

Instituto de España



## **REAL ACADEMIA NACIONAL DE FARMACIA**

Cátedra Pedro Guillén “Medicina Regenerativa”

Conferencia

### **INNOVACION TERAPÉUTICA Y NUEVOS MEDICAMENTOS**

Un cambio de paradigma

**Ignacio Para Rodríguez-Santana.**

Presidente de la Fundación Bamberg



6 de julio 2023 a las 19 horas

C/Farmacia, 11, 28004 Madrid

## **Introducción**

### SLIDE 1

En primer lugar, quiero dar las gracias al Excmo. Sr. don Antonio Doadrio Villarejo, presidente de la Real Academia Nacional de Farmacia, y al académico Excmo. Sr. don Bartolomé Ribas Ozonas, médico y farmacéutico, por su invitación a pronunciar una conferencia en este marco incomparable de sabiduría y de solera en las ciencias de la farmacia. Muchísimas gracias. Y muchas gracias a todos los que nos acompañan en este acto. Me siento muy honrado y es para mí un enorme placer estar aquí.

Trataré de abordar principalmente los aspectos relacionados con la innovación, la gestión, la financiación y el impacto en la asistencia sanitaria de las nuevas terapias y medicamentos que están llegando y por llegar.

### **Innovación**

La innovación ocurre cuando el conocimiento resultante de la investigación se aplica para hacer cosas nuevas o hacer las cosas de una manera diferente. De una manera mejor, más eficiente o más eficaz. Redefiniendo las enfermedades, abordándolas de forma diferente y redefiniendo los procesos de acercamiento a los pacientes y la atención clínica.

### SLIDE 2

La innovación es posible cuando estamos en un proceso competitivo que se desarrolla en un razonable ambiente de libertad. Porque el que innova lo hace para ofrecer soluciones diferentes y mejores que otras. Innova para hacer las cosas mejor y con más éxito que los demás; tener una mejor ventaja comercial, política o social que otras con las que compite.

Si no hay libertad, si no hay competencia, la innovación pierde todo interés. Si no hay competencia, la innovación es extremadamente difícil. Se elimina la gasolina del motor de la innovación.

Hoy operamos en un mundo global y estamos inmersos en un mundo competitivo, en mercados globales con un grado de libertad antes inimaginable de los mercados internacionales.

La innovación ocurre casi a diario y la obsolescencia corre detrás de la innovación.

Esperamos y confiamos en que los políticos y los responsables de las políticas sanitarias, y las propias empresas, sepan apreciar la necesidad de garantizar la libre competencia, y el enorme impacto positivo que tiene la innovación sanitaria en la salud de los ciudadanos, en la vida sana y en la vida social y económica, beneficios para todos.

### SLIDE 3

Prácticamente toda innovación en medicina está condicionada por la innovación tecnológica. Esto ha llevado a la innovación biotecnológica y ésta, a su vez, a la innovación terapéutica. Innovación en medicamentos, en técnicas y procedimientos de diagnóstico, en técnicas y procedimientos terapéuticos, en el uso de la inteligencia artificial, en el tratamiento de grandes volúmenes de datos, en la atención clínica y en la atención y gestión de la salud.

### **Inteligencia Artificial y Big Data**

La inteligencia artificial, junto al el tratamiento de enormes fuentes de datos (Big Data) se convertirá en la herramienta básica para la creación de nuevos fármacos y de nuevos tratamientos terapéuticos.

#### SLIDE 4

Todo esto está empezando a ser posible gracias al colosal desarrollo de la capacidad de procesamiento y almacenamiento de los datos con grandes sistemas de computación, hace solo unos años impensables, y al enorme desarrollo de las comunicaciones y transferencia de datos, que permite almacenar ingentes cantidades de datos y transferirlos casi instantáneamente desde puntos diversos y tratarlos en un tiempo récord.

Gracias a estas capacidades, hemos sido capaces de desarrollar algoritmos para la interpretación y el tratamiento de los datos, de manera que se puedan leer textos e interpretarlos, aunque no estén estructurados, para que nos ofrezcan los resultados deseados. Hemos incorporado inteligencia artificial mediante una transferencia del conocimiento de negocio y su tratamiento través de los algoritmos. Y, es más, hemos introducido algoritmos para que se puedan interpretar los resultados y aprender en base a los mismos, el llamado Machine Learning.

El mundo de la medicina está empezado a ser y será uno de los grandes beneficiarios de la Inteligencia Artificial (AI). Diariamente se produce un número ingente de publicaciones resultado de investigaciones médicas, imposible leer en una vida todo lo publicado en un día, pero que un sistema inteligente es capaz de leer, interpretar, comparar, depurar, validar y obtener resultados en tiempo récord.

Hoy en día, gracias a los tratamientos de grandes volúmenes de datos con información no estructurada y la interpretación del lenguaje natural, se pueden tratar la información sobre diagnósticos en vivo, sensores de estilo de vida, pruebas de laboratorio, historias clínicas, registros médicos electrónicos, datos de ensayos clínicos, datos genómicos, médicos y de los

propios pacientes. Juntos, esos datos, mediante el tratamiento de la Inteligencia Artificial, pueden utilizarse para la mejora de la toma de decisiones para encontrar el tratamiento más efectivo para los pacientes. Para ello es necesario recoger, combinar y estandarizar los datos, usando inteligencia artificial y algoritmos para darles sentido e impulsar el descubrimiento y desarrollo de medicamentos.

La IA en la sanidad será cada vez más decisiva para ofrecer una atención predictiva y de calidad a los pacientes y mejorar los resultados. La IA puede establecer conexiones que los humanos no pueden; también puede encontrar correlaciones, añadir contexto y generar información. Esto podría traducirse en triaje virtual, detección precoz de enfermedades, medicación y atención personalizadas, prevención de errores de diagnóstico o de interacción entre medicamentos, análisis de riesgos de tratamiento y mucho más.

~~En España, la ingente cantidad de datos que contienen las historias clínicas de los servicios de salud de las CC.AA. y de los grupos sanitarios privados es una gran oportunidad para su tratamiento en proyectos de investigación y en el conocimiento de la actividad sanitaria, de los resultados en salud, permitiéndonos mejorar para ser más eficientes y eficaces.~~

~~El resultado más espectacular, no solo será la ayuda que supone a la industria biomédica para el descubrimiento y desarrollo de nuevas terapias, sino en el apoyo a los profesionales sanitarios durante su práctica clínica, tanto en la determinación del diagnóstico, como en la del tratamiento, la prescripción terapéutica, su aplicación, cuidados y seguimiento del paciente. Y toda la información resultante de toda la actividad sanitaria y clínica se volcará al Big Data para alimentar al sistema y mejorarlo.~~

## **Innovación en medicina**

La aplicación de estas innovaciones repercute en la actividad de todos los actores implicados en el funcionamiento del sistema sanitario. Nos obliga a innovar en la clínica, en la asistencia sanitaria, en el abordaje de los pacientes, en la salud pública, en la prevención de enfermedades y en la gestión de los centros de salud.

Los avances en innovación tienen un impacto en el sistema de salud: un impacto financiero, organizativo y de resultados en la salud, en las curas, en la esperanza de vida y en la esperanza de vida saludable.

Los medicamentos ya no son para paliar los efectos de la enfermedad, sino también para curar. Las terapias van dirigidas a la raíz de las enfermedades, a la causa, no solo a paliar sus efectos.

Este planteamiento innovador supone una disrupción respecto a lo que se venía haciendo hasta hace pocos años. Supone un cambio revolucionario en las especialidades médicas, en la organización de la asistencia sanitaria en la en el abordaje clínico.

Estamos adentrándonos en una nueva frontera de la innovación médica. Las nuevas tecnologías, como las terapias génicas y celulares, tienen el potencial de transformar la medicina y crear un punto de inflexión en nuestra capacidad para tratar, e incluso curar, muchas enfermedades intratables o mortales. La nueva medicina es una medicina celular, no básicamente centrada en los órganos como hasta ahora. Una medicina molecular que se basa en el funcionamiento de genes, proteínas y otras moléculas.

### **La nueva medicina**

Muchos de los nuevos descubrimientos, más que productos, son procesos terapéuticos individualizados y pluridisciplinarios.

En esta línea hemos de contemplar los medicamentos innovadores, que van a ser en gran parte medicamentos curativos, las terapias del tipo Car-T, edición genética CRIPS, modificación genética, vectores víricos, células madre, terapias regenerativas, etc. Estas innovaciones terapéuticas, tanto alogénicas como autógenas, y de tratamiento individualizado, supondrán una revolución en el acceso y el tratamiento de los pacientes.

#### SLIDE 5

El desarrollo de las técnicas ARN mensajero, que entrando en las células se incorporan a los ribosomas para fabricar determinadas proteínas o aminoácidos; de las técnicas que, mediante vectores víricos con moléculas de ADN recombinante, son capaces de penetrar en el núcleo de las células con instrucciones para fabricar una proteína; las técnicas CAR-T y el desarrollo de la inmunología, y las técnicas CRISP de edición genética para cortar y modificar secciones de ADN asociados a una enfermedad, están abriendo un enorme campo para tratar el origen molecular de las enfermedades, bien sea genético, metabólico o inmunológico, y posibilitar la curación de muchísimas enfermedades hasta ahora incurables y cuya respuesta de la medicina hasta ahora, se reducía básicamente a paliar los efectos de la enfermedad sobre los órganos y sistemas corporales afectados.

Los nuevos descubrimientos son transversales pudiendo aplicarse esas técnicas a diversas enfermedades al tener la misma base genética o molecular.

~~Obviamente, las compañías biofarmacéuticas y los centros de investigación están trabajando para conseguir tratamientos generalizados que puedan ser aplicables, no solo a un individuo, sino a muchos.~~

En el último cuarto de siglo las muertes por cáncer se han reducido un 20%; en lo que va de siglo los fallecimientos por patologías cardiovasculares han caído casi un 40%; las terapias biológicas han cambiado el curso de las enfermedades reumáticas y autoinmunes; patologías como el sida han dejado de ser mortales, y otras incurables, como la hepatitis C, tienen ya cura.

Pacientes de cáncer, enfermedades cardiovasculares, respiratorias, autoinmunes y mentales, diabetes, VIH/sida, patologías infecciosas, entre otras, han visto mejorar su salud y condiciones de vida gracias a la innovación farmacéutica. También, enfermedades respiratorias, psiquiátricas, neurológicas como el Parkinson, la esclerosis múltiple, reumáticas como la artritis reumatoide y la psoriasis o metabólicas como la diabetes son ejemplos claros de patologías cuyos pacientes se han beneficiado de los tratamientos innovadores.

Estamos logrando la estabilización y la cronificación de enfermedades hasta ahora mortales y muy invalidantes.

Estamos inmersos en el principio de un cambio de modelo en la práctica asistencial, condicionado por la medicina predictiva e individualizada; de un cambio de los productos farmacéuticos basados en la química, con moléculas universales para todos, a un modelo basado en la genómica y proteómica, en la terapia celular y génica y en la farmacogenómica.

La nueva medicina obligará a un cambio de modelo en la práctica asistencial, condicionado por la medicina predictiva e individualizada; de un cambio de los productos farmacéuticos basados en la química, con moléculas universales para todos, a un modelo basado en la genómica, la proteómica y la metabolómica, en la terapia celular y génica y en la farmacogenómica.



Tenemos que ser conscientes de la revolución que se está produciendo con la llegada de nuevos tratamientos terapéuticos de enfermedades graves, en general basados en la medicina personalizada, muchos de ellos no ya paliativos o cronicantes como hasta ahora, sino curativos.

### **Impacto organizativo**

#### SLIDE 6

Ante el reto que tenemos ya con la aparición de productos y terapias innovadoras y disruptivas, que permitirán mejorar los resultados en salud de la población, esta nueva medicina exigirá importantes transformaciones en el abordaje de los pacientes en la organización de los procesos asistenciales y en nuestro Sistema Sanitario en el que, además, se presenta un panorama en el que los pacientes están cada vez más formados e informados y en el que la sociedad demanda la incorporación de estas innovaciones en el sistema de salud.

Todo ello obliga a desarrollar una nueva estrategia para la incorporación de esta innovación terapéutica a las prestaciones sanitarias mejorando en lo posible el acceso a las mismas, haciendo al mismo tiempo sostenible nuestro sistema de salud.

Para lograrlo, hemos de avanzar en la previsión de las innovaciones terapéuticas que están por llegar, de manera que se pueda preparar el Sistema Sanitario para los cambios que será necesario realizar, así como prepararse para su impacto presupuestario. Muchas de estas nuevas terapias pueden tener un alto coste inicial pero, al ser curativas, suponen eliminar casi al 100% los costes futuros, aunque generan un coste inicial difícil de asumir por los presupuestos públicos, Presupuestos que tienen que hacer frente a otros gastos ineludibles las pensiones, los intereses de la deuda pública y otros.

Justo antes de iniciarse la pandemia, en diciembre de 2019, Encarnación Cruz, ex directora general de farmacia del Ministerio de Sanidad y entonces coordinadora de la estrategia de terapias avanzadas de la Comunidad de Madrid, anunció durante una jornada organizada por la Fundación Bamberg, citando a la Agencia Americana de Medicamentos (FDA), la inminente irrupción de un buen número de medicamentos de este tipo en los próximos años. “Hoy, en el mundo, se están llevando a cabo más de 1.000 ensayos clínicos con terapias avanzadas, el 70% de los cuales son ensayos en fases II y III”, lo que nos hace predecir la llegada de un buen número de nuevas terapias y medicamentos innovadores en los próximos años.

~~En 2015 estaban en fase de desarrollo más de 800 fármacos y vacunas para varios tipos de cáncer.~~

El director de la FDA ha augurado que, a partir de 2025, tendremos entre 10 y 20 nuevos medicamentos de terapia avanzada cada año.

Según el informe realizado por la consultora IQVIA, en España sólo están financiados por el sistema público el 54% de los fármacos autorizados en Europa en los últimos años, frente al 88% en Alemania y a los más del 70% de Italia e Inglaterra y el 63% de Francia, y el tiempo medio de aprobación de los nuevos medicamentos ha pasado de 385 días en 2018 a 620 días hoy; 235 días más desde que llegó Sanchez. Muy por encima de los países de referencia.

### **Financiación y acceso**

#### SLIDE 7

Tanto las nuevas terapias como los nuevos medicamentos innovadores son cada vez más específicos y cada vez más eficaces, dirigidos a dianas terapéuticas más reducidas y, por tanto, cada vez

unitariamente más caros. En este sentido, parece necesario asegurar la financiación de la innovación con fondos adicionales aportados desde el Gobierno central a las CCAA cuando el impacto presupuestario sea relevante.

¿Cómo garantizar el acceso a estos tratamientos, teniendo en cuenta que su coste asciende, en algunos casos, a centenares de miles de euros? ¿Cómo va a influir en la práctica clínica, en la organización de nuestro sistema sanitario?

Hay que trabajar desde estos dos puntos de vista; en cómo afrontar estos productos terapéuticos de alto coste y de alta eficacia curativa. Con el fin de hacer frente a estos hechos y evaluar sus resultados. Se están llegando a acuerdos con las compañías farmacéuticas y biotecnológicas que contemplan un techo de gasto o el pago por resultados, entre otras modalidades. Esto va a suponer un control más preciso sobre la prescripción, el consumo y los resultados. Es necesario llegar a un equilibrio en la sostenibilidad financiera del SNS sin renunciar a estas nuevas terapias y medicamentos.

La Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, recoge en el Título VII, “De la financiación pública de los medicamentos y productos sanitarios”, el Artículo 92, sobre “Procedimiento para la financiación pública. Financiación “selectiva” y no indiscriminada”, los criterios para la financiación de los medicamentos innovadores. Al amparo de esta ley, hoy ya existen acuerdos específicos de financiación, como los acuerdos de sostenibilidad: Riesgo compartido (es decir: pago por resultados), techo máximo de gasto, coste máximo por paciente y acuerdos precio-volumen. Todo ello debe apoyarse en herramientas o indicadores clínicos que nos permitan medir los resultados en salud.

De acuerdo con el Plan de Abordaje de las terapias avanzadas en el SNS, el 14 de octubre de 2019, se firmó por el Consejo Interterritorial del SNS el Acuerdo sobre medicamentos de terapia avanzada en el que se reconoce que la fijación de precio será competencia del Consejo Interterritorial y será aplicable a todas las Comunidades Autónomas. Así mismo se fija que los tratamientos a pacientes de otras CC.AA. serán compensados a través del Fondo de Cohesión.

### **Equidad en el acceso**

#### SLIDE 8

La falta de equidad es sumamente manifiesta y así lo manifiestan las Sociedades Científicas Médicas como la Sociedad Española de Cardiología, SEC y la Sociedad Española de Oncología Médica, SEOM, ambas áreas en las que la innovación terapéutica es determinante y su rápida accesibilidad es vital para los pacientes.

La equidad real solo se alcanzaría si se cumplen las siguientes condiciones

- Libertad de elección de centro y servicio en todo el territorio nacional
- Retribución al servicio que le atienda (El dinero sigue al paciente)
- Información transparente de recursos y resultados
- Redes asistenciales y centros de referencia

### **Impacto asistencial**

#### SLIDE 9

Tampoco, desde el punto de vista asistencial, nuestro sistema sanitario está preparado para lo que viene, una medicina personalizada, con base autológica, en la que se emplea sangre y células del paciente, una medicina inmunológica, en la que se

actúa sobre el sistema inmunitario del paciente, una medicina en la que la regeneración de tejidos será una base muy importante de la misma, una medicina basada en el conocimiento genético y en la genómica, la edición genética y la manipulación de los genes, en el comportamiento molecular de las células, en la proteómica, la metabolómica, basada en la singularidad genética y molecular de cada paciente y de cada enfermedad.

Todo esto va a suponer un cambio sustancial en la asistencia sanitaria, en el abordaje de los pacientes, con una organización más transversal en la que, como antes decía, el foco esté en el origen, las causas de las enfermedades y no en los órganos. Una organización preparada para combatir las causas y no solo los síntomas, una medicina más sanadora que reparadora.

#### SLIDE 10

Pero también habrá de organizarse con el fin de medir y evaluar los resultados de esas terapias, de esos medicamentos innovadores. Cómo medir la eficacia de los mismos, cómo medir la efectividad de la curación en los pacientes y cómo registrarlo y coordinarse con los organismos financiadores.

Por ello, es el momento de estudiar entre todos cómo preparar el sistema en relación con los recursos tanto humanos como presupuestarios para la mejor implementación de estas innovaciones y, en definitiva, cómo financiar esta nueva revolución.

#### **Sostenibilidad financiera**

#### SLIDE 11

En la medida en que queramos relacionar su financiación con los resultados en salud, debemos preguntarnos también cómo evaluar los resultados en salud obtenidos, con el fin de conocer la

efectividad de los tratamientos, al tiempo que estos datos obtenidos sobre los resultados sean transparentes y utilizables, nos solo por los gestores sino también por los clínicos y los investigadores en salud.

Nuestro sistema de bienestar no será sostenible si nuestra economía y nuestro modelo político y social no son sostenibles. Ponemos en cuestión nuestra cultura y nuestro progreso económico y, sin embargo, exigimos los bienes y servicios propios de un Estado de Bienestar. Necesitamos que la economía, es decir, que la riqueza crezca y lo haga de manera sostenible en el tiempo para que este bienestar sea posible. Si no hay riqueza solo podremos repartir pobreza. Si no hay riqueza que lo sostenga, no se podrá seguir el ritmo y la calidad de los servicios sanitarios que la sociedad demanda.

#### SLIDE 12

La estructura política con que contamos de 17 comunidades autónomas, con 17 cuerpos legislativos y con una gran autonomía financiera provoca una complejidad administrativa y desigualdades en la financiación que llevan a una diferencia en el gasto sanitario per cápita entre comunidades autónomas de 750 euros por persona, cuando el gasto en el conjunto del estado es de 1907 euros.

Aunque el recorte de los gastos en el funcionamiento de nuestro sistema político y administrativo no sea un fuerte determinante económico, sí es ejemplificante. Es necesario realizar este recorte antes que hacerlo en sanidad.

#### S.IDE 13

El sistema de financiación autonómico es ineficaz y su aplicación a la Sanidad por las Comunidades Autónomas es muy desigual provocando situaciones de inequidad entre los españoles. Pero

también se considera que el sistema de financiación es insuficiente y el porcentaje del PIB destinado a la sanidad pública es de los más bajos de Europa.

Parece unánime la convicción de que la financiación en sanidad, al igual que en educación, debería ser finalista y adaptarse cada año en función de la variación de la demografía en cada Comunidad Autónoma.

Si en la Ley General de Sanidad se preveía un único Sistema Nacional de Salud y 17 Servicios Autonómicos, lo cierto es que el SNS apenas se sostiene y sin embargo, han aparecido 17 Servicios Públicos de Salud. La centralización de todas las decisiones se ha exacerbado por los diferentes gobiernos regionales y los profesionales han sido desplazados de ellas.

El Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud no ha reunido prácticamente nunca al Comité Consultivo, en el están representantes de las empresas y sindicatos, pero en el que tampoco hay representantes de las Sociedades Científicas y Profesionales ni de las Asociaciones de Pacientes.

El alejamiento de la sociedad civil por parte de la clase política es permanente. Uno de los problemas es el de que las decisiones o acuerdos del CISNS no son vinculantes. Aunque se apruebe algo por unanimidad, esto no vincula a ningún gobierno autonómico y, por tanto, cada uno hace lo que quiere; que es lo que pasa en la realidad. Por ello se propone que las decisiones sean vinculantes al menos en materia recursos humanos, sistemas de información, materia de prestaciones e interoperabilidad de las TICS

#### SLIDE 14

Espero que esta conferencia les haga reflexionar y marcarse su opinión de manera que puedan influenciar e inducir a aquellos que son responsables de la gestión asistencial y de las políticas

sanitarias sean capaces de tomar las decisiones y las acciones necesarias en la búsqueda de la excelencia de la sanidad y de nuestro sistema sanitario.

Muchas gracias



