

# La MEDICINA de PRECISIÓN ANTE el reto de medir el VALOR del BENEFICIO CLÍNICO

Especial  
**GACETA MÉDICA**



## INVESTIGACIÓN



# El 'valle de la muerte' que separa la investigación y la práctica clínica

Medir el valor del beneficio clínico sigue siendo un objetivo prioritario en oncología

C. M. LÓPEZ / NIEVES SEBASTIÁN  
Madrid

¿Estamos teniendo en cuenta el valor del beneficio clínico en cáncer? Este ha sido uno de los puntos de partida del VIII Foro ECO. Un encuentro donde se ha puesto sobre la mesa el horizonte actual de la innovación en oncología y su llegada a la práctica clínica.

Según María Jesús Lamas, directora de la Agencia Española del Medicamento y el Productos Sanitarios, a la hora de medir el beneficio clínico, es necesario plantear una serie de preguntas durante todo el proceso de I+D. Entre ellas, si la terapia que está en investigación es más válida que otras ya existentes para esa indicación. Pero, para Lamas, la pregunta útil reside en saber qué ventajas en concreto va a aportar ese fármaco a los pacientes. Una vez definido este valor, las agencias reguladoras entran en juego en la toma de decisiones. Primero, a nivel central (por ejemplo, en Europa) y luego en los diferentes países, donde también se ha de seguir evaluando su eficacia en la práctica clínica.

Mariano Provencio, patrono de la Fundación ECO, recordó que durante años el beneficio real del tratamiento y su relación con la calidad de vida o la supervivencia es algo que ha motivado numerosas investigaciones. Si bien, es un asunto que sigue pendiente.

Las dudas e inquietudes que se generan entre los oncólogos es algo evidente. "Muchas veces se nos plantean dudas acerca de lo que es beneficioso para un paciente", apuntó. La sensación, en su opinión generalizada, es que en ocasiones se aprueban o no tratamientos en los que no se mide bien ese beneficio.

## ¿Cómo acelerar el acceso?

Por su parte, Álvaro Rodríguez Lescure, presidente de la Sociedad Española de Oncología Médica, indicó que más allá de evaluar parámetros objetivos, a la hora de acelerar el acceso a la innovación, hay que medir determinados valores subrogados. En este punto hay que tener en cuenta aspectos como el precio que estamos dispuestos a pagar por un medicamento en base al beneficio que aporta, y también hay que plantear ciertos dilemas. Uno de los que ponía sobre la mesa Rodríguez Lescure es que, cuando una innovación tiene un precio muy alto, también hay que tener en cuenta puntos como si estamos dispuestos a perder una terapia, o a poner en jaque la sostenibilidad del sistema, sobre todo en aquellos casos en los que todavía no se cuenta con evidencia sólida. Pero, para el especialista, el camino pasa por generar vías para que al tomar decisiones los pacientes no se sientan privados de la innovación. Aun así,

**La Comisión Europea ya tiene preparado su Horizon Europe que arrancará en enero de 2021 con el objetivo de crear ciencia de alta calidad**

**Una de las herramientas para garantizar la equidad en el acceso a la innovación es promover el uso de los datos en vida real**

precisaba que hay que garantizar que cuando se integra un nuevo medicamento innovador en el sistema, hay que tratar de asegurar que este va a ser realmente beneficioso.

En este escenario, Provencio considera que existe un valle de la muerte entre la investigación y la práctica clínica. La solución, en su opinión, pasaría por la implicación de los profesionales en la toma de decisiones. Una interlocución real, en definitiva, con las agencias reguladoras.

Provencio destacó también esfuerzos que se están haciendo en la búsqueda del beneficio clínico, como es el caso de Oncovalor. Un ejemplo, a su juicio, de un trabajo conjunto de manera multidisciplinar.

Precisamente esta es la línea de cooperación es la que seguirá Europa en la estrategia que arrancará el 1 de enero del próximo año. Así lo recordó Jesús García-Foncillas, miembro de la Comisión Científica de la Fundación ECO, que avanzó los planes de la Comisión Europea con Horizon Europe.

## El escenario europeo

El objetivo de este programa es seguir 'atando' los cabos sueltos que dejó Horizonte 2020 con el objetivo de crear ciencia de alta calidad.

En materia de oncología, los objetivos son claros. El principal: potenciar la innovación en

los ensayos clínicos. Además, promover datos reales de alta calidad que permita mejorar la capacidad de los médicos. "Esto no significa que se acaba la investigación cuando el fármaco esté aprobado", señaló García-Foncillas.

La base de todo este escenario es la medicina de precisión. Dentro de esta y englobando toda la estrategia europea, la cooperación entre el ámbito académico y la industria farmacéutica será clave.

Al final, asegurar un acceso equitativo a los tratamientos disponibles, fomentar la innovación en ensayos clínicos, promover el uso del Real World Data y apoyar el desarrollo de la medicina de precisión, los biomarcadores y las 'ómicas', claves para alcanzar los objetivos 2030 de Horizonte Europa: salvar tres millones de vidas.

El presidente de la Fundación ECO, Vicente Guillem, lo tiene claro. "El cáncer sigue siendo una de las principales causas de mayor morbimortalidad en el mundo y la segunda causa de muerte. La buena noticia es que la innovación terapéutica oncológica sigue avanzando a pasos agigantados. Ahora el reto está en que España sea capaz de aprovechar la llegada de esa innovación disruptiva, garantizando a los pacientes el mejor tratamiento disponible", expuso el oncólogo.

## INVESTIGACIÓN

# ¿Cómo será el nuevo horizonte que marcará la I+D+i europea?

En enero arrancará la nueva estrategia que apuntalará los cimientos científicos

**CARMEN M. LÓPEZ**  
Madrid

Para Jesús García-Foncillas Horizon Europe abrirá un nuevo periodo donde Europa apostará de manera definitiva por la innovación. El objetivo no es otro que fortalecer la estructura tecnológica de investigación; potenciar la capacidad de innovación, sin perder de vista la generación de empleo.

El punto de partida de este nuevo escenario es el Horizonte 2020, donde ya se habían identificado los objetivos en el campo de la medicina. "Muchas conclusiones han servido para plasmar lo que sí y lo que no deberíamos hacer", explica.

Para trabajar en innovación "hay que hacerlo de forma reglada". Frente a esto, explica el oncólogo, es necesario raciona-

lizar los recursos y la inversión. "Estamos atravesando un momento delicado. Hay que sacar el máximo beneficio posible. Tenemos que animar a la participación, pero esta tiene que estar marcada por la excelencia".

El impacto a nivel científico está claro: "Una ciencia de alta calidad". Sin embargo, ¿cómo encajar este contexto con la agencia reguladora?. La respuesta es clara: coordinación. Como apunta García-Foncillas se han mantenido reuniones conjuntas con la EMA para articular la hoja de ruta. De esos encuentros se esgrimen cinco objetivos que buscan potenciar el retorno de la innovación farmacéutica. El foco está claramente en la medicina de precisión. "No podemos plantear un desarrollo que no venga medido por ella", dice García-Foncillas.



**Esta estrategia busca una "ciencia de alta calidad"**

Asimismo, es necesario plantear la generación de evidencia. "Tenemos que empezar a plantear modelos distintos del desarrollo de fármacos que no siga el modelo actual". Esto significa trabajar con la EMA en modelos no clínicos y al mismo tiempo implica la innovación en el diseño de ensayos clínicos. Sin olvidar tampoco a los pacientes.

Con todo, "Europa tiene que prepararse y no lo estamos para todas las amenazas de salud". La situación actual, matiza, es un claro ejemplo de ello. No obstante y para avanzar, no hay que olvidar que la innovación y la investigación no pueden ser mundos separados de las agencias reguladoras. "Hay que buscar la colaboración con las redes de investigación clínica independiente y con la industria farmacéutica", acota el experto.



***En Roche pensamos que el mejor tratamiento para todos es un tratamiento para cada uno.***

En Roche trabajamos cada día para desarrollar un nuevo modelo de medicina: la medicina personalizada de precisión. Nuestro objetivo es encontrar para cada paciente el tratamiento adecuado en el momento adecuado. Una perfecta combinación de diagnóstico, fármacos y conocimiento. Y esto nos hace estar muy orgullosos.



## PRECIO Y REEMBOLSO

# España ante el reto de adaptar el proceso regulatorio (con precisión)

La evaluación de la innovación en vida real se alza como una herramienta para transformar el modelo

**CARMEN M. LÓPEZ**  
Madrid

La importancia de definir el valor del beneficio clínico está centrando el debate, sobre todo, en el campo de la oncología. Como explicó José Luis Poveda, jefe del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario y Politécnico La Fe, países como Francia, Italia o Alemania nos llevan la delantera en este sentido. "Esto ha sido un concepto que cada vez está calando más en la Unión Europea. Poveda tiene claro que es necesario que España ajuste el proceso regulatorio.

Para el presidente de Farmaindustria, Martín Sellés, es importante entender que debemos valorar la innovación incremental y no solo la transformacional. "Tenemos que tener un debate más balanceado". Sellés recordó que hay un cierto deterioro en el acceso a la innovación



**Los expertos tienen claro que existe un deterioro en el acceso a la innovación**

y en los procesos de precio y reembolso. Es el caso de los IPTs. "¿Tenemos suficientes recursos para elaborar todos los IPTs en un tiempo razonable?", añadió el director general de Janssen.

En esta línea, Roberto Urbez, director General Bristol-Myers Squibb España y Portugal, ahondó en la importancia de tener un proceso reglado para cumplir tiempos definidos y precisos que den predictividad. "Además de evaluar el beneficio clínico, debemos de llegar a acuerdos con las evidencias clínicas de clasificar a los medicamentos e innovaciones. La ciencia nos une y debemos de clasificar a toda la innovación de manera clara".

Urbez fue más allá, ya que considera que es bueno aprender del mundo real. Todo esto permitirá pagar por resultados y evaluar la innovación con datos reales. "Creo que si hay voluntad de definir el proceso y acotar los

tiempos y mirar más allá podemos encontrar soluciones".

Álvaro Rodríguez Lescure, presidente de SEOM, tiene claro que "seremos más justos, más precisos e impactaremos mucho más cuando podamos financiar la innovación real". Algo que contribuirá en la sostenibilidad. "Vivimos el extremo de la pérdida de oportunidad y la sostenibilidad. Hay que buscar el punto intermedio".

El presidente de la Fundación ECO, Vicente Guillem, insistió en la unión del precio y beneficio. Algo que, dijo, no puede ser independiente.

El retraso en la financiación de los fármacos es algo que inquieta. "Es importante basar las evaluaciones en resultados en vida real. Valtermed es buena herramienta, aunque tengo mis dudas acerca de si puede ser útil para tumores sólidos de alta incidencia, como es mama, pulmón o colon", acotó.

## VALOR Y POSICIONAMIENTO DE LOS MEDICAMENTOS

# Definir las especificidades en oncología, clave para acelerar la llegada de fármacos innovadores

**NIEVES SEBASTIÁN**  
Madrid

Actualmente, solo un número limitado de fármacos satisface necesidades clínicas no cubiertas; en concreto, se considera que la innovación representa un 15 por ciento del total de medicamentos. Con esta premisa arrancó Dolores Fraga, subdirectora General de Calidad de Medicamentos y Productos Sanitarios, su intervención en el Foro ECO. Uno de los problemas que puso sobre la mesa es la falta de acceso temprano; y es que subrayó que si se demora la llegada de innovación, se reduce el impacto positivo en el pronóstico de muchos pacientes.

A este respecto, César Hernández, jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la Aemps, añadió que para asegurar la llegada de innovación, es necesario asumir una



parte de riesgos. Por ello consideró que los informes de posicionamiento terapéutico (IPTs) pueden ayudar en la toma de decisiones.

Uno de los puntos al que se refirió Carlos Camps, director de Programas Científicos de la Fundación ECO, fue a que la oncología tiene sus propias especificidades en medición de resultados. Por ello, detalló que para mejorar habrá que definir los criterios a

**Para Camps, para mejorar hay que definir los criterios a evaluar en cada tumor y en cada caso concreto**

evaluar, no ya en cáncer, sino en cada tumor y en cada caso concreto.

### Ayuda en la toma de decisiones

Uno de los puntos al que aludió Federico Plaza, director de Corporate Affairs de Roche Farma, fue a la necesidad de mejora de sistemas de la información. Opinó que con una arquitectura de sistemas sólida e interoperable, se lograría un sistema inteligente que optimice el uso de los recursos. En esta idea coincidió José Alonso, director de la Unidad de Oncología de Pfizer, animando a integrar herramientas como Valtermed con otros registros nacionales.

Rafael López, secretario de la Fundación ECO, destacó que iniciativas como Valtermed son un buen avance para integrarnos en la 'cultura de resultados'.

En sintonía con esto, Eduardo Díaz-Rubio, presidente de Honor

de la Fundación ECO, incidió en que en medicina de precisión se ha de dar un sentido diferente a las evaluaciones, pero sin influir en los tiempos.

Por su parte, Miguel Ángel Casado, director general y fundador de PORIB (consultora científica y estratégica de Farmacoeconomía e Investigación de Resultados en Salud) reconoció el valor de herramientas como Valtermed, aunque planteó la necesidad de integrar conceptos como evaluación y eficiencia.

Para finalizar, Olga Delgado, presidenta de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH), señaló que la administración central debería ganar la fuerza. Para lograrlo, coincidió con Casado en la necesidad de aportar más recursos, además de aprender con experiencias internacionales que ayuden a generar iniciativas nacionales que repercutan en todos los agentes.