



LOS ENSAYOS DIGITALES Y LOS DATOS SON CLAVES EN LA ACELERACIÓN DEL DIAGNÓSTICO DE LAS ENFERMEDADES RARAS

Las estimaciones indican que hasta 30 millones de personas viven con una enfermedad rara sólo en la Unión Europea. El diagnóstico sigue siendo dolorosamente lento y los pacientes sufren las consecuencias.



CHRIS MOORE,
Presidente de Europa para Veeva Systems.

Con entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras a tener en cuenta, los profesionales sanitarios no suelen detectar los síntomas en poblaciones de pacientes relativamente pequeñas (cinco o menos de cada 10.000 personas). El diagnóstico correcto puede tardar años o no llegar nunca.

Las empresas farmacéuticas que intentan ofrecer tratamientos eficaces para las enfermedades raras tienen muy complicado dar con la clave. Durante el desarrollo, es un reto encontrar, reclutar y retener pacientes para los ensayos. Llegar a un producto viable exige una coordinación perfecta de los datos clínicos, la revisión de documentos y la presentación de solicitudes reglamentarias a través de múltiples funciones. En la fase comercial, los MSL (*Medical Scientific Liaison*) tienen que identificar y contratar a los expertos adecuados para dar forma a su estrategia médica. Tras el lanzamiento, los equipos de campo luchan por acceder a los profesionales sanitarios pertinentes, el 65% de los cuales se reúne con tres o menos empresas farmacéuticas en Europa. Por lo que no es de extrañar que el 95% de las enfermedades raras no tengan un tratamiento aprobado.

Con las probabilidades en contra, las compañías farmacéuticas de todos los tamaños necesitan desbloquear el valor clínico y comercial de su trabajo rápidamente. Es por esto que algunos líderes están transformando su enfoque de los datos y la tecnología para acelerar el acceso de nuevos tratamientos a los pacientes.

Acercar el proceso de desarrollo

Las empresas farmacéuticas necesitan identificar pacientes que padezcan enfermedades raras de forma rápida, rentable y en diferentes lugares para que participen en ensayos clínicos. Afortunadamente, la aceleración de la industria hacia los ensayos digitales hace posible encontrar pacientes repartidos por toda la población manteniendo los costes bajos. Sin embargo, retener su participación en un ensayo puede ser una ardua lucha, sobre todo si el ensayo se realiza en un centro y la salud de los pacientes se deteriora.

Para mejorar la retención, los pacientes merecen tener más opciones sobre cómo participar en los estudios de un día para otro, ya sea en persona o a través de medios digitales, en función de su estado de salud diario y sus preferencias personales. La tecnología portátil, los resultados electrónicos informados por los pacientes (ePRO) y los dispositivos de monitorización a distancia pueden ayudar a hacer el seguimiento del estado de salud de los pacientes. Pero la tecnología debe seguir el ritmo de estos avances científicos. Los sistemas tradicionales de captura electrónica de datos (EDC) ya no ofrecen a los equipos de estudio una visión completa, y los gestores de datos carecen de las herramientas necesarias para gestionar datos no tradicionales a gran escala.

It's Easy To See



Social support



Deforestation



Working together



Sustainability



Environment



Eco-Awareness



Sustainability



Working together



Environment



Deforestation



Corporate responsibility



Government



Social Ethics

BET Sustainability

LAL Reagent Comparison Table	Conventional LAL Reagent	ACC's PyroSmart NextGen® (rCR) Reagent	First Generation Competitor (rFC) Reagent
Sustainable Reagent (animal free)	No	✓ Horseshoe Crab Blood Free	✓ Horseshoe Crab Blood Free
Kinetic Assay	Kinetic	✓ Kinetic	✗ No. Endpoint only
Assay Setup	Single step reconstitution	✓ Single step reconstitution	✗ No. rFC requires three reagents in a 1:4:5 ratio and a 10 min. pre-incubation step
Same Standard Plate Reader	Incubating plate or tube reader at 405 nm	✓ Yes. Incubating plate or tube reader at 405 nm	✗ No. Fluorescent reader required
Derived From <i>Limulus</i> Amebocyte Lysate (LAL)	LAL	✓ Yes. rCR is recombinant LAL	✗ No. Based on <i>Carcinoscorpius</i> or <i>Tachyplesus</i> Amebocyte Lysate (CAL/TAL)
Multi-step Cascade Pathway	Yes	✓ Yes	✗ No
Endotoxin Specific	No	✓ Endotoxin Specific	✓ Endotoxin Specific



Recombinant *Limulus* Amebocyte Lysate
MKT#22-156



Associates of Cape Cod Int'l, Inc.
Your Endotoxin & Glucan Experts

www.acciuk.co.uk • (+44) 151.547.7444
Associates of Cape Cod, Inc. - a Seikagaku Group Company

Ensayos clínicos

Una vez finalizado el ensayo, las empresas necesitan encontrar formas de reducir el tiempo y el coste de desarrollar un tratamiento seguro y eficaz para una enfermedad rara. Un enfoque integrado de la tecnología y los datos podría ayudar a acelerar el desarrollo de sus productos mejorando la colaboración interfuncional y estableciendo una única fuente de información en los ámbitos clínico, regulatorio, de farmacovigilancia y de calidad.

Por ejemplo, la rápida trayectoria de crecimiento de Alexion requirió cuadruplicar el número de ensayos clínicos en tres años, sin sobrecargar a su personal, procesos o sistemas. La empresa fue capaz de construir una base flexible para respaldar el rápido crecimiento de sus proyectos de desarrollo mejorando la gestión de datos clínicos y la supervisión de ensayos, consolidando la información regulatoria y aumentando la eficiencia en la gestión de documentos de calidad. Michael Sauter, *senior director of global regulatory operations*, señala que las partes interesadas empiezan a darse cuenta de la ventaja de tener un único sistema donde se encuentra todo.

Los datos impulsan una interacción con precisión

Una vez que las empresas farmacéuticas tienen un producto autorizado, empieza la carrera para identificar y establecer relaciones con personas clave cuyos conocimientos determinarán la estrategia médica. Encontrar a las personas adecuadas especializadas en las enfermedades raras no es sencillo y puede requerir equipos con recursos limitados para dar prioridad a un puñado de expertos. Como comenta Malcolm Crooks, director de operaciones de COUR Pharmaceuticals trabajó en un programa en el Reino Unido en el que sólo había 300 pacientes en todo el país que padecieran una enfermedad específica, con datos conservados en un registro de Salford, cerca de Manchester. Para Crooks trabajar con un líder de opinión clave, fue un reto único, pero también una oportunidad para entender su ecosistema y descubrir cómo apoyar las necesidades de los pacientes con sus soluciones.

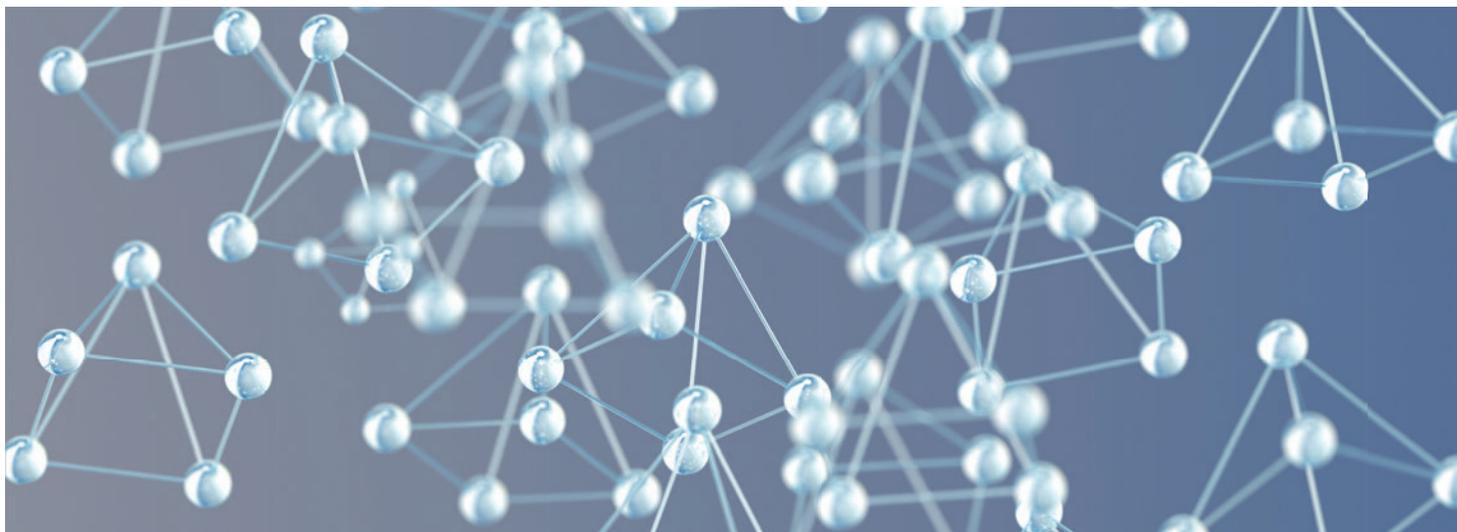
Este gran compromiso requiere una preparación meticulosa. Sin embargo, los MSL están bajo presión para identificar y llegar rápidamente a expertos, líderes de opinión digitales y líderes de la comunidad, con mucha antelación al lanzamiento. Para ser eficaces en su labor de divulgación, necesitan un punto de acceso a información relevante y actualizada sobre los intereses clínicos y académicos de personas clave. Dado el volumen y la velocidad de los datos de investigación clínica que ahora se intercambian y debaten en las redes sociales, los equipos de asuntos médicos que confían en un enfoque manual podrían perder fácilmente el rastro de las últimas novedades [Figura 1]. En

lugar de ello, necesitan un acceso eficaz a las fuentes de las redes sociales y otros recursos publicados, para estar totalmente preparados antes de hablar con un experto.



Fuente: Veeva Link Key People

Tras el lanzamiento, algunas empresas se adelantan al acceso al mercado y priorizan la actividad de campo por tipos de profesionales sanitarios/líderes de opinión, centros primarios y especializados. Se pudo poner en marcha una empresa biotecnológica centrada en enfermedades raras y graves en los países en los que se estaban produciendo lanzamientos porque su equipo directivo tenía acceso a cuadros de mando basados en datos de referencia de clientes limpios y en tiempo real sobre todo el ecosistema que rodea a su medicamento. Gracias a la pronta



visibilidad del potencial del mercado, la empresa pudo incluso contratar personal clave en mercados que aún no se habían lanzado.

Con pocos clientes para un producto determinado, las empresas necesitan organizar eficazmente su limitada capacidad de recursos. Por eso es fundamental que el personal de campo aprecie el valor de la nueva tecnología y empiece a utilizarla. Elodie Privat, responsable de análisis de ventas y operaciones de Novartis Gene Therapies, describe la situación al lanzar un producto para la atrofia espinal y muscular. Tal y como explica Elodie Privat, siempre que lanzan un producto en un país, necesitan datos precisos sobre los profesionales sanitarios y las especialidades. Si no hay datos precisos, no se genera confianza y los usuarios no adoptarán la tecnología.

Los datos pueden señalar el camino a seguir, incluso cuando el recorrido del paciente es complejo y variado (como en las enfermedades autoinmunes raras). En Norteamérica, cada vez se utilizan más los datos completos de los pacientes para trazar los pasos más probables desde el diagnóstico hasta el tratamiento. Por ejemplo, ANI Pharmaceuticals utilizó tecnología y segmentación avanzada de clientes para crear equipos de campo especializados en tan sólo meses, dotándolos de información sobre diferentes segmentos de pacientes, áreas terapéuticas y profesionales sanitarios. Los equipos de campo tienen éxito porque priorizan la interacción basándose en qué médicos tienen las visitas de pacientes más apropiadas y qué tienden a recetar.

Por último, mejorar el conocimiento de una enfermedad rara por parte de los profesionales de la salud es clave para reducir el tiempo de diagnóstico. Para ello, los médicos necesitan un acceso fluido a la información para realizar un diagnóstico precoz, por ejemplo, educación sobre los síntomas que pueden desconocer y que corren el riesgo de

ignorar. En otra empresa, los equipos de campo han compartido con los profesionales sanitarios información sobre la trayectoria del paciente (incluidas encuestas sobre la experiencia del paciente) y otras pruebas del mundo real. Combinando los datos de CRM (por ejemplo, fechas de la última reunión) con fuentes de datos externas (por ejemplo, datos demográficos del personal sanitario, recorridos y actividad online), el equipo de campo ha desarrollado relaciones importantes con los médicos más relevantes del ecosistema sanitario. Esto les permite ofrecer tratamientos innovadores a los pacientes con mayor rapidez gracias a las conexiones establecidas con los médicos.

Afrontar un reto único

Los retos que plantean las enfermedades raras exigen un enfoque diferente en todo el proceso de comercialización de un tratamiento. La tecnología y los datos precisos tienen que trabajar juntos en cada etapa. Los equipos clínicos, comerciales y de acceso al mercado deben poder compartir información y colaborar antes para acelerar el proceso de lanzamiento.

Sin duda, las empresas de todos los tamaños centradas en este ámbito necesitan una visión temprana de la viabilidad del mercado para comercializar nuevos tratamientos a gran escala. También necesitan dotar a los MSL de las herramientas adecuadas para trabajar de forma híbrida, en función de las preferencias y necesidades cambiantes de los profesionales sanitarios.

A pesar de las barreras, las empresas líderes están cada vez más cerca de descubrir y ofrecer tratamientos para los 5 de cada 10.000 afectados por enfermedades raras. Aun así, todavía queda camino por recorrer para llegar a los resultados deseados tanto por los pacientes como por los profesionales sanitarios.