

Tecnologías sanitarias

Balance de la innovación en los últimos 40 años

Dr. Daniel Ciriano
Roche



Aviso Legal



La información en esta presentación NO es promocional y no es la intención promover productos o marcas de Roche.

El contenido está dirigido a profesionales involucrados en el cuidado de la salud.

La protección de datos personales y de propiedad intelectual son importantes para nosotros.

Hemos tenido cuidado en cumplir con las normas internacionales y locales a respecto.

Conflicto de interés: Daniel Ciriano ha desempeñado funciones en Roche por más de 25 años a nivel local e internacional.

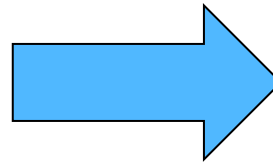
Innovación - Definiciones

- RAE define ***innovación*** como:
 “La creación o modificación de un producto, y su introducción en un mercado”



Innovación - Definiciones

- RAE define ***innovación*** como:
“La creación o modificación de un producto, y su introducción en un mercado”



La medicina está cambiando

... con tendencias claras

Mayor entendimiento de las enfermedades y su **biología**



Avances en la **caracterización** y en la información molecular



Tecnologías emergentes como NGS, nuevas técnicas de imagenología y marcadores digitales



Fuentes de **datos** nuevos y alternativos



Importancia de la **integración** y análisis de los datos



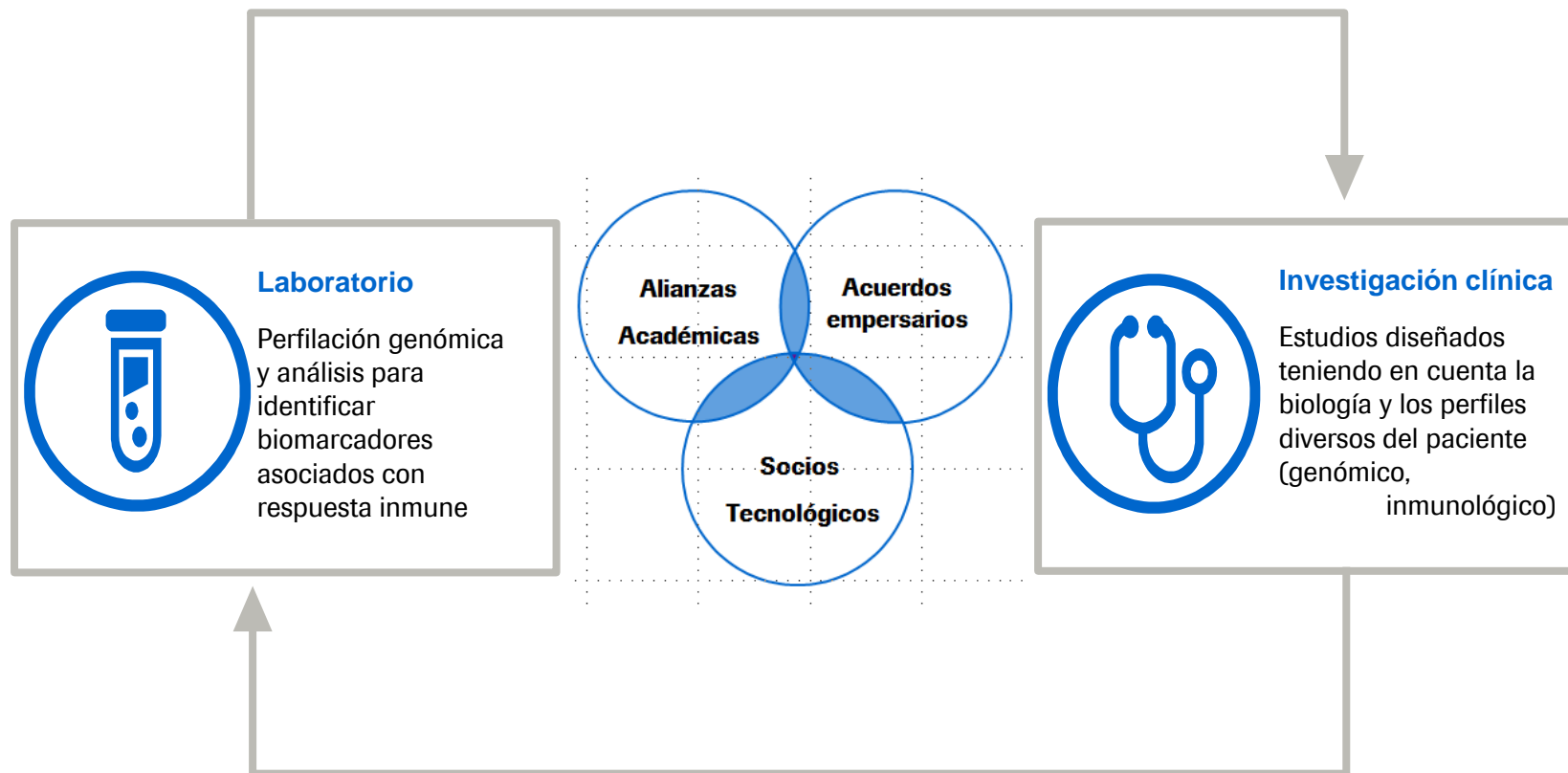
Necesidad de demostrar el **valor médico** de las intervenciones terapéuticas ofrecidas



Estrategias de Desarrollo



Desarrollo de Estudios Clínicos con Diseños Innovadores

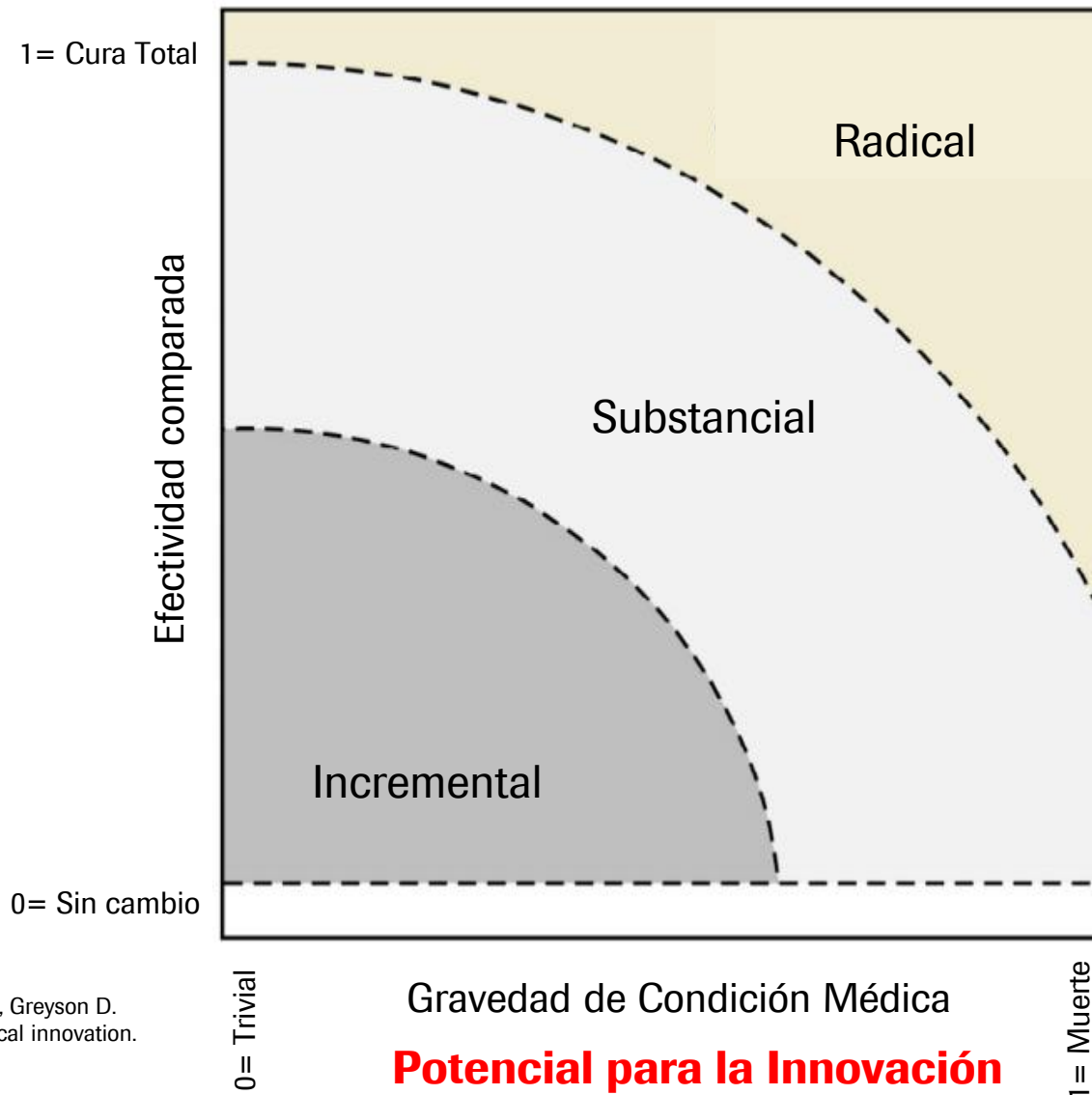


Recolección de datos de biomarcadores de pacientes

Innovación en Productos Farmacéuticos

- Perspectiva de “novedad” como **valor insuficiente**
- La importancia de introducir **criterios de efectividad y mejora del “desenlace clínico”**
(con un perfil riesgo/beneficio adecuado, que cubra una necesidad médica insatisfecha)
- Innovación también implica un **aspecto temporal** y de **entorno tecnológico**
(ejemplo de la *cimetidina* – 1976-78)
(ejemplo de *omeprazol* e *inhibidores de bomba de protones* – 1989)
- **Nuevos fármacos en una misma clase terapéutica** no representan en sí mismos una innovación significativa...
(salvo que impliquen una mejora radical en la adherencia – vía oral vs. intratecal)
(o que impliquen una mejora importante en términos de acceso)
- La innovación debe considerarse tal (y adoptarse...) cuando crea un **valor tangible y diferencial** para la sociedad

Modelo de Innovación Farmacológica



Innovación y beneficios terapéuticos reales*

- Canadá – 1990 a 2000 ▪ 6% de 1147 fármacos aprobados “*mejora terapéutica sustancial*”
- EEUU – 1989 a 2000 ▪ 15% de 1035 fármacos aprobados “*realmente innovadores*”
- Brasil – 2003 a 2013 ▪ 17,6% de los fármacos aprobados “*innovación terapéutica importante*”
- Prescrire – 2007 a 2016 ▪ 23,3% de 231 revisiones realizadas “*algún grado de beneficio*”
- UK – 2001 a 2012 ▪ 26% de 290 fármacos aprobados son “*muy innovadores*”
- Australia – 2005 a 2007 ▪ 32% de 59 fármacos aprobados “*valor terapéutico agregado*”
- EU – 1999 a 2005 ▪ 10% de los fármacos aprobados son “*superadores*”
- Argentina – 2016 ▪ 20% de los fármacos aprobados “*agregan valor terapéutico*”

Algunos Ejemplos de Innovación Radical

- Cancer de mama
 - Terapia hormonal (en Ca de Mama con receptores hormonales +)
 - Trastuzumab (en Ca de Mama Her2+)
- Tirosinemia Hereditaria tipo I
 - Nitisinona
- Onco-hematología
 - Imatinib (Leucemia Mieloide Crónica)
 - Rituximab (Linfoma no-Hodgkin)
- Tratamiento pangenotípico de la Hepatitis C crónica
 - Sofosbuvir/velpatasvir/voxilaprevir

Criterios para FDA (Breakthrough designation)...

- Implica la revisión prioritaria de una molécula
- Los estudios clínicos preliminares – de fase I ó II – hacen suponer una ventaja sustancia frente a opciones existentes (en términos de eficacia/seguridad)
- Para pacientes con dolencias serias o que amenazan la vida
- Algunos ejemplos:

Atezolizumab	Roche	metastatic NSCLC
Olaratumab	Eli Lilly	soft tissue sarcoma
Pembrolizumab	Merck	metastatic NSCLC
Nivolumab	Bristol-Myers Squibb	head and neck cancer
Ocrelizumab	Roche	multiple sclerosis
Dupilumab	Regeneron	atopic dermatitis
Palbociclib	Pfizer	HR-positive, HER2-negative breast cancer
Valbenazine	Neurocrine Biosciences	tardive dyskinesia

Criterios para la Agencia Europea (PRIME designation)

- En Europa la AEM designa como **PR**iority **ME**dicines aquellas moléculas dirigidas a condiciones con *necesidades médicas insatisfechas* y con potencial de ofrecer *una mejora clínica relevante* (comparado con lo existente)
 - La AEM dialoga con los desarrolladores,
 - Participa en el diseño de los estudios clínicos
 - Da guías para el plan de desarrollo de la molécula
 - Interviene en la estrategia regulatoria
 - Y finalmente confirma la posibilidad de una evaluación acelerada para registro

Ejemplos de designación como PRIME

Name*	Substance type	Therapeutic area	Therapeutic indication	Type of data supporting request	Type of applicant	Date of granting PRIME eligibility	Status
Emapalumab (NI-0501)	Biological	Haematology - Hemostaseology	Treatment of primary haemophagocytic lymphohistiocytosis (HLH)	Nonclinical + Clinical exploratory	Novimmune	26/05/2016	Under evaluation
Entrectinib	Chemical	Oncology	Treatment of NTRK fusion-positive, locally advanced or metastatic solid tumours in adult and paediatric patients who have either progressed following prior therapies or who have no acceptable standard therapy	Nonclinical + Clinical exploratory	Roche	12/10/2017	Under evaluation
Onasemnogene abeparvovec	Advanced therapy	Neurology	Treatment of paediatric patients diagnosed with spinal muscular atrophy Type 1	Nonclinical + Clinical exploratory	Novartis	26/01/2017	Under evaluation
Polatuzumab vedotin	Biological	Oncology	Treatment of relapsed and refractory patients with diffuse large B cell lymphoma	Clinical exploratory	Roche/AbbVie	22/06/2017	Under evaluation
Risdiplam	Chemical	Neurology	Treatment of 5q spinal muscular atrophy	Nonclinical + Clinical exploratory	Roche	13/12/2018	Under evaluation
Seladelpar (MBX-8025)	Chemical	Gastroenterology-Hepatology	Treatment of Primary Biliary Cholangitis	Nonclinical + Clinical exploratory	CymaBay	13/10/2016	Under evaluation
Setmelanotide	Chemical	Endocrinology-Gynaecology-Fertility-Metabolism	Treatment of obesity and the control of hunger associated with deficiency disorders of the MC4R receptor pathway	Nonclinical + Clinical exploratory	Rythm Pharma	28/06/2018	Under evaluation

Aspectos que han influenciado las tendencias innovadoras



- Desarrollo de Anticuerpos monoclonales
- Diseño farmacológico racional
- Biomarcadores
- Perfilación genómica
- Medicina personalizada
- Nanotecnología

Aspectos que influenciarán las tendencias innovadoras



- Inteligencia artificial
- Dispositivos de telemetría (sensores, chips, apps)
- Datos del mundo real – Big data
- Innovación reversa
- Impresión 3D
- Potencial del microbioma

Innovación, Sostenibilidad, Acceso

- “Diapositiva” con múltiples actores, una pregunta que no es sencilla...

cómo encarar la brecha entre una innovación que agrega valor terapéutico a pacientes y a la sociedad, y el acceso a esa innovación

... y un final abierto con una solución en manos de todos....

Muchas gracias...

daniel.ciriano@roche.com