



De la realidad al cine y del cine a la biotecnología

Elena Schrodinger Jiménez Gallardo
y Ricardo Martín Castro Acosta

Resumen

La pandemia de COVID-19 acercó la biotecnología al público en general, mostrando su papel crucial en el desarrollo de vacunas y tratamientos innovadores. Sin embargo, su impacto va mucho más allá de esta crisis sanitaria. La película ***Extraordinary Measures*** relata la historia real de John Crowley, quien, tras el diagnóstico de la enfermedad de Pompe en dos de sus hijos, impulsó el desarrollo de una terapia de reemplazo enzimático. Gracias a la producción biotecnológica de la enzima alfa-glucosidasa en cultivos celulares, fue posible ofrecer un tratamiento que cambió el pronóstico de esta enfermedad genética rara. El proceso implicó investigación, ensayos

preclínicos y fases clínicas rigurosas. Esta historia demuestra que la biotecnología no solo es una ciencia avanzada, sino también una herramienta concreta de esperanza y transformación social.

La industria farmacéutica -todo aquello que trabaja con moléculas de síntesis, extractos, compuestos químicos- y su hermana más joven, la industria biofarmacéutica, han sido pilares fundamentales en la historia de la humanidad. Al igual que la alimentación y la energía, que forman parte de lo que sostiene literalmente nuestra vida. Sin embargo, seamos honestos: muchos no dimensionamos su impacto real hasta que llegó la pandemia de COVID-19.

No hablo por todos, desde luego. Quienes ya estábamos involucrados conocíamos el alcance de la ciencia y la versatilidad de estas herramientas. Pero para millones de personas, aquel fue el primer contacto cercano con términos como “ARN mensajero”, “anticuerpos monoclonales” o “vacunas recombinantes”. De pronto, la biotecnología dejó de ser un concepto lejano para convertirse en una palabra cotidiana.

Aunque la industria farmacéutica tradicional ya ocupaba un lugar en el imaginario colectivo, la biotecnología seguía siendo, para muchos, una desconocida. Hoy, incluso en países como México, suele generar temor y confusión — incluso dentro del propio sector salud — por considerarse “demasiado compleja”. Sin embargo, ese halo misterioso forma parte de su belleza. Dejaremos la complejidad técnica para otra ocasión, en este

texto queremos abrir una ventana accesible a su impacto humano, a través de una historia que combina ciencia, emprendimiento, familia y esperanza.

El COVID-19 puso a la biotecnología en el centro de la conversación global. Noticias, periódicos, redes sociales dieron espacio a científicas y científicos para explicar, con claridad y urgencia, qué es y qué logra la biotecnología. ¿Qué estamos haciendo con ella? ¿Cuándo estarán listas las vacunas? ¿Qué tan efectivas serán?

La pandemia despertó una curiosidad colectiva por esta disciplina, pero eso apenas fue la superficie de algo más profundo. Pero, hay que decirlo: eso fue apenas la punta del iceberg. Podríamos hablar extensamente sobre vacunas, pero hoy queremos recorrer otro camino: una historia real que no solo une ciencia e innovación, sino también esperanza, amor y lucha. Un caso real que llegó hasta la pantalla grande con una fuerza conmovedora -y ojalá algunos de ustedes ya la hayan visto; si no, aquí se la contamos. Se trata de **Extraordinary Measures** (Medidas extraordinarias).

Basada en hechos reales, **Extraordinary Measures** (2010), protagonizada por Brendan Fraser y Harrison Ford, narra cómo la vida de John Crowley, un ejecutivo farmacéutico, da un giro radical cuando dos de sus tres hijos son diagnosticados con la enfermedad de Pompe. Esta condición genética, extremadamente rara, afecta principalmente a los músculos y al corazón, debilitándolos de forma progresiva hasta que dejan de funcionar. Sin tratamiento, puede ser mortal.

Aunque durante años se pensó que afectaba a 1 de cada 40,000 nacimientos, estudios recientes muestran que su prevalencia real podría ser mucho mayor: aproximadamente 1 de cada 18,711 nacimientos en el mundo, es decir, unos 5.3 casos por cada 100,000 personas (Colburn y Lapidus, 2024).

Una solución biotecnológica que devolvió la esperanza

En ese momento (hablamos de principios de la década de los 2000, específicamente entre 2003 y 2005) no existía un tratamiento eficaz para cambiar el curso de la enfermedad de Pompe. Los médicos solo podían ofrecer cuidados paliativos: fisioterapia, soporte respiratorio, y nutrición especializada. Estas medidas ayudaron a mejorar la calidad de vida, pero no podían detener la progresión ni evitar el desenlace fatal de la enfermedad.

John Crowley, al enfrentarse al diagnóstico de sus dos hijos menores, Megan y Patrick, ambos con la forma infantil severa de la enfermedad, decidió dejar su trabajo y fundar una empresa biotecnológica. Su objetivo era claro: acelerar el desarrollo de un tratamiento que les salvara la vida. Fue así cómo se alió con el Dr. Robert Stonehill -personaje ficticio basado en el científico William Canfield-, quien llevaba años investigando la enzima alfa-glucosidasa, la misma que el cuerpo necesita para degradar el glucógeno. En pacientes con Pompe, esta enzima es deficiente o no funcional, lo que provoca una acumulación tóxica de glucógeno en los te-

idos, especialmente en el músculo y el corazón. Esa acumulación progresiva es la que causa daño severo y, eventualmente, la falla de múltiples órganos.

Gracias a la biotecnología, fue posible producir esa enzima en células CHO (*Chinese Hamster Ovary*, por sus siglas en inglés), auténticos “caballitos de batalla” de la industria biotecnológica, junto con otras líneas celulares como HEK o NS0. Una vez purificada, la enzima podía administrarse a los pacientes como tratamiento. Este enfoque se conoce como terapia de reemplazo enzimático (ERT, por sus siglas en inglés).

Y es importante decirlo: no era una versión artificial, sino la misma enzima natural, biológicamente idéntica a la humana, fabricada con precisión y bajo estrictos estándares en el laboratorio. Aunque esta estrategia terapéutica era muy prometedora, el camino estaba lejos de ser sencillo. Antes de que pudiera utilizarse en humanos, debía probarse en estudios rigurosos que confirmaron dos cosas: que funcionaba y que era segura. Así comenzó un largo y estructurado proceso de desarrollo preclínico y clínico que marcaría un antes y un después en la historia de la medicina biotecnológica.

¿Cómo llega una molécula del laboratorio al paciente?

Antes de decirles cómo proseguía la historia, primero tenemos que contarles cómo es que una molécula biotecnológica se convierte en un medicamento aprobado,

y para ello se requiere un proceso riguroso que puede durar entre 10 y 15 años —a veces puede durar menos, pero depende de muchas cuestiones— y puede costar muchos millones de dólares —incluso miles de millones de dólares—.

Etapas clave del desarrollo:

1. Investigación y descubrimiento: Identificación de la molécula —en el caso de la película, la enzima alfa glucosidasa, GAA— y desarrollo del sistema de producción de cultivos celulares
2. Desarrollo preclínico: en donde buscamos demostrar que el producto va a ser seguro y no tóxico para ser usado en humanos -se realizan pruebas in vitro y en modelos animales (ratos modificados para imitar Pompe, incluso perros o primates), que evalúan seguridad, toxicidad, metabolismo y eficacia en función muscular-
3. Ensayos clínicos humanos (Kandi y Vadakedath, 2023):
 - Fase 0: microdosis (dosis muy muy pequeñas) en 10-15 voluntarios para ver comportamiento sin eficacia terapéutica.
 - Fase I: 20-100 personas sanas o, en ciertos casos, pacientes, para estudiar la seguridad y la dosificación.
 - Fase II: 100-300 pacientes con la enfermedad; se evalúan la eficacia inicial y los efectos adversos.

- Fase III: de cientos a miles de pacientes (500-3,000+), se compara con tratamientos existentes o placebo, se demuestra eficacia y se monitorean efectos raros.
- Fase IV (poscomercialización): vigilancia de seguridad a largo plazo en la población general.

Esperanza, ciencia y humanidad

Lo que vivieron Crowley y Stonehill no fue solo una historia de ciencia; fue una historia de amor desesperado, coraje inquebrantable y fe contra la adversidad. Cuando la muerte acechaba a sus hijos, lo arriesgaron todo: tiempo, dinero, estabilidad, reputación. Y no se detuvieron. Lo que comenzó como una lucha personal terminó por convertirse en una esperanza global.

Porque la biotecnología no es solo tubos de ensayo, proteínas y genes. Es también una madre sosteniendo la mano de su hija que por fin respira sin ayuda. Es un niño que puede levantarse y caminar. Es una familia que vuelve a hacer planes. Que vuelve a soñar.

En cada dosis de **alglucosidasa alfa** —el principio activo de *Myozyme* y *Lumizyme*— se concentra el trabajo de cientos de científicos, reguladores, clínicos, fabricantes, cuidadores y donantes. Hay años de ensayo y error, decisiones difíciles, noches sin dormir. Hay fracasos, ajustes, reintentos. Y hay vidas salvadas.

Extraordinary Measures nos recuerda que la biotecnología no es solo ciencia de frontera. Es, ante todo, **esperanza aplicada**. Una prueba de que lo imposible puede alcanzarse cuando la ciencia se encuentra con la voluntad. Con humanidad.

Gracias a esa enzima recombinante, niños con la forma infantil de Pompe —que antes no superaban los dos años de vida— hoy asisten a la escuela, aprenden a leer, respiran sin asistencia y celebran cumpleaños que antes nunca habrían llegado (World Pompe Organization, 2006).

Referencias

Colburn R., Lapidus D. (2024). An Analysis of Pompe newborn screening data: a new prevalence at birth, insight and discussion. *Frontiers in Pediatrics*, 11, 2023.

Kandi V, Vadakedath S (February 16, 2023) Clinical Trials and Clinical Research: A Comprehensive Review. *Cureus* 15(2).

<https://worldpompe.org/archive/170-myozyme-approved-in-the-us/>

Dra. Elena Schrodinger Jiménez Gallardo.

Es médica especialista en Audiología, Otoneurología y Foniatría, con Alta Especialidad en Procesos Centrales de la Audición por el Instituto Nacional de Rehabilitación. Cuenta con experien-

cia en el diagnóstico y manejo integral de trastornos auditivos periféricos y centrales, alteraciones del equilibrio y problemas de la comunicación humana, sustentando su práctica en evidencia científica y tecnología diagnóstica avanzada. Su ejercicio profesional se distingue por un enfoque preciso, integral y humano, orientado a ofrecer diagnóstico oportuno y tratamiento individualizado para mejorar la calidad de vida de sus pacientes.

Dr. Ricardo Martín Castro Acosta es un experto en biotecnología con amplia experiencia en el desarrollo y evaluación de medicamentos biotecnológicos, así como en la conducción de estrategias regulatorias para su registro y comercialización en México y Latinoamérica. Ha colaborado activamente en comités científicos y foros académicos relacionados con la Farmacopea y la regulación de productos biotecnológicos, contribuyendo al fortalecimiento técnico del sector. Su perfil combina una sólida formación científica con visión estratégica, orientada a la innovación responsable y al acceso oportuno a terapias de alta especialidad. Asimismo, impulsa la divulgación científica como un puente entre la biotecnología, la regulación sanitaria y la sociedad.

DIRECTORIO

Universidad Nacional Autónoma de México

Dr. Leonardo Lomelí Vanegas

Rector

Dra. Patricia Dolores Dávila Aranda

Secretaria General

Mtro. Hugo Concha Cantú

Abogado General

Mtro. Tomás Humberto Rubio Pérez

Secretario Administrativo

Dra. Diana Tamara Martínez Ruiz

Secretaria de Desarrollo Institucional

Lic. Raúl Arcenio Aguilar Tamayo

Secretario de Prevención, Atención y Seguridad

Universitaria

Facultad de Estudios Superiores Aragón

Dra. Araceli Romo Cabrera

Directora

Mtro. Manuel Silva Sánchez

Secretario General

Ing. Juan Carlos Ortiz León

Encargado del despacho de la Secretaría

Administrativa

Ing. Alexis Samp Pedro Pinto

Secretario Académico

Dra. María Magdalena Sarraute Requesens

Coordinadora de la Cátedra UNESCO Universidad e

Integración Regional, Sede México-FES Aragón, UNAM

Lic. Celia Ivonne Aguayo Morales

Responsable de Publicaciones

PaCiencia Pa'Todos, Año 10, No. 19, Enero-Junio de 2026, es una publicación semestral editada por la Universidad Nacional Autónoma de México, Ciudad Universitaria, Alcaldía Coyoacán, C.P. 04510, Ciudad de México, a través de la Facultad de Estudios Superiores Aragón, Av. Universidad Nacional s/n, Col. Impulsora, Nezahualcóyotl, Estado de México, C.P. 57130. Tel. 55 5817 34 78 ext. 1021

URL: <https://publicaciones.aragon.unam.mx/ojs/index.php/Paciencia>

Correo electrónico: pa.ciencia.pa.todos2020@gmail.com

Editora responsable: Dra. María Andrea Trejo Márquez. Certificado de Reserva de Derechos de Autor 04-2023-070613182400-102, ISSN: 3061-8460, ambos otorgados por el Instituto Nacional del Derecho de Autor. Responsable de la última actualización de este número, Dra. María Andrea Trejo Márquez, fecha de última modificación: 1 de abril de 2026.

El contenido de los artículos es responsabilidad de los autores y no refleja necesariamente el punto de vista de los árbitros ni del Editor o de la UNAM.

Se autoriza la reproducción de los artículos (no así de las imágenes) con la condición de citar la fuente completa y la dirección electrónica de la publicación.



Atribución-No Comercial-Sin Derivadas

Permite a otros solo descargar la obra y compartirla con otros siempre y cuando se otorgue el crédito del autor correspondiente y de la publicación; no se permite cambiarlo de forma alguna ni usarlo comercialmente.

PaCiencia Pa'Todos

Cátedra UNESCO Universidad e Integración Regional

Dr. Axel Didriksson Takayanagui
Coordinador General

Coordinadores/as de Sede
Dra. María Magdalena Sarraute
Requesens, FES Aragón-UNAM

Dr. Damián Del Valle, Universidad
Nacional de las Artes, Argentina

Dra. Daniela Perrotta, Universidad
Nacional de las Artes, Argentina

Dr. Andrés Felipe Mora, Universidad
Nacional de Colombia

Dra. Célia Elizabete Caregnato
Universidad Federal de Rio Grande Do
Sul, Brasil

Dra. Carmen Caamaño Morúa
Universidad de Costa Rica

Dra. Carmen Márquez
Universidad Autónoma de Madrid

#

¡CiΣntástico!



NO TE PIERDAS NINGÚN AVANCE!



@paciencia_patodos



@paciencia_patodos



@paciencia_patodos



PaCiencia Pa'Todos

Únete a nuestra comunidad científica en nuestras redes sociales y sé parte de descubrimientos fascinantes! Síguenos para estar al tanto de las últimas noticias, eventos y contenido exclusivo.

