

Lo que se debe saber de los ensayos clínicos

Resumen de la ponencia de Amelia Martín Uranga

La aprobación de un medicamento es un proceso muy largo de entre 10 y 13 años, muy complejo y muy costoso, alrededor de 2.500 millones de euros.

En este momento en el mundo hay unos 8.000 medicamentos en investigación y menos del 8% de estos llegan a ser un fármaco.

Los proyectos que ahora están en curso de aprobación son principalmente medicamentos orientados a tratar el cáncer, inmunología, neurología, sistema digestivo y enfermedades infecciosas. En 2021 se aprobaron 54 nuevos medicamentos por la Agencia Europea del Medicamento y un dato interesante es que de esos 54 nuevos medicamentos, un 35% son medicamentos huérfanos, es decir, medicamentos para enfermedades minoritarias.

¿Cómo es el proceso de aprobación de nuevos fármacos?

El proceso de aprobación del medicamento tiene dos fases principales y diferenciadas, la de Investigación y la de desarrollo.

Investigación

La fase de Investigación se realiza durante un periodo que puede durar entre 5 y 7 años.

En esta fase se estudian enfermedades y se seleccionan los compuestos que realmente van a ser eficientes en el tratamiento farmacológico,

y de los 10.000 compuestos iniciales con los que se puede llegar a trabajar, acaban resultando al entorno de 250 que van a seguir en el proceso de fase clínica donde se testa con animales.

Aunque el uso de animales en esta fase clínica se ha minimizado y se han endurecido los criterios de bienestar animal en el laboratorio, sigue siendo una parte importante del proceso.

Desarrollo

La fase de desarrollo puede durar entre 6,5 y 9 años. Solo 5 de los 250 compuestos que entraron en la fase clínica pasan a desarrollo.

El desarrollo empieza una vez los órganos reguladores de medicamentos dan el visto bueno a los datos de la investigación con animales, y es la primera vez que el medicamento entra en contacto con personas voluntarias o pacientes.

Para iniciar este proceso es necesario que el proyecto haya sido supervisado por un comité de ética, y es necesario que haya un grupo de pacientes o voluntarios preparados para probar el medicamento. Es obligatorio también que a una parte del grupo se le administre placebo para comprobar la efectividad del fármaco.

En la FASE 1 se testa la seguridad del medicamento con un ensayo con decenas de personas con unos requisitos muy concretos, como estar bajo supervisión médica y tener un centro de urgencias cerca.



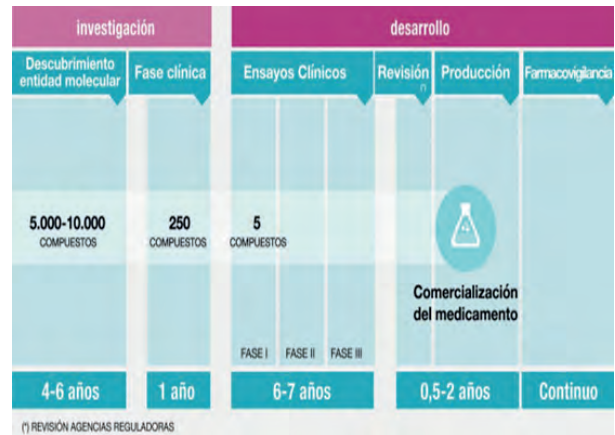
En la FASE 2 se testa el medicamento con cientos de pacientes en muchos centros distintos.

En la FASE 3 donde se mide seguridad, eficacia y dosis con miles de pacientes. Una vez realizados los ensayos, se produce el medicamento, se autoriza posteriormente su uso, y siempre se mantiene farmacovigilancia durante toda su vida en el mercado.

Siendo el proceso tan largo, ¿qué pasó con la vacuna de COVID-19?

Este es el proceso de aprobación de todos los medicamentos y vacunas que se suministran en nuestro país, y la excepción que hemos visto recientemente, la vacuna del COVID-19 que ha supuesto un gran reto y una revolución en este sistema.

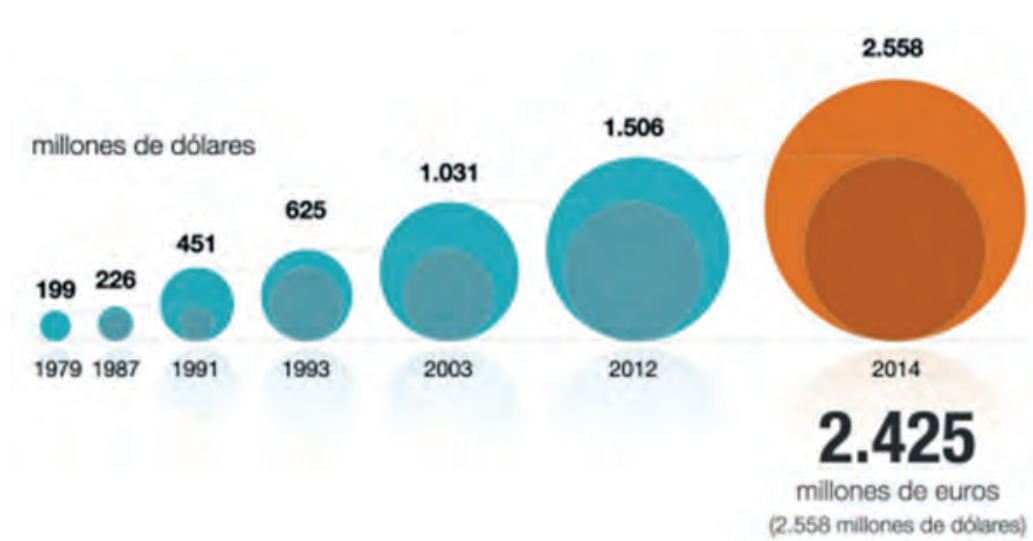
Es de esperar que los protocolos mejoren en un futuro cercano, sin comprometer la seguridad de los nuevos medicamentos que puedan aparecer, y que la crisis del COVID-19 nos haya dejado una parte positiva en este ámbito.



¿Cómo serán los fármacos del futuro?

Nos dirigimos a un momento de la historia en el que la ciencia avanza rápidamente y cada vez se desarrollan medicamentos más dirigidos a grupos poblacionales concretos y eso hace que dos personas con la misma enfermedad quizás no sean tratados con el mismo fármaco.

Personalizar la medicina supone un incremento en los costes, de manera que el coste de apro-



La ciencia biomédica se encuentra hoy en el umbral de una nueva frontera basada en el conocimiento de los genes y células



bación de un nuevo medicamento se ha multiplicado por 3 entre los años 1979 y 2014.

Uno de los factores que va a cambiar las bases de los nuevos medicamentos del futuro es la lectura completa del genoma humano y el desarrollo de la inteligencia artificial en relación a la digitalización y gestión de datos, que nos van a permitir dirigir mucho más los nuevos medicamentos a los futuros pacientes.

¿Estamos los pacientes a salvo si compartimos los datos de nuestra enfermedad?

Para dar respuesta a todos estos retos que nos plantea el futuro, también hay una gran proliferación de normativa en el ámbito de la protección de datos sanitarios, tanto en Europa como en España, con el objetivo de disponer y compartir suficientes datos para investigar e impulsar los fármacos del futuro, manteniendo la confidencialidad de sus propietarios.

Se dispone de un nuevo reglamento europeo de enero de 2022 que modifica los trá-

mites y las regulaciones a realizar, agiliza la velocidad de aprobación de medicamentos, protege a los pacientes que ponen sus datos a disposición de los investigadores y promueve la presencia de un porcentaje mayor de medicamentos huérfanos entre los medicamentos aprobados.

¿Qué importancia tiene la enfermedad renal genética entre los ensayos que se están realizando?

Actualmente hay en marcha más de 3.500 ensayos clínicos de nuevos medicamentos, y de estos, un 4,2% son de medicamentos huérfanos de enfermedades renales (medicamentos para enfermedades raras), en los que participan 174 hospitales españoles.

Accediendo a la página web del Registro español de Estudios Clínicos se puede consultar en todo momento los estudios que están en curso, y toda la información relacionada con el ensayo.