



TERAPIAS AVANZADAS, LA GRAN PRUEBA DE LA INNOVACIÓN BIOMÉDICA

Las terapias avanzadas han dejado de ser una promesa lejana para convertirse en uno de los principales focos de la innovación biomédica. Su verdadero desafío, sin embargo, ya no reside sólo en la ciencia, sino también en demostrar evidencia robusta, fabricar con reproducibilidad, escalar sin perder calidad, navegar marcos regulatorios complejos y construir modelos de acceso sostenibles.

MARISA BERENGUER,
CEO de Farmalider y de IDEA Tx.



Con las terapias avanzadas cambia el punto de partida. Durante décadas, gran parte de la innovación terapéutica se ha basado en comprender la fisiopatología, identificar una diana y modularla. Ese modelo ha sido extraordinariamente valioso y ha transformado la historia natural de muchas enfermedades.

No buscan sólo compensar un fallo biológico de forma crónica, sino intervenir de manera más profunda: corregir, restaurar o reprogramar funciones biológicas. En algunos

casos, además, con efectos potencialmente duraderos tras una o pocas administraciones. Por eso generan tanta expectativa. Pero precisamente por eso también exigen un nivel de rigor, coordinación y responsabilidad todavía mayor.

Aunque representan una de las áreas más prometedoras de la medicina actual, no debemos confundir potencial con resultado consolidado en el campo de las terapias avanzadas. Debemos reconocer el enorme valor



científico de estas tecnologías, pero también entender que su impacto real depende de cómo resolvemos cuestiones muy concretas: evidencia clínica, control de calidad, fabricación, regulación, acceso y seguimiento a largo plazo. Su potencial, por sí solo, no se traduce en beneficio clínico. Lo que realmente cambia la vida de los pacientes es una innovación capaz de convertirse en una práctica clínica segura, reproducible y accesible.

Hablamos de un campo en el que el desarrollo no avanza en línea recta. Ciencia, CMC, fabricación, regulación, red asistencial y acceso no son fases sucesivas que puedan resolverse por separado, sino piezas interdependientes que deben diseñarse casi en paralelo.

Por eso la fabricación no es una fase que llega después del desarrollo: forma parte del desarrollo desde el principio. La potencia, la identidad, la pureza, la viabilidad, la estabilidad o la seguridad no son variables accesorias; son atributos críticos que condicionan la viabilidad del producto. En este entorno, el proceso es parte del producto. Y eso obliga a integrar desde etapas muy tempranas la lógica científica con la lógica industrial, regulatoria y clínica.

Además, el producto no se define únicamente por su composición final, sino también por la forma en que se obtiene. En este ámbito, variables como el material de partida, la calidad biológica de las células, las condiciones de cultivo, la activación, la expansión, la modificación genética, la criopreservación o incluso el transporte pueden influir directamente en las propiedades funcionales del producto final.

Eso significa que cambios aparentemente menores en el proceso pueden alterar atributos críticos como la identidad, la potencia, la pureza, la viabilidad o la

reproducibilidad. De ahí que no baste con una hipótesis científica sólida: hay que demostrar que el proceso es capaz de generar un producto consistente a lo largo del desarrollo, del escalado y, cuando aplica, entre distintos centros de fabricación.

¿Y qué ocurre cuando llega el momento de industrializar? Ahí aparece otro de los grandes desafíos. Industrializar terapias avanzadas no es simplemente aumentar volumen. Es escalar sin perder aquello que hace valioso al producto. Y ese, probablemente, es uno de los puntos donde más se decide si una tecnología va a quedarse en una excelente prueba de concepto o va a convertirse en una realidad asistencial.

En terapias celulares y génicas hablamos de instalaciones especializadas, personal muy cualificado, sistemas de trazabilidad y control extremadamente exigentes y una logística mucho más delicada que la de muchos medicamentos convencionales. En terapias autólogas, además, la complejidad se multiplica porque cada lote puede equivaler a un paciente. En las alogénicas, el reto se desplaza más hacia la consistencia a gran escala, la logística y la robustez del suministro.

El verdadero salto no es solo pasar del laboratorio a la planta. Es conseguir que el paso del desarrollo a la atención sanitaria sea una transición controlada, fiable y sostenible.

Por otra parte, también debemos hablar de regulación. En el caso de España se ha avanzado mucho, pero todavía queda camino. Y creo que el equilibrio correcto no está en rebajar exigencia, sino en adaptar mejor los marcos a la naturaleza de estas tecnologías.

Las terapias avanzadas requieren una evaluación rigurosa porque intervienen en procesos biológicos complejos



y con implicaciones profundas para el paciente. Pero también necesitan vías que entiendan su especificidad, la progresividad de la evidencia y la necesidad de acompañar el desarrollo con instrumentos regulatorios que faciliten orientación temprana, coherencia y menor fragmentación.

Y, por supuesto, que faciliten el acceso una vez validado el tratamiento. En este sentido, lo primero es entender que, en terapias avanzadas, acceso no significa solo financiación. Significa que el paciente adecuado pueda ser identificado a tiempo, derivado con agilidad, evaluado con criterios homogéneos y tratado en un centro con capacidad real para administrar la terapia y hacer su seguimiento.

Hoy muchas de las barreras no están solo en el precio, sino en la fragmentación. Fragmentación regulatoria, desigualdad en capacidades industriales, concentración de centros expertos, diferencias en diagnóstico y derivación, y circuitos administrativos que siguen siendo demasiado lentos para terapias cuyo tiempo puede ser decisivo.

Además, en muchas patologías, especialmente en enfermedades complejas o raras, la accesibilidad empieza incluso antes del tratamiento: en el diagnóstico precoz, en la identificación del paciente candidato, en la existencia de redes expertas y en la posibilidad de derivar sin fricción a centros preparados, aunque estén fuera del entorno inmediato del paciente. En este contexto, el reto no es solo financiar la innovación, sino construir un recorrido integral, clínico y organizativo, con una visión que combine capacidad local y cooperación global.

España ya ocupa una posición relevante en terapias avanzadas, y hoy esa afirmación puede sostenerse con datos oficiales. La AEMPS señaló en enero de 2025 que España fue líder europeo en investigación con medicamentos de terapia avanzada, con 52 ensayos autorizados en 2024. Además, el Ministerio de Sanidad aprobó el 4 de julio de 2025 el Plan 2025–2028 de Terapias Avanzadas en el SNS, que amplía el enfoque a todos los medicamentos de terapia avanzada y refuerza la equidad, la eficiencia y la sostenibilidad del sistema.

La oportunidad real, por tanto, no está sólo en seguir investigando, sino en transformar esa posición científica y asistencial en una ventaja estructural. España tiene ciencia, experiencia clínica, centros de referencia, capacidad de coordinación y un marco público que ya ha evolucionado desde un modelo centrado en CAR-T hacia un plan más amplio para todos los medicamentos de terapia avanzada.

El siguiente paso es consolidar esa fortaleza en toda la cadena de valor: más capacidad de traslación, más desarrollo industrial, más fabricación competitiva, más talento especializado y una colaboración público-privada realmente orientada a la ejecución. En otras palabras, la gran oportunidad de España es pasar de ser un país fuerte en investigación y en organización asistencial a ser también un país plenamente competitivo en escalado, desarrollo y acceso sostenible de terapias avanzadas.

Y para ello son importantes también el talento y la confianza. Porque en terapias avanzadas no basta con tener buena ciencia. Hace falta traducirla a desarrollo, fabricación, regulación, acceso y seguimiento clínico, y eso solo ocurre cuando existen equipos capaces de integrar disciplinas muy distintas.

Perfiles capaces de entender todos esos puntos de los que hemos hablado hasta ahora: biología, ingeniería, calidad, fabricación, regulación, datos, logística y acceso. Y junto al talento, también hace falta confianza: científica, regulatoria, social y también confianza del paciente.

Cuanto mayor es el potencial transformador de una tecnología, mayor tiene que ser la exigencia ética en cómo se comunica y desarrolla. Necesitamos prudencia, transparencia y una comunicación basada en evidencia, no en exageración. La confianza no se construye amplificando expectativas, sino demostrando que el sistema sabe desarrollar estas terapias con rigor, explicarlas con honestidad y sostenerlas con responsabilidad.

En definitiva, debemos convertir esta promesa científica extraordinaria en una realidad sanitaria accesible, segura y sostenible.

La gran oportunidad no es solo desarrollar terapias más sofisticadas. Es conseguir que esa sofisticación se traduzca en impacto clínico real, en confianza social y en sistemas sanitarios preparados para incorporar una innovación de esta magnitud. Porque la medicina no cambia de verdad cuando una tecnología deslumbra, sino cuando llega, funciona y mejora la vida de las personas.

Las terapias avanzadas pueden cambiar la manera en que entendemos y tratamos muchas enfermedades, pero su verdadero valor no se medirá sólo por lo que son capaces de hacer en el laboratorio, sino por nuestra capacidad de demostrarlo con evidencia, fabricarlo con consistencia, regularlo con inteligencia, hacerlo accesible con equidad y sostenerlo con responsabilidad. Ese es, en el fondo, el gran reto de esta década.