

Guía para el desarrollo y la aprobación de fármacos

Esta información fue elaborada por Gilead Sciences, una empresa biofarmacéutica. Le agradecemos la autorización para imprimir nuevamente el material.

Antes de que un nuevo medicamento pueda ser recetado para su uso debe ser aprobado por el Centro para la Evaluación e Investigación de Fármacos (CDER, por su sigla en inglés) de la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA). El CDER es responsable de supervisar la evaluación y el desarrollo de los nuevos fármacos y sus usos, y de asegurar que los métodos utilizados para su desarrollo sean seguros y efectivos.

CDER en realidad no prueba los nuevos fármacos. Esa responsabilidad le corresponde a la empresa o institución que desarrolla el fármaco, conocido por el nombre de "patrocinador". Antes de que un nuevo tratamiento sea aprobado por la FDA, un patrocinador debe probar ampliamente el nuevo fármaco y presentar la información recopilada al CDER para su revisión.

A lo largo del proceso de desarrollo y evaluación, el CDER examina en detalle absolutamente todo, desde el diseño de las pruebas clínicas del fármaco hasta la naturaleza de los efectos secundarios para las condiciones de fabricación en las que se producirá y envasará.

Evaluación preclínica

Antes de solicitar a la FDA autorización para la prueba de un nuevo fármaco en seres humanos, el patrocinador debe analizar el fármaco en el laboratorio y probarlo exhaustivamente en animales para alcanzar una resolución inicial sobre su seguridad y su efectividad. Estas pruebas preclínicas son el primer paso en el desarrollo y la aprobación de un nuevo tratamiento.

Las pruebas preclínicas marcan el final de la ruta para la gran mayoría de los fármacos bajo experimentación. De acuerdo con la investigación del rubro, sólo uno de cada 1.000 nuevos fármacos potenciales avanza de las pruebas preclínicas a las clínicas.

Aplicaciones de nuevos fármacos en investigación (IND, por su sigla en inglés)

Si las pruebas preclínicas son exitosas, el patrocinador puede presentar una solicitud del nuevo fármaco en investigación ante la FDA. Este documento incluye los resultados de las pruebas preclínicas y propone un "protocolo" para las pruebas clínicas, un plan detallado de cómo el patrocinador probará el fármaco en seres humanos.

Cada protocolo es revisado tanto por el CDER como por un Tribunal de Revisión Institucional Local (IRB, por su sigla en inglés), una comisión independiente de científicos y otros especialistas autorizados para aprobar, modificar o rechazar los diseños de investigación.

Antes de proceder a la prueba clínica, tanto el CDER como el IRB deben determinar si el protocolo de investigación es convincente y si los patrocinadores siguieron los pasos apropiados para informar sobre los riesgos a los participantes de la prueba; y si, además, realizaron todo lo necesario para proteger a los participantes contra cualquier daño.

Pruebas clínicas

Existen cuatro etapas o “fases” de estudios clínicos, las pruebas en seres humanos requeridas para que se considere la aprobación de un fármaco.

Fase I

El principal objetivo para las pruebas de la Fase I es evaluar la seguridad del fármaco y determinar de qué forma se comporta en el organismo (conocido también como farmacocinética). Estas pruebas clínicas iniciales permiten identificar los efectos secundarios más frecuentes de un fármaco cuando es usado durante períodos relativamente cortos (días o semanas). Las pruebas de Fase I frecuentemente investigan los efectos del fármaco en varios niveles de dosis y normalmente involucran una cantidad relativamente pequeña de participantes (entre 20 y 100). Aproximadamente el 70% de los fármacos logra pasar exitosamente las pruebas de la Fase I.

Fase II

Las pruebas de la Fase II son diseñadas para proporcionar evidencia de efectividad (si el fármaco aporta un beneficio para una determinada enfermedad o afección). La seguridad continúa evaluándose y los efectos secundarios a corto plazo también son estudiados. Los estudios de la Fase II generalmente duran desde varios meses hasta dos años e involucran desde varias decenas hasta varios cientos de sujetos. Aproximadamente un tercio de los fármacos que ingresan a las pruebas de la Fase II proceden hasta la siguiente fase.

Fase III

Estos estudios de gran escala involucran a grupos más grandes de participantes y generalmente duran entre uno y cinco años. Las pruebas de la Fase III reúnen información adicional sobre la seguridad y la efectividad del fármaco en distintas dosis, analizando el modo en que afecta a las diferentes poblaciones, así como las interacciones con otros fármacos. Aproximadamente el 30% de los fármacos que ingresan a esta fase continúan intentando la aprobación de la FDA.

Fase IV

Estos estudios “posteriores a la comercialización” tienen lugar solo después de que el fármaco que está siendo probado haya sido aprobado por la FDA. Las pruebas de la Fase IV pueden usarse para evaluar la seguridad y eficacia del fármaco a largo plazo, a fin de explorar los usos alternativos en un tratamiento o sus efectos en otras poblaciones de pacientes.

Solicitud de nuevo fármaco (NDA, por su sigla en inglés)

Antes de que la FDA considere aprobar un nuevo fármaco para su comercialización en los Estados Unidos, el patrocinador debe presentar una Solicitud de Nuevo Fármaco (NDA), un documento que indica la “historia de vida” completa del desarrollo del fármaco. La NDA incluye análisis detallados de los resultados de cada prueba preclínica y clínica, información sobre cómo funciona y se comporta el fármaco en el organismo como así también, información acerca de cómo será fabricado.

Luego de que un patrocinador presenta una NDA, la FDA cuenta con 10 meses (seis, si el fármaco es un componente nuevo para el tratamiento de enfermedades graves) para revisar la solicitud. La FDA luego puede rechazar completamente la solicitud, devolverla al patrocinador por estar incompleta o aprobar el fármaco como tratamiento para una afección específica.

Fuentes: FDA, PhRMA, WebMD.com, AIDSmeds.com, New Mexico AIDS Infonet y AIDSinfo.nih.gov