



MEDIDAS EXTRAORDINARIAS, enfermedades raras, bioética e industria farmacéutica

Javier González de Dios

Jefe de Servicio de Pediatría. Hospital General Universitario Dr. Balmis
Profesor Facultad Medicina Universidad "Miguel Hernández". Alicante

Cinefórum Facultad Farmacia. Universidad Albacete

Alicante, 13 de febrero 2026

13-02-2026
VIERNES

LUGAR:
**MEDIATECA
(SALON DE ACTOS) I
FACULTAD FARMACIA**

HORARIO:
9:00 H

ORGANIZACIÓN: ÁREA DE LEGISLACIÓN,
GESTIÓN Y PLANIFICACIÓN FARMACÉUTICA



MEDICAMENTOS HUERFANOS: ETICA Y ENSAYOS CLINICOS

**ESTUDIO DE CASO:
LA ENFERMEDAD
DE POMPE**

JAVIER GONZALEZ DE DIOS
Jefe de Servicio de Pediatría en
Hospital General Universitario de
Alicante

JOSE VALDES RODRIGUEZ
Pediatra



CINEFORUM DEBATE

21-02-2024
MIÉRCOLES

LUGAR:
MEDIATECA
(SALON DE ACTOS) I
FACULTAD FARMACIA

HORARIO:
9:00 H

ORGANIZACIÓN: ÁREA DE LEGISLACIÓN,
GESTIÓN Y PLANIFICACIÓN FARMACÉUTICA


**Universidad de
Castilla-La Mancha**


**NUEVAS TERAPIAS
Y ENFERMEDADES
RARAS**

ESTUDIO DE CASO:
ADRENOLEUCODISTROFIA

JAVIER GONZALEZ DE DIOS
Jefe de Servicio de Pediatría en
Hospital General Universitario de
Alicante

FÉLIX NOTARIO HERRERO
Pediatra y presidente SEMA



**CINEFORUM
DEBATE**

2024

14-02-2025
VIERNES

LUGAR:
MEDIATECA
(SALON DE ACTOS) I
FACULTAD FARMACIA

HORARIO:
9:00 H

ORGANIZACIÓN: ÁREA DE LEGISLACIÓN,
GESTIÓN Y PLANIFICACIÓN FARMACÉUTICA


**Universidad de
Castilla-La Mancha**


**INVESTIGACION
CLINICA Y
AUTONOMIA DEL
PACIENTE**

ESTUDIO DE CASO:
VIH Y LA LUCHA POR
SU TRATAMIENTO

JAVIER GONZALEZ DE DIOS
Jefe de Servicio de Pediatría en
Hospital General Universitario de
Alicante

JOSE VALDES RODRIGUEZ
Pediatra



**CINEFORUM
DEBATE**

2025

Claves de la Observación narrativa

Ficha técnica

1. PREFIGURACIÓN: el ANTES de ver la película

2. CONFIGURACIÓN: el DURANTE el visionado de la película

Análisis de la enfermedad, de los personajes, del abordaje argumental

3. REFIGURACIÓN: el DESPUÉS de ver la película

Emociones y reflexiones. Temas a debate



Cine fórum en el aula



Ficha técnica

Título: ***Medidas extraordinarias***

Título original: *Extraordinary Measures*

Dirección: Tom Vaughan

País: Estados Unidos. Año: 2010

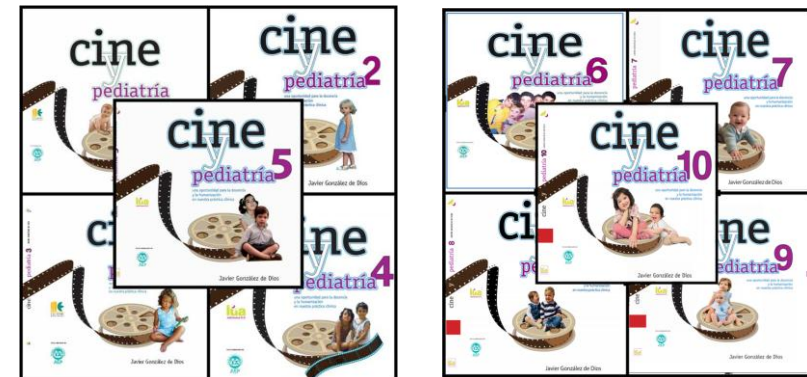
Duración: 105 min. Género: Drama basado en hechos reales

Reparto: Brendan Fraser, Harrison Ford, Keri Russell





PREFIGURACIÓN



Sobre las enfermedades raras (ER)

- **Definición**

- En la UE se considera enfermedad rara aquella cuya prevalencia es inferior a 5 casos por cada 10 000 habitantes (concepto relativo)
- En USA si afecta menos de 200.000 hab. en el mundo (concepto absoluto)

- **Tipo de enfermedades**

- Se estima la existencia de unas 6.000–8.000 enfermedades raras distintas, la mayoría de origen genético y la mayoría aparecen en la infancia (3 de cada 4)
- Afecta a todos los órganos y sistemas

- **Prevalencia**

- Afecta al 6-9% de la población
- Raras... pero muy frecuentes: 1 de cada 15 personas tendrá una ER



Sobre los medicamentos huérfanos (MH)

- **Definición**

- Aquel destinado al diagnóstico, prevención o tratamiento de una ER, para la que el mercado sería insuficiente para recuperar la inversión sin incentivos específicos

- **Regulación**

- En la UE el marco principal es el Reglamento (CE) nº 141/2000, que establece el procedimiento de designación de medicamento huérfano y los incentivos asociados
- Entre los incentivos regulatorios destacan: exclusividad comercial durante 10 años (ampliable a 12 si se obtienen datos pediátricos), tasas reducidas o exenciones, asesoramiento científico específico y ciertas ayudas financieras para el desarrollo clínico

- **Estados de la investigación**

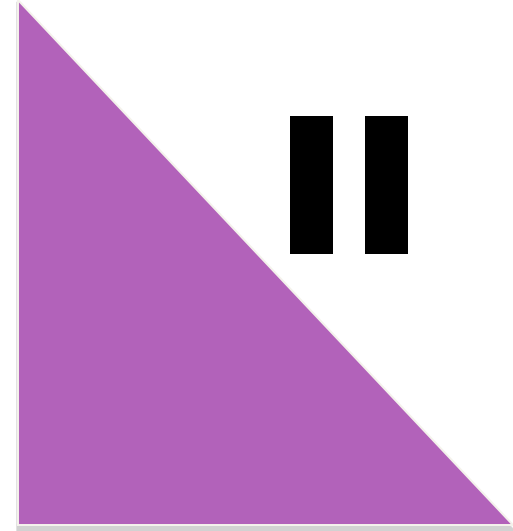
- Se apoya en redes supranacionales y programas específicos (ej. Horizonte Europa). España buena actividad al respecto



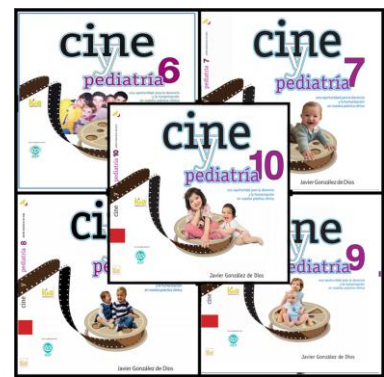
Sobre la película *"Medidas extraordinarias"*

- **Historia basada en hechos reales**
 - John Crowley y su esposa Aileen, quienes lucharon por salvar la vida de dos de sus tres hijos, afectos de una enfermedad degenerativa, invalidante y mortal: enf. Pompe
- **Del libro al cine**
 - "The Cure: How a Father Raised \$ 100 million - And Bicked The Medical Establishment-in a Quest to Save His Children", escrito por Geeta Anand (Premio Pulitzer)
- **Producción**
 - Harrison Ford quedó cautivado por la historia y se lo comentó a la productora "Double Feature Films", especializada en una serie de películas de éxito inspiradas en temas de la vida real: "Erin Brockovich" (Steven Soderbergh, 2000), "World Trade Center "(Oliver Stone, 2006) y "Diarios de la calle" (Richard LaGravenese, 2007)





CONFIGURACIÓN





Análisis de los personajes

- **Inspirada en hechos reales**
- **John Crowley** (Brendan Fraser)
 - Ejecutivo de marketing con tres hijos, los dos menores afectados de enf. Pompe
 - Junto a su esposa Aileen (Keri Russell) se convierte en “intrusos benefactores”, en busca de una solución terapéutica para sus hijos que fallecerán antes de los 10 años
- **Robert Stonehill** (Harrison Ford)
 - Científico excéntrico en Nebraska que investiga una posible terapia enzimática, pero carece de financiación y apoyo institucional

“Yo investigo, hijo, no veo pacientes... La Universidad de Nebraska paga más en un año a su entrenador de fútbol que todo mi presupuesto científico”



- **Megan** (Meredith Droeger) y **Patrick** (Diego Velázquez)

- Dos niños, de 8 y 6 años, afectados de enfermedad de Pompe, a cuyos padres se les dijo que poco se podía hacer, que no había cura y que la velocidad de la investigación científica era lenta, demasiado lenta para la familia

“Megan está muy grave y le queda poco tiempo. Piensen que será una bendición para ella”, les dice un doctor

- **Otros familiares de afectos**

“No puedo explicarles lo que para nuestra familia significa que trabajen para un posible medicamento para nuestros hijos”, dice un padre de una familia con hijos afectados

Dos hombres con una misión: uno salvar a su familia, el otro probar que está en lo cierto; dos hombres en contra del sistema



Análisis de la enfermedad de Pompe

- **Definición**

- Glucogenosis tipo II, AR, causada por déficit de la enzima lisosomal alfa-glucosidasa ácida, que lleva a acumulación de glucógeno en músculo esquelético y cardíaco

- **Clínica**

- Forma infantil: hipotonía grave, debilidad proximal, cardiomiopatía hipertrófica, dificultad respiratoria y de alimentación. Forma tardía: miopatía de cinturas e insuficiencia respiratoria progresiva

- **Diagnóstico**

- Actividad reducida de la enzima en sangre o fibroblastos y confirmación del gen GAA

- **Tratamiento**

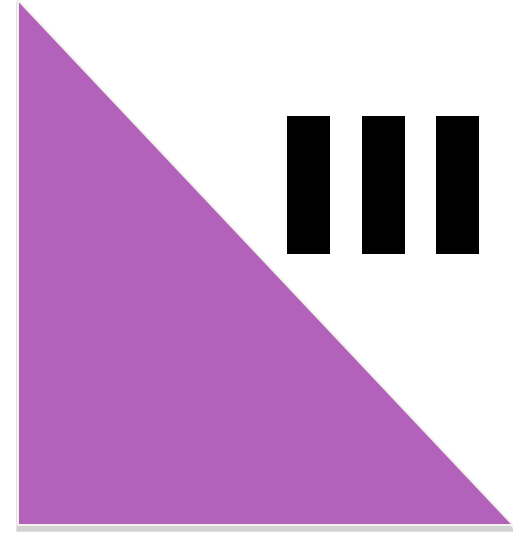
- Terapia de reemplazo enzimático con alfa-glucosidasa ácida recombinante. Tto soporte



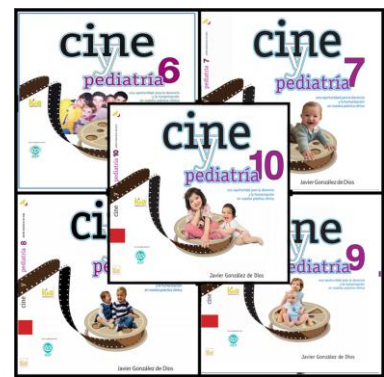
Análisis argumental

- **Exposición cronológica de los hechos**
 - John y Aileen Crowley no se conforman con la falta de solución para sus hijos
 - John localiza a Robert Stonehill, abandona su carrera, organiza campañas de recaudación y crea una empresa biotecnológica para desarrollar el fármaco y llevarlo a ensayo clínico
 - La compañía entra en conflicto con inversores y con una gran farmacéutica, que prioriza la viabilidad comercial y los tiempos regulatorios frente a la urgencia vital de los niños
 - Para evitar conflicto de interés, John acaba siendo despedido de su propia empresa, lo que permite incluir a sus hijos en el ensayo clínico
 - La película cierra con signos de respuesta al tratamiento enzimático





REFIGURACIÓN



Temas para el debate

a) Enfermedades raras y medicamentos huérfanos

- Visibiliza la realidad de las enfermedades raras, con escasa oferta terapéutica y fuerte presión de las familias para conseguir opciones de tratamiento
- Permite introducir el marco regulatorio de los medicamentos huérfanos (incentivos, exclusividad de mercado, necesidad de demostrar beneficio clínico con poblaciones pequeñas)

b) I+D del medicamento: del laboratorio al paciente

- Etapas básicas del desarrollo: investigación preclínica, creación de biotec, búsqueda de capital riesgo, acuerdos con big pharma y diseño de ensayos clínicos
- La película simplifica el proceso, pero sirve para discutir requisitos reales de calidad, seguridad, eficacia y regulación (FDA/EMA) en terapias avanzadas y biológicos



c) Relación entre ciencia, industria y finanzas

- La tensión entre el ideal científico de Stonehill, la necesidad de rentabilidad de la farmacéutica y el interés vital de las familias ilustra el triángulo ciencia–negocio–paciente
- Útil para debatir precios de medicamentos huérfanos, retorno de la inversión, desigualdades de acceso y decisiones de cartera de productos en la industria

d) Bioética y ensayos clínicos

- Plantea conflictos: prioridad de inclusión de ciertos pacientes, presión emocional de los padres, riesgo de decisiones precipitadas y el papel de los comités éticos
- El conflicto de interés de John, trabajando en la empresa y queriendo incluir a sus hijos, ilustra la importancia de la independencia y de las normas de buena práctica clínica



e) Trabajo interdisciplinario y rol del farmacéutico

- e) Se percibe la necesidad de colaboración entre familias, investigadores básicos, clínicos, biotecnólogos, reguladores y gestores
- Permite enfatizar el papel del farmacéutico en el desarrollo, evaluación crítica, uso racional, farmacovigilancia y educación a pacientes en medicamentos huérfanos y de alto impacto





MEDIDAS EXTRAORDINARIAS, enfermedades raras, bioética e industria farmacéutica

Javier González de Dios

Correo-e: javier.gonzalezdedios@gmail.com

Cinefórum Facultad Farmacia. Universidad Albacete

Alicante, 13 de febrero 2026