

Guía de Recomendaciones para la Participación del Paciente Pediátrico en la I+D del medicamento

Amelia Martín Uranga
Farmaindustria

23 Noviembre 2021

El papel del paciente en los EECC: de DÓNDE VENIMOS?

**RD
1090/
2015**

La investigación clínica con medicamentos constituye el elemento básico que permite que los medicamentos sean autorizados por las agencias de medicamentos, que sean comercializados por sus titulares con las garantías que la legislación exige y que lleguen finalmente a la práctica clínica para beneficio de los pacientes. Permite también investigar



- Necesidad de información y formación
- Desconocimiento

MODELO CARTA DE AGRADECIMIENTO TRAS LA PARTICIPACIÓN DEL PACIENTE EN EL ENSAYO CLÍNICO.

Trabajo conjunto SEFC y Farmaindustria



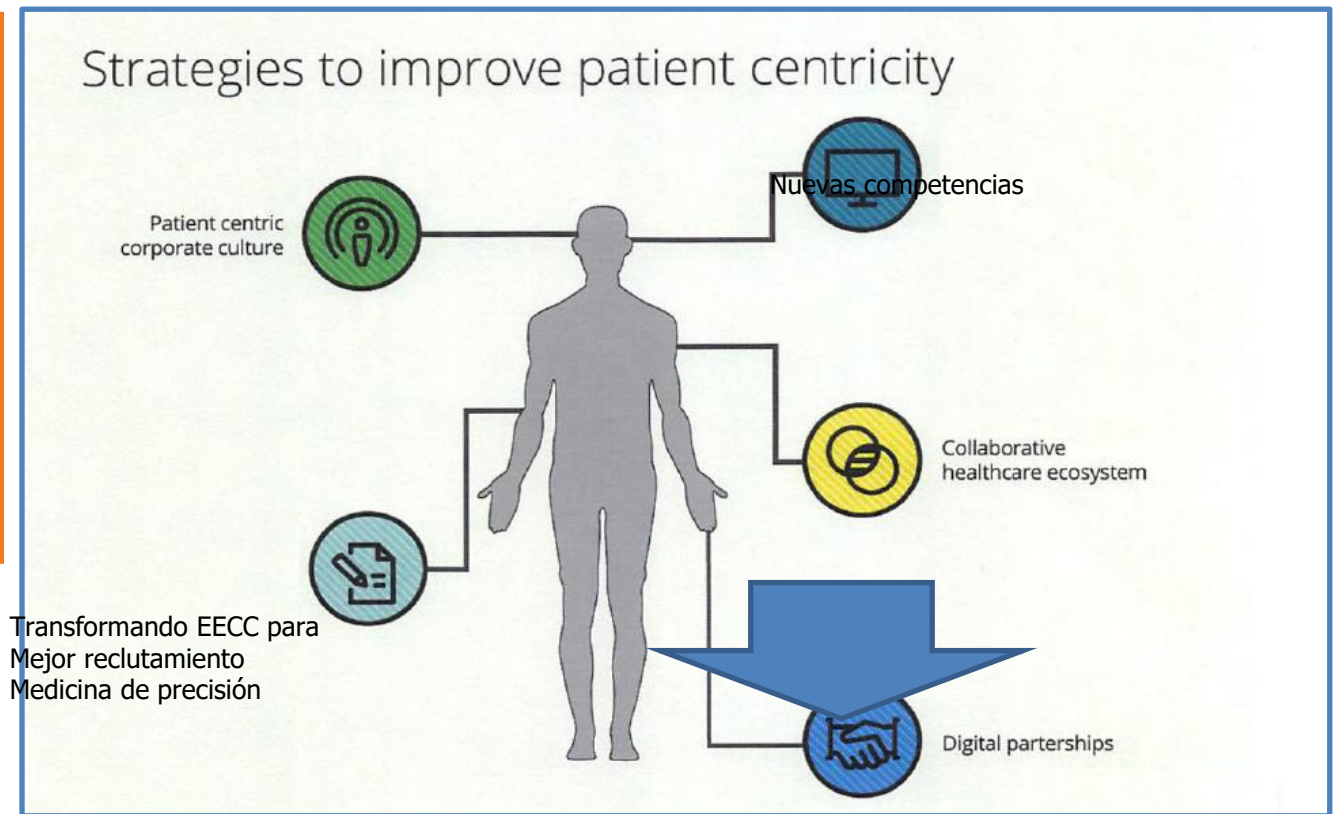
El Paciente HOY: Rol activo

Hacia un paciente informado y formado que **comparte y colabora**

Telemedicine, predictive diagnostics, wearable sensors and a host of new apps **will transform how people manage their health**

New paradigm shift:

from a drug-centric approach towards a more patient-centric approach



Fuente: *Pharma and the connected patient: How digital technology is enabling patient centricity*. Deloitte Centre for Health Solutions, 2017. Adaptado por Farmaindustria

El papel del paciente en los EECC: dónde estamos?



14960 *Real Decreto 957/2020, de 3 de noviembre, por el que se regulan los estudios observacionales con medicamentos de uso humano.*

La investigación clínica con medicamentos es la base de la generación de conocimiento que permite, en última instancia, mejorar la práctica clínica en beneficio de los pacientes.

Introduce la representación de los pacientes en diversos comités de la AEMPS

Real Decreto 1090/2015, EECC:

Artículo 15. *Composición de los Comités de Ética de la Investigación con medicamentos.*

1. El CEIm estará constituido por un mínimo de diez miembros, al menos uno de los cuales será un miembro lego, ajeno a la investigación biomédica o a la asistencia clínica, que representará los intereses de los pacientes.

Formación en I+D

Trabajo con colectivos de pacientes

Farmaindustria lleva varios años trabajando en este ámbito de la participación de los pacientes en la I+D biomédica.

Recomendaciones para la articulación de la participación de pacientes y asociaciones de pacientes en el proceso de la I+D farmacéutica



-  **1. Identificación de necesidades no cubiertas** y definición de prioridades de investigación.
-  **2. Elaboración de materiales para la información** y formación de pacientes sobre la I+D de medicamentos.
-  **3. Divulgación sobre la I+D** de medicamentos al paciente y a la sociedad en general.
-  **4. Participación en la redacción de protocolos de ensayos clínicos** y consentimientos informados.
-  **5. Búsqueda y difusión de ensayos clínicos** de interés por patología.
-  **6. Participación en la elaboración y redacción de resúmenes** ejecutivos de los ensayos clínicos (lay summary).
-  **7. Colaboración en el reclutamiento de pacientes** para su participación en ensayos clínicos.
-  **8. Entidades de pacientes interesadas** en participar en las actividades de I+D de la industria.

Guía de Recomendaciones para la participación del paciente pediátrico en la I+D del medicamento

- ✓ Castellano
- ✓ Inglés



Grupo de Trabajo multidisciplinar y objetivos comunes



OBJETIVOS:

- ✓ Centrar la investigación en las necesidades de los pacientes.
- ✓ Facilitar la mejor experiencia posible.
- ✓ Desarrollar proyectos de calidad y excelencia científica

¿Por qué una Guía para la participación pacientes pediátrico?

Investigación DE MEDICAMENTOS PEDIÁTRICOS



¿Qué es?

Este documento es una guía para investigadores, Administración sanitaria, compañías farmacéuticas y pacientes y sus familias que contribuya a asegurar que el proceso de investigación de nuevos medicamentos pediátricos esté centrado en este perfil de pacientes y sustentado en la estrecha relación con ellos.



¿Por qué?

Es necesario involucrar a los pacientes que participarán en ensayos clínicos y sus cuidadores en todo el proceso investigador, porque asegurará una mejor experiencia y contribuirá a orientar la investigación a las necesidades de los pacientes, lo que repercutirá en la calidad de la investigación. Los niños no son adultos pequeños; su metabolismo se encuentra en constante desarrollo y requiere de investigación en medicamentos especialmente dirigidos a ellos.



Documento de recomendaciones para reforzar la participación de los pacientes

¿Quiénes lo han elaborado?

El documento es el resultado de un grupo de trabajo organizado por Farmaindustria en el que han participado representantes del Hospital de Sant Joan de Déu de Barcelona (grupo Kids Barcelona) y un grupo de padres, la Red Española de Ensayos Clínicos Pediátricos (RECLIP) y la Asociación Española de Pediatría (AEP). La versión final ha sido revisada por organizaciones de pacientes, compañías farmacéuticas, profesionales de la investigación en pediatría y la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (Aemps).



¿Existen iniciativas semejantes en Europa?

Se trata de un documento único en el contexto europeo. Es un paso más que consolida el papel protagonista de España en el campo de la investigación clínica dentro del contexto internacional.



¿Hay enfermedades específicas en el paciente pediátrico?

Niños y jóvenes padecen algunas patologías que no se manifiestan en la población adulta y, por tanto, necesitan de un esfuerzo en I+D que tenga en cuenta esas especificidades y que pueda dar con los mejores tratamientos posibles.

¿Cuál es hoy la posición de España en ensayos clínicos pediátricos?

En España en los últimos 5 años (2016-2020) se ha incrementado el compromiso con la investigación en este ámbito, con más de 500 ensayos clínicos (un 15% del total) dirigidos a población pediátrica, el 87% de ellos promovidos por la industria farmacéutica. Las áreas terapéuticas que han centrado estos estudios han sido oncología, vacunas, enfermedades infecciosas, hematología, dermatología y patologías respiratorias.

FUERTE IMPULSO ENTRE 2016 Y 2020

+ 500 ensayos
dirigidos a
población
pediátrica

87%

promovidos por la
industria farmacéutica



¿Cuáles son los desafíos de futuro?

Nos encontramos ante un panorama esperanzador en cuanto al número de potenciales tratamientos innovadores que ya están en desarrollo en humanos. En cualquier caso, hay mucho camino por recorrer aún y para ello es crítico seguir promoviendo la colaboración entre todos los agentes implicados en la investigación para dar la mejor respuesta a muchas enfermedades que afectan solo a la población pediátrica.

Recomendaciones



1. Identificación de necesidades no cubiertas y definición de prioridades de investigación.

Teniendo en cuenta la importancia de esta fase, se establece esencial que los pacientes pediátricos (cuando sea posible) o sus padres o cuidadores participen en los foros adecuados aportando su experiencia y preferencias.



2. Elaboración de materiales para la información y formación de pacientes sobre la I+D de medicamentos.

Considerando la necesidad de empoderar a niños y jóvenes, y también a padres/cuidadores, tanto en contenidos generales sobre la I+D del medicamento como en relación con la investigación clínica en pediatría y focalizada en determinadas enfermedades se establecen una serie de recomendaciones para la elaboración y publicación de futuros contenidos por parte de las compañías farmacéuticas.



3. Divulgación sobre la I+D de medicamentos pediátricos al paciente y a la sociedad en general.

Los **centros escolares pueden jugar un rol muy importante** en las acciones de divulgación entre la población pediátrica, incluyendo contenidos y actividades en su currículo académico en diferentes asignatura.



4. Participación en la redacción de protocolos de ensayos clínicos pediátricos y consentimientos informados para menores.

La participación de los menores ayudará a garantizar que la información contenida tanto en el documento de consentimiento informado del menor (pacientes a partir de 12 años en España) como de consentimiento informado (jóvenes adultos mayores de 18 años y padres/tutores legales) sea comprensible y cumpla su misión informativa para la toma de decisiones.

Recomendaciones



5. Búsqueda y difusión de ensayos clínicos de interés por patología.

Los padres/cuidadores que han participado en el diseño de esta guía recomiendan la importancia de **dar a conocer el REec** mediante su difusión a través de asociaciones de pacientes, centros de salud y hospitales en todo el territorio.



6. Participación en la elaboración y redacción de resúmenes ejecutivos de los ensayos clínicos (lay summary).

Específicamente, los pacientes pediátricos enfatizan la importancia de usar tablas, gráficos o infografías en color que ayuden a comprender la información, así como de disponer de un video resumen (siempre respetando los criterios para la mejor accesibilidad posible) con el contenido que integra la versión escrita del lay summary, ya que el formato visual facilita el proceso de comprensión de la información.



7. Colaboración en el reclutamiento de pacientes para su participación en ensayos clínicos.

En el caso de los ensayos clínicos pediátricos, validar las estrategias de reclutamiento tanto con grupos de pacientes como con padres/cuidadores se considera de gran ayuda, con el fin de adaptar dicha estrategia a las necesidades de un grupo muy específico de pacientes.



8. Entidades de pacientes interesadas en participar en las actividades de I+D de la industria.

Medicina de precisión, digitalización y nuevo rol del paciente

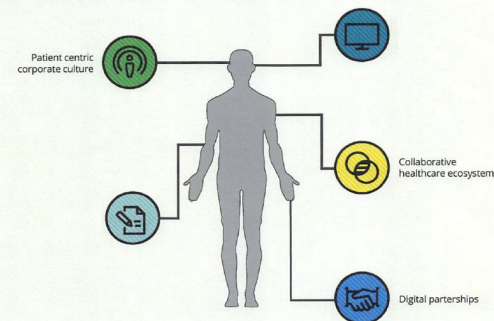
Medicina molecular, personalizada, y de precisión (uso de la información)

+

DIGITALIZACIÓN

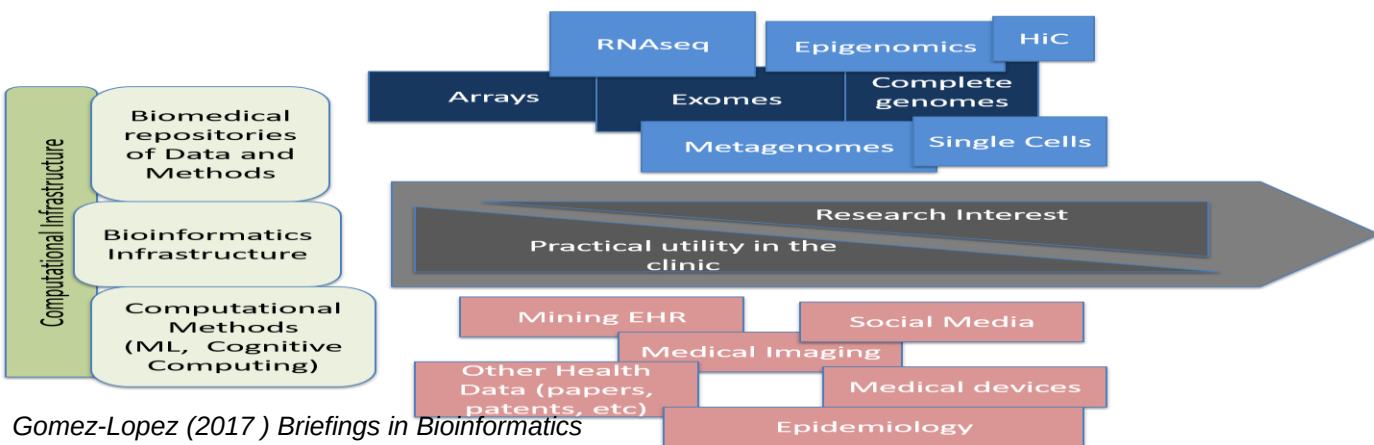
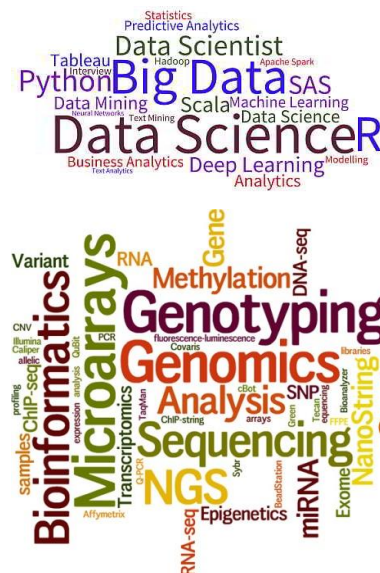
Combinar, acceder, compartir: Big Data clínicos con biomarcadores y otras variables de la genómica y la proteómica. Diagnósticos y tratamientos ajustados al perfil de cada paciente.

Strategies to improve patient centricity



**GESTOR DE SUS DATOS
IMPLICADO EN SU SALUD**

Fuente: *Pharma and the connected patient: How digital technology is enabling patient centricity*. Deloitte Centre for Health Solutions, 2017. Adaptado por Farmaindustria



Gomez-Lopez (2017) Briefings in Bioinformatics

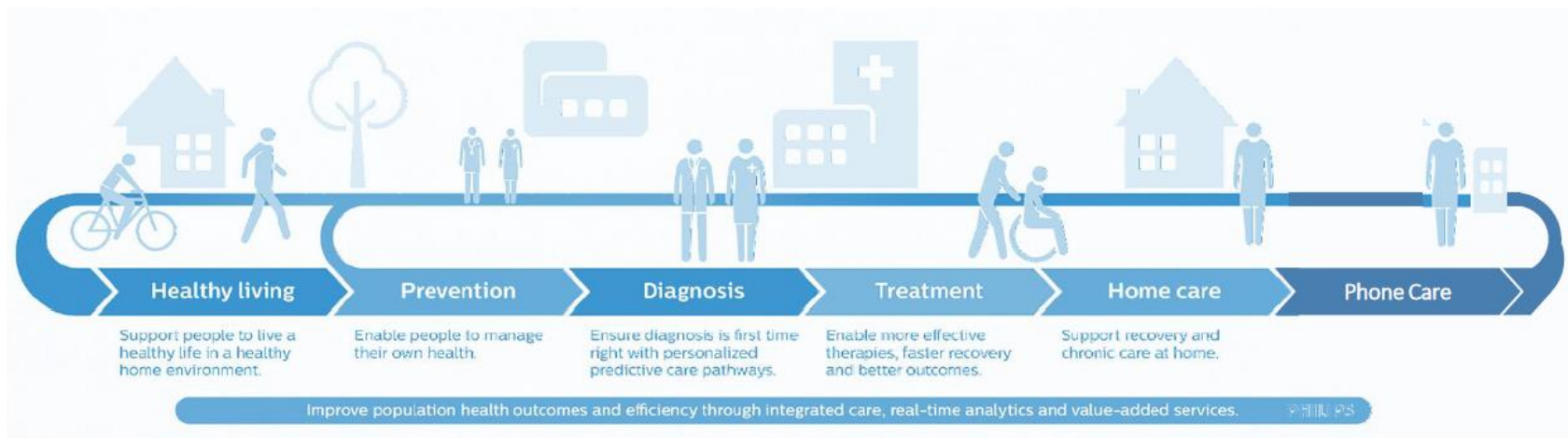
Medicina de precisión: revolución genómica y análisis de datos

- ❑ Una transformación en el paradigma de la asistencia sanitaria a los pacientes y en la investigación de nuevos fármacos.
- ❑ 15 de septiembre de 2020: CM aprueba la convocatoria de concesión de subvenciones para la Infraestructura de Medicina de Precisión IMPaCT incluida en la **Estrategia Española de Medicina de Precisión (ISCiii)**. Debe tener un efecto positivo sobre el acceso de los pacientes a la innovación en biomedicina
- ❑ **Infraestructura IMPaCT** contará con 25,8 millones de euros y 3 programas alineados con las áreas de
 - ❑ Big Data
 - ❑ Medicina Genómica
 - ❑ Medicina Predictiva

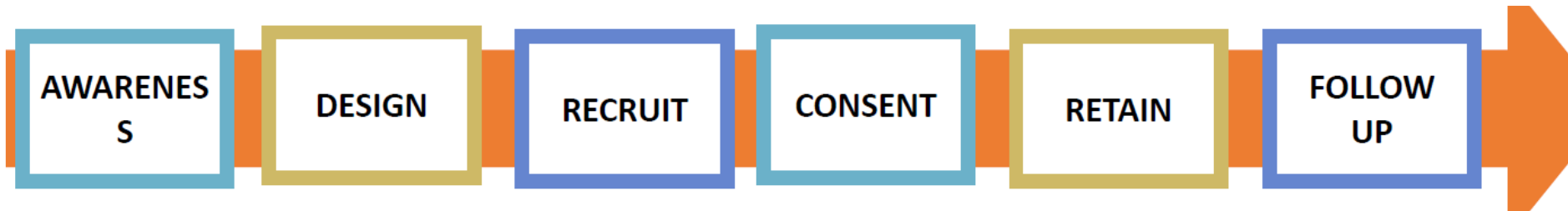
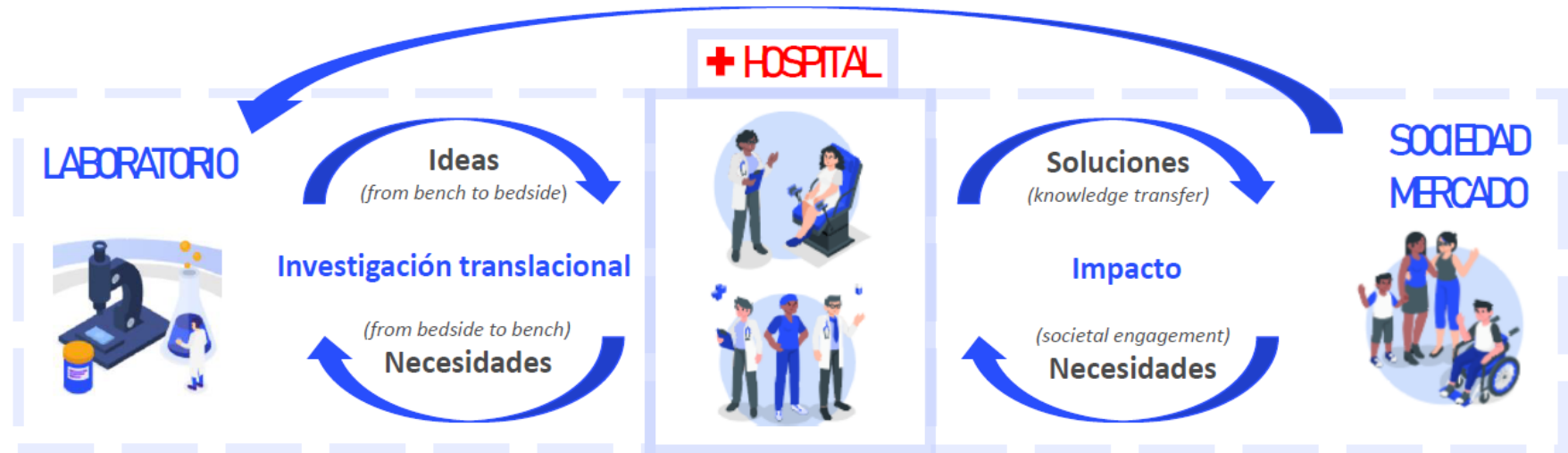
Generando Conocimiento y bases para Estrategia MP
- ✓ **Generar información genómica y molecular** para mejorar la comprensión de enfermedades e integrar toda esta **información con los datos clínicos** obtenidos en el proceso clínico **asistencial**
- ✓ Impulsar la aplicación de nuevas técnicas de computación y procesamiento de datos, incluyendo la interoperabilidad de los sistemas existentes, la explotación de la HCE y la prescripción electrónica como soportes para **fomentar la investigación clínica sustentada en el análisis masivo de datos**

Hospitales del futuro; hospitales investigadores, líquidos

- Agentes fundamentales en la promoción de la salud: hábitos sanos y prevención
- Asistencia+investigación+innovación+docencia: modelo integrado y paciente en el centro
- Más virtuales (digitales), menos presenciales
- Medicina personalizada, basada en el valor, diagnósticos mejores, más rápidos y menos invasivos



Del laboratorio al mercado: respuestas a necesidades médicas no cubiertas



El paciente: gestor de sus datos. Papel protagonista en la transformación digital

- Evolución del paciente en relación a su salud. Uso de apps. Modelo híbrido visitas en EECC (presencial-virtual).
- Competencias digitales.
- Antes y después del EECC hay que contar con la visión del paciente (patient protocol engagement); (assessment study participant). Codiseño y testeo.
- El valor de compartir y reutilizar datos en investigación biomédica.
GARANTÍAS (RGPD y LOPD. Nuevo Código de Conducta FI)
- Estrategia de Salud Digital del SNS
- Nuevo espacio nacional y europeo de datos sanitario.

Conclusiones

- Desde el RD 1090/2015: hay un cambio en la participación de los pacientes. Es un PROCESO que continua!!
- Oportunidad: PERTE en Salud de Vanguardia
- Innovaciones centradas en el paciente
- La visión del paciente pediátrico
- Complementario lo digital y lo presencial
- Digitalización en beneficio del paciente, pero sin dar un salto excesivo (step by step)
- Trasladar el valor de la investigación biomédica a la sociedad. Social awareness.

Trabajo de tod@s y para tod@s en beneficio del paciente pediátrico. Visión a un futuro con esperanza

Paediatric Cancer Center Barcelona - PCCB



GRACIAS



MEDICAMENTOS INNOVADORES
Plataforma Tecnológica Española

farmaindustria

Amelia Martín Uranga
Farmaindustria

23 de noviembre de 2021