las enfermedades ND y sus resultados, aumentando la sensibilización y apoyo a la investigación entre las autoridades responsables, los pacientes, las organizaciones de pacientes y cuidadores y el público. Esto también debería ayudar a aumentar la participación en la investigación y a reducir el estigma asociado a las ND.

3. Lanzamiento de la estrategia de investigación

La estrategia de investigación proporciona un marco de oportunidades para los países involucrados en el JPND y dispuestos a participar en acciones conjuntas, que se llevará a cabo mediante actividades de cooperación que alineen la financiación y programación nacional de los diferentes países, con el objetivo de lograr un mayor impacto así como la provisión de nuevos fondos. Un principio rector de su puesta en marcha será el apoyo a una investigación de excelencia y máxima calidad.

4. Resumen

El JPND constituye un ejemplo pionero de programación conjunta para el fomento de la investigación en el seno de la Unión Europea destinado a grandes desafíos científicos que necesiten una respuesta que supere la capacidad de un país, basándose en la alineación de los Programas Nacionales de Investigación dedicados a dichos desafíos. Este documento expone la visión común de los 24 países europeos participantes, y ofrece un enfoque estratégico para apoyar la investigación a nivel mundial con el fin de que se puedan aprovechar nuevas oportunidades científicas, superar las barreras que frenen el progreso, y ofrecer nuevas ideas para la prevención, intervención y atención de las enfermedades ND. Las recomendaciones incluidas en la Estrategia de Investigación abordan el espectro completo de la investigación y están orientadas a lograr la creación de impacto y el reconocimiento del importante papel que juegan otros grupos de interés en el desarrollo de este programa. El objetivo último es desarrollar programas de investigación que puedan trasladarse a la práctica clínica mejorando la salud y el bienestar de los pacientes con enfermedades ND así como el de sus familias y cuidadores, aportando a su vez beneficios económicos y sociales en toda la Unión Europea.