

RETOS EN LA REUTILIZACIÓN DE DATOS PARA LA INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA

IX Conferencia Anual de las Plataformas Tecnológicas de Investigación Biomédica

Barcelona, 15 de marzo de 2016

Pedro L. Sánchez
Director Departamento de Estudios
Farmaindustria

La reutilización de datos clínicos supone un reto a varios niveles

I+D

Evaluación Post-Regulatoria

Práctica Clínica

I+D

- Producto en fase de investigación
- Carácter previo a la salida al mercado
- Información sobre Eficacia, Seguridad, Calidad, etc.
- Procedimiento muy regulado, estandarizado y garantista

Reto:

¿Cómo reutilizar datos de I+D para mejorar la eficacia y la eficiencia de la investigación farmacéutica y para mejorar el acceso a los medicamentos: i) reduciendo plazos; ii) ahorrando recursos; iii) aumentando las probabilidades de éxito, ...?

Y hacerlo sin poner en riesgo las garantías del procedimiento de I+D farmacéutica

Práctica Clínica

- Producto en el mercado
- Datos asociados al comportamiento del producto en la práctica clínica real
- Datos de Efectividad
- Uso off-label, nuevas indicaciones, tipologías de pacientes, etc.

Reto:

¿Cómo asegurar que los datos recogidos en la práctica clínica en un determinado entorno se pueden re-utilizar para entender mejor las aportaciones / limitaciones de un medicamento en la vida real?

Y hacerlo salvaguardando la protección de datos de los pacientes y en un marco de análisis científico

Fase post-autorización, previa a comercialización

Evaluación Post-Regulatoria

- Producto aprobado pero no en el mercado o en fases tempranas de comercialización
- Datos de eficacia, seguridad, calidad
- Procedimiento menos reglado / menos estandarizado que el de autorización
- **Sólo cuestiones clínicas, dejando al margen cualquier consideración económica**

Reto:

¿Cómo conseguir que los resultados de las evaluaciones realizadas por una agencia / red de agencias puedan reutilizarse a nivel nacional / regional / local, para evitar evaluaciones recurrentes de lo ya evaluado?

Y hacerlo siguiendo una metodología de consenso y garantizando la independencia del evaluador

Fase post-autorización, previa a comercialización

La **falta de consistencia** entre evaluaciones llevadas a cabo por agencias nacionales de reconocido prestigio, sobre aspectos puramente clínicos de un nuevo medicamento, es **objeto de preocupación a nivel europeo**

Comparison of Product Evaluations and Reimbursement Price Achieved (launches from 2011-2013)

	 G-BA Rating ¹	 HAS ASMR Rating
Product #1	Considerable	Moderate
Product #2	Minor	Minor
Product #3	Not Quantifiable	Minor
Product #4	Not Quantifiable	Moderate
Product #5	Considerable	Minor
Product #6	Minor	Minor
Product #7	Not Quantifiable	Moderate
Product #8	Considerable	Minor
Product #9	Considerable	Moderate
Product #10	Minor	No add. benefit
Product #11	Minor	No add. benefit

¹ Rating is the final G-BA rating given after initial IQWiG assessment
Source: IMS Consulting Group analysis, GBA, ASNM

Fase post-autorización, previa a comercialización



eunetha

www.eunetha.eu

Fase post-autorización, previa a comercialización

EUnetHTA es una **red** de organismos públicos europeos, agencias regionales y organizaciones sin ánimo de lucro que llevan a cabo evaluaciones de tecnologías sanitarias o contribuyen a su desarrollo y que comparten metodologías y resultados

EUnetHTA Joint Action 1 (2010 – 2012), entre sus logros, se encuentra haber desarrollado un **modelo de consenso y unas guías metodológicas** para la evaluación de la eficacia relativa (REA)

Fase post-autorización, previa a comercialización



Fase post-autorización, previa a comercialización

EUnetHTA es una **red** de organismos públicos europeos, agencias regionales y organizaciones sin ánimo de lucro que llevan a cabo evaluaciones de tecnologías sanitarias o contribuyen a su desarrollo y que comparten metodologías y resultados

EUnetHTA Joint Action 1 (2010 – 2012), entre sus logros, se encuentra haber desarrollado un **modelo de consenso y unas guías metodológicas** para la evaluación de la eficacia relativa (REA)

EUnetHTA Joint Action 2 (2012 – 2015), entre sus logros se encuentra haber iniciado los **pilotos de evaluaciones conjuntas de eficacia relativa** aplicando la metodología de análisis desarrollada (13 en total, 5 de medicamentos)

Fase post-autorización, previa a comercialización



Fase post-autorización, previa a comercialización

EUnetHTA es una **red** de organismos públicos europeos, agencias regionales y organizaciones sin ánimo de lucro que llevan a cabo evaluaciones de tecnologías sanitarias o contribuyen a su desarrollo y que comparten metodologías y resultados

EUnetHTA Joint Action 1 (2010 – 2012), entre sus logros, se encuentra haber desarrollado un **modelo de consenso y unas guías metodológicas** para la evaluación de la eficacia relativa (REA)

EUnetHTA Joint Action 2 (2012 – 2015), entre sus logros se encuentra haber iniciado los **pilotos de evaluaciones conjuntas de eficacia relativa** aplicando la metodología de análisis desarrollada (13 en total, 5 de medicamentos)

EUnetHTA Joint Action 3 (2016-2019), se lanzará en los próximos meses y entre sus objetivos se encuentra extender las evaluaciones conjuntas de la eficacia relativa a un mayor número de productos y conseguir la **reutilización de resultados de la evaluación entre los distintos países** miembros

Fase post-autorización, previa a comercialización

EUnetHTA JA3 kick-off meeting was held in Amsterdam, Netherlands, on March 3, 2016

 4 March 2016

“Support for a more centralized European approach to evaluating new health technologies is gaining pace among the national and regional officials who perform this work in the member countries” – declared an opening line of [a Health POLITICO-Pro article](#) reporting from the EUnetHTA JA3 kick-off meeting the day after.

The EUnetHTA JA3 is poised to start its activities in the coming few months. The general objective of this joint action is “to increase the use, quality and efficiency of joint HTA work at European level.” During the meeting the participants discussed ways of closer collaboration on HTA production that will meet the needs of the national healthcare systems. Joint assessment pilots performed in [EUnetHTA Joint Action 2](#) demonstrated the ability of the diverse HTA agencies to work together and bring value at the national level for several participating Member States. [The challenge now is to scale the production while ensuring a wider application of the results of the joint work among the EU Members States](#). More operational work needs to be done in finding effective ways of bringing the practice of the European cooperation into the “real life” routine HTA production processes of the EUnetHTA participating organisations.

The successful EUnetHTA development since its inception in 2005 has been coordinated by the EUnetHTA Secretariat at the Danish Health Authority. EUnetHTA JA3 will be coordinated by Zorginstituut Nederland (ZIN) - we wish the new coordinating team best of success in their endeavours!

Fase post-autorización, previa a comercialización

La re-utilización de resultados de los REA europeos implicaría que todos los elementos de la evaluación llevada a cabo a nivel europeo **deberían reemplazar** a sus correspondientes evaluaciones de eficacia relativa a nivel nacional / regional / local

Para ello es preciso un **compromiso** en este sentido por parte de las agencias evaluadoras de los Estados Miembros

Si esto no ocurre, no se conseguirá reducir las **duplicidades** ni evitar **inconsistencias** entre evaluaciones

Sólo deberían considerarse a nivel nacional / regional / local, aquellos **elementos** de la evaluación de la eficacia relativa **que tengan un carácter puramente local**, por ejemplo, características locales de la patología y particularidades locales de tratamiento

Por supuesto, **cualquier consideración económica queda al margen** de este análisis que versa únicamente sobre aspectos clínicos



www.imi.europa.eu

La mayor **iniciativa de cooperación público-privada** (Unión Europea – EFPIA) del mundo en el ámbito de las ciencias de la salud. Su objetivo es acelerar el desarrollo de medicamentos mejores y más seguros para los pacientes

IMI persigue el **trabajo colaborativo entre todos los stakeholders** de la investigación médica: industria farmacéutica, universidades, PYMES, pacientes y agencias reguladoras



Desde su establecimiento en el año 2008 se han desarrollado **más de 50 proyectos** colaborativos

La **financiación de los proyectos es al 50%** entre las compañías farmacéuticas y la Comisión Europea (los fondos de la CE se destinan a financiar el trabajo de los miembros de los consorcios “públicos”, no a las compañías farmacéuticas)

IMI 1 (2008-2013) tuvo un presupuesto de **2.000 millones €**. El presupuesto de **IMI 2** (2014-2024) es de **3.276 millones €**

IMI – Proyectos en curso

All Projects

- ABIRISK	Anti-Biopharmaceutical Immunization: Prediction and Analysis of Clinical Relevance to Minimize the Risk	- EBiSC	European Bank for induced pluripotent Stem Cells
- ADVANCE	Accelerated development of vaccine benefit-risk collaboration in Europe	- Ebola+	Ebola and other filoviral haemorrhagic fevers
- AETIONOMY	Organising mechanistic knowledge about neurodegenerative diseases for the improvement of drug development and therapy	- EHR4CR	Electronic Health Records Systems for Clinical Research
- BioVacSafe	Biomarkers for Enhanced Vaccine Immunosafety	- ELF	European Lead Factory
- BTCure	Be The Cure	- EMIF	European Medical Information Framework
- CHEM21	Chemical manufacturing methods for the 21st century pharmaceutical industries	- EMTRAIN	European Medicines Research Training Network
- COMBACTE	Combatting Bacterial Resistance in Europe	- ENABLE	European Gram-negative Antibacterial Engine
- COMBACTE-CARE	Combatting Bacterial Resistance in Europe - Carbapenem Resistance	- EPAD	European prevention of Alzheimer's dementia consortium
- COMBACTE-MAGNET	Combatting bacterial resistance in Europe - molecules against Gram negative infections	- eTOX	Integrating bioinformatics and chemoinformatics approaches for the development of Expert systems allowing the in silico prediction of toxicities
- COMPACT	Collaboration on the optimisation of macromolecular pharmaceutical access to cellular targets	- eTRIKS	Delivering European Translational Information & Knowledge Management Services
- DDMoRe	Drug Disease Model Resources	- EU-AIMS	European Autism Interventions - a Multicentre Study for Developing New Medications
- DIRECT	Diabetes research on patient stratification	- Eu2P	European programme in Pharmacovigilance and Pharmacoepidemiology
- DRIVE-AB	Driving re-investment in R&D and responsible antibiotic use	- EUPATI	European Patients' Academy on Therapeutic Innovation
		- EUROPAIN	Understanding chronic pain and improving its treatment
		- FLUCOP	Standardization and development of assays for assessment of influenza vaccines correlates of protection

<http://www.imi.europa.eu/content/ongoing-projects>

IMI – Proyectos en curso

- FLUCOP	Standardization and development of assays for assessment of influenza vaccines correlates of protection	- PRECISESADS	Molecular reclassification to find clinically useful biomarkers for systemic autoimmune diseases
- GETREAL	Incorporating real-life clinical data into drug development	- Predict	New models for preclinical evaluation of drug efficacy in common solid tumours
- iABC	Inhaled antibiotics in bronchiectasis and cystic fibrosis	- PreDiCT-TB	Model-based preclinical development of anti-tuberculosis drug combinations
- IMIDIA	Improving beta-cell function and identification of diagnostic biomarkers For treatment monitoring in diabetes	- PRO-active	Physical Activity as a Crucial Patient Reported Outcome in COPD
- iPiE	Intelligent Assessment of Pharmaceuticals in the Environment	- PROTECT	Pharmacoepidemiological research on outcomes of therapeutics by a European consortium
- K4DD	Kinetics for Drug Discovery	- Quic-Concept	Quantative imaging in cancer:connecting cellular process with therapy
- MARCAR	Biomarkers and molecular tumour classification for non-genotoxic carcinogenesis	- RAPP-ID	Development of rapid point-of-care test platforms for infectious diseases
- MIP-DILI	Mechanism-Based Integrated Systems for the Prediction of Drug-Induced Liver Injury	- SAFE-T	Safer and Faster Evidence-based Translation
- ND4BB	New Drugs for Bad Bugs	- SafeSciMET	European Modular Education and Training Programme in Safety Sciences for Medicines
- NEWMEDS	Novel methods leading to new medications in depression and schizophrenia	- SPRINTT	Sarcopenia and physical frailty in older people: multi-component treatment strategies
- Onco Track	Methods for systematic next generation oncology biomarker development	- STEMBANCC	Stem cells for biological assays of novel drugs and predictive toxicology
- Open PHACTS	The Open Pharmacological Concepts Triple Store	- SUMMIT	Surrogate markers for micro- and macro-vascular hard endpoints for innovative diabetes tools
- ORBITO	Oral biopharmaceutics tools	- TRANSLOCATION	Molecular basis of the bacterial cell wall permeability
- Pharma-Cog	Prediction of cognitive properties of new drug candidates for neurodegenerative diseases in early clinical development	- U-BIOPRED	Unbiased biomarkers for the prediction of respiratory disease outcomes
- Pharmatrain	Pharmaceutical Medicine Training Programme	- WEB-RADR	Recognising Adverse Drug Reactions

<http://www.imi.europa.eu/content/ongoing-projects>

IMI – Programa Big Data for Better Outcomes (BD4BO)

El Programa de IMI 2 Big Data for Better Outcomes (**BD4BO**) tiene un **doble propósito**:

- **Maximizar el potencial que ofrecen las grandes cantidades de información** que se generan en el sector sanitario (metodologías y datos)
- Fomentar la evolución de los sistemas de salud hacia unos **modelos basados en el valor y en la medición de resultados**

En este Programa se han incluido (de forma inicial) cuatro patologías concretas: i) Alzheimer; ii) Neoplasias hematológicas; iii) Esclerosis múltiple, y iv) Enfermedades Cardiovasculares. A su vez existe una *Coordination and Support Action* (CSA) que coordinará de forma transversal los proyectos anteriores, y una Red de Distribución de Datos.

Las dos primeras patologías (Alzheimer y Neoplasias hematológicas) se incluyeron en la 6ª Solicitud de propuestas (6th Call) y la CSA se ha incluido en la 7ª Solicitud

IMI – CSA (Programa BD4BO)



COORDINATION AND SUPPORT ACTION (CSA)

EUROPEAN DISTRIBUTED DATA NETWORK

1

Diseñar sets de outcomes standard y demostrar valor

2

Mejorar el acceso a datos de outcomes de alta calidad

3

Utilizar datos para mejorar la prestación sanitaria

4

Aumentar la participación del paciente mediante soluciones digitales



ROADS: ENFERMEDAD DE ALZHEIMER



NEOPLASIAS HEMATOLÓGICAS



CARDIOVASCULAR



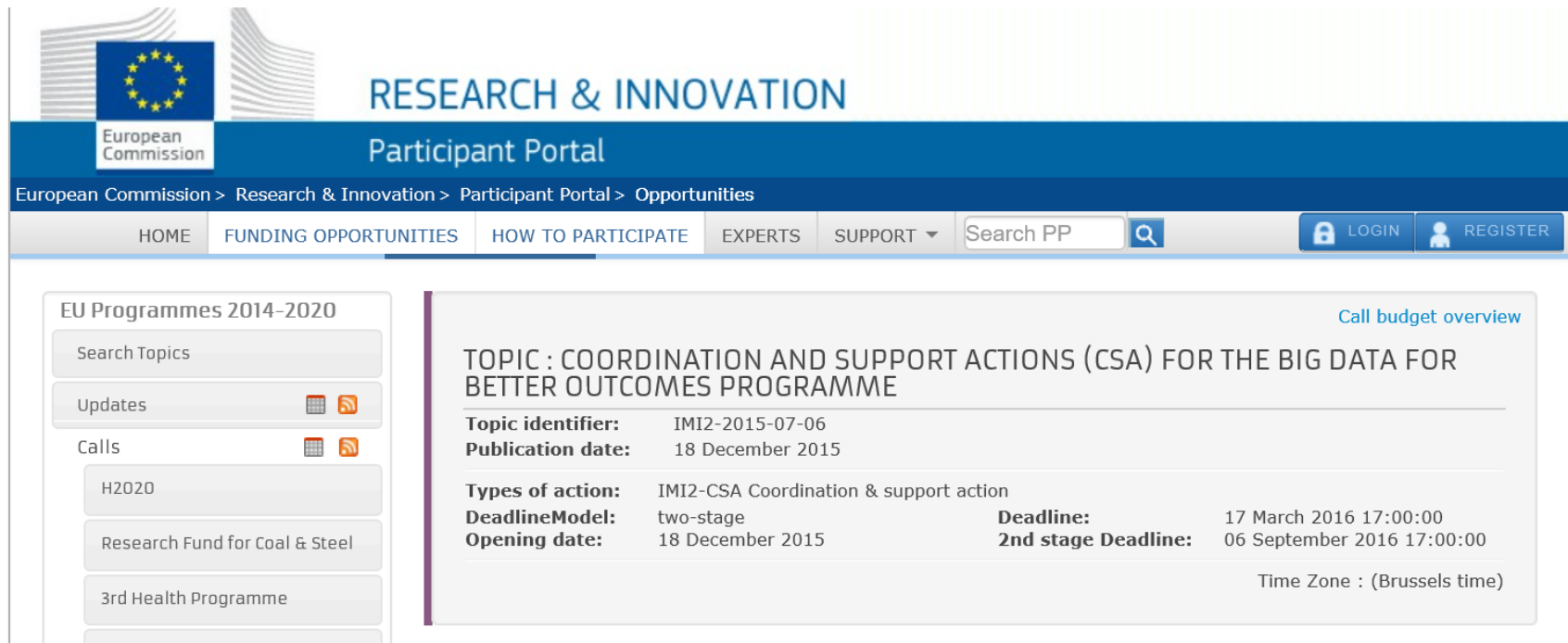
ESCLEROSIS MULTIPLE



PACIENTES PLURIPATOLÓGICOS Y DE MORBILIDAD MULTIPLE

Futuras propuestas de temas adicionales

IMI – CSA (Programa BD4BO)



European Commission

RESEARCH & INNOVATION

Participant Portal

European Commission > Research & Innovation > Participant Portal > Opportunities

HOME FUNDING OPPORTUNITIES HOW TO PARTICIPATE EXPERTS SUPPORT ▾ Search PP 🔍 LOGIN REGISTER

EU Programmes 2014-2020

Search Topics

Updates  

Calls  

H2020

Research Fund for Coal & Steel

3rd Health Programme

[Call budget overview](#)

TOPIC : COORDINATION AND SUPPORT ACTIONS (CSA) FOR THE BIG DATA FOR BETTER OUTCOMES PROGRAMME

Topic identifier:	IMI2-2015-07-06		
Publication date:	18 December 2015		
Types of action:	IMI2-CSA Coordination & support action		
DeadlineModel:	two-stage	Deadline:	17 March 2016 17:00:00
Opening date:	18 December 2015	2nd stage Deadline:	06 September 2016 17:00:00

Time Zone : (Brussels time)

<http://ec.europa.eu/research/participants/portal/desktop/en/opportunities/h2020/topics/12127-imi2-2015-07-06.html>

La CSA:

- Ejecutará la **estrategia** de outcomes del programa BD4BO
- Integrará **conocimiento** y **diseminará resultados** de la investigación
- Asegurará la **consistencia y la calidad** de los diferentes proyectos
- Incorporará y compartirá **expertise** en los diferentes temas y patologías

Coordination and Support Action (CSA)

Principales áreas de trabajo



Es fundamental que la CSA tenga **vinculación** con grupos de pacientes, reguladores, financiadores y agencias de HTA, además de investigadores y universidades:

- Para asegurar que los resultados obtenidos son útiles y tienen un **impacto real en la transformación de los sistemas sanitarios**
- Para asegurar una **protección de datos adecuada**

Es imprescindible que exista colaboración entre stakeholders sanitarios y un alineamiento de los distintos proyectos para **definir un marco que permita compartir y reutilizar los datos y los resultados de los análisis**

Una prestación sanitaria basada en el valor, con un mayor enfoque en los resultados en salud permitirá un **mejor uso de los recursos escasos** con los que cuentan los sistemas sanitarios de los diferentes Estados Miembros

Los **objetivos** del proyecto de la **CSA** son:

1. Dirigir la estrategia de outcomes del Programa BD4BO:

- Estableciendo una **plataforma con stakeholders** relevantes para fomentar la calidad y la consistencia de los proyectos individuales
- Diseñando una **estrategia operativa** para asegurar la calidad y la consistencia entre proyectos e identificar sinergias
- Identificando oportunidades para realizar **proyectos adicionales**

2. Integrar el conocimiento que aporten los proyectos y sintetizar las principales lecciones para genera evidencia que apoye la transición hacia sistemas sanitarios más enfocados en la aportación de valor y en resultados en salud

3. Actuar como centro de excelencia para el intercambio de los conocimientos y las principales lecciones aprendidas de los proyectos

Los **objetivos** del proyecto de la **CSA** son:

4. **Diseminar y compartir el conocimiento entre stakeholders** para complementar las actividades de los proyectos sobre patologías específicas dentro de la iniciativa BD4BO, incluyendo organizaciones de pacientes, reguladores, financiadores, agencias de HTA y la academia
5. **Desarrollar estándares y guías para el uso de muestras humanas y datos personales** en el contexto de la legislación sobre protección de datos y regulaciones conexas
6. Ayudar a **resolver cuestiones comunes** a los proyectos
7. **Apoyar los objetivos generales de IMI** para reducir ineficiencias y permitir un acceso más rápido a la innovación y conseguir mejores resultados