

Seis estrategias para acelerar la aprobación de terapias celulares y génicas

(Fuente: Un papel blanco presentado por Cardinal Health)

Tras décadas de progreso lento pero constante, las terapias celulares y génicas están alcanzando hitos significativos y demostrando su potencial de ralentizar el avance de las enfermedades, mejorar los resultados y, en algunos casos, hasta curar una variedad de dolencias. Sin embargo, los creadores de estas terapias de punta están encontrando nuevos desafíos a medida que navegan escollos clínicos y regulatorios complejos, especialmente al tratar de obtener aprobación acelerada.

A causa de la índole específica de los pacientes y de las posibles poblaciones limitadas de las terapias, no hay un “libro de reglas y estrategias” para las terapias celulares y génicas. La ciencia detrás de las terapias celulares y génicas es nueva para el personal de la FDA, que debe examinar la evidencia para demostrar la eficacia de todas estas terapias de punta. En el caso de las terapias tradicionales, que requieren procesos de fabricación menos complejos, más del 80% del proceso de revisión de la FDA se concentra en preguntas relacionadas con la eficacia clínica y la seguridad. Por lo general, solo el 20% del proceso de revisión de la FDA se concentra en asuntos que tienen que ver con la fabricación y la entrega. En el caso de estos productos, el desarrollo de nuevas fórmulas propuestas evoluciona de forma paralela con el desarrollo clínico. El enfoque tradicional cambia en las terapias celulares y génicas -- en las que el proceso de fabricación es más complejo -- y en las terapias celulares autólogas, en las que “el producto es el proceso” debido al grado de control que tienen los patrocinadores sobre el proceso de fabricación, que está directamente correlacionado con la manera en que los patrocinadores controlan la calidad de todas las dosis individuales de los pacientes. En estas terapias nuevas, aspectos de calidad vinculados al proceso de fabricación impulsan el desarrollo del programa.

La revisión de la FDA se concentra principalmente en los atributos de calidad críticos de la terapia y en controlarlos en las etapas iniciales de desarrollo, típicamente antes de los estudios clínicos. Los datos sobre la potencia, la fabricación y el método de entrega del producto y la manera en que se administra al paciente se requieren en el inicio del desarrollo. Otra diferencia significativa es que muchas terapias celulares y génicas están patrocinadas por compañías entre pequeñas y medianas que no cuentan con grandes equipos de expertos con una profunda comprensión de las complejidades de trabajar con las autoridades regulatorias de productos para la atención de la salud. Las Ciencias Regulatorias de Cardinal Health™ tienen cuatro décadas de experiencia en ayudar a compañías farmacéuticas y de biotecnología a sacar sus productos al mercado rápidamente y a ejercitar seis estrategias demostradas que pueden ayudar a los patrocinadores de terapias celulares y génicas a reducir el riesgo de fracasar, así como a acelerar la salida al mercado:

(continued on page 2)

Noticias resumidas...

♦ **AmerisourceBergen Corporation (ABC)** informó que sus ingresos del 2º trimestre, finalizado el 31 de mayo de 2020, aumentaron un 9,5 por ciento, a US\$47.400 millones. Las utilidades GAAP diluidas por acción (EPS) fueron de US\$4.64 en el trimestre de marzo de su ejercicio fiscal 2020, frente a US\$0,13 en el mismo trimestre del año anterior. “Si bien nos complace informar otro trimestre de ingresos fuertes y un incremento del EPS diluido ajustado, nos enorgullece todavía más el trabajo que se está haciendo en toda la compañía para asegurar que los pacientes sigan teniendo acceso a productos farmacéuticos en medio de la pandemia de la COVID-19”, dijo *Steven H. Collis*, presidente de la junta directiva y CEO de ABC.

♦ **Walgreens**, en asociación con **LabCorp**, espera añadir lugares de pruebas de la COVID-19 desde automóviles, con concentración en comunidades subatendidas. Los lugares en que se harán las pruebas estarán determinados por el gobierno de Trump y se espera poder hacer la prueba a 50.000 personas por semana. **CVS Health** también se unió al esfuerzo de incrementar el número de pruebas desde automóviles en asociación con el Departamento de Salud y Servicios Humanos y la Asociación Médica Nacional. Ambas compañías también están elaborando métodos para brindar pruebas en empresas, ahora que el país está empezando a reabrirse. En otro orden de cosas, el Día de la Nariz Roja de Walgreens, una campaña para eliminar la pobreza infantil, ocurrirá digitalmente, a causa del distanciamiento social.

♦ **El Grupo Profarma** (de Brasil) anunció que en el primer trimestre de su ejercicio fiscal 2020 sus ingresos brutos aumentaron un 24% y que sus utilidades fueron de R\$46,3 millones, lo que representa un aumento del 41,8%. Las utilidades correspondientes al ejercicio fiscal finalizado el 31

(continued on page 2)



La IFPW de la bienvenida a Johnson & Johnson Health Care Systems como su nuevo miembro de fabricación

Johnson & Johnson Health Care Systems Inc. (JJHCS) es el añadido más reciente a la lista mundial de fabricantes farmacéuticos afiliados a la IFPW. JJHCS proporciona gestión de cuentas y de contratación, así como servicios de cadena de suministro y comerciales a clientes destacados de atención de la salud, entre ellos sistemas de hospitales y organizaciones de compras en grupo, planes de seguros de salud, administradores de prestaciones farmacéuticas, empleadores e instituciones gubernamentales de atención de la salud. La IFPW se enorgullece de darle la bienvenida JJHCS como miembro.

Seis estrategias (cont.)...

- Empiece con un marco de referencia claro y muy colaborativo para que haya liderazgo y comunicación entre los equipos internos
- Envíe mensajes claros y coherentes desde el principio y trabaje entre funciones para controlar, adaptar y mantener coherencia en sus mensajes durante todo el ciclo de vida del producto
- Demuestre tener una comprensión clara de su producto
- Cree — y adapte constantemente — plazos realistas y herramientas para mantener el desarrollo a tiempo y alineado
- Recuerde sacar el máximo provecho de sus interacciones con la FDA. Preste mucha atención y responda extensamente a sus comentarios
- Recuerde que acelerar el desarrollo no es lo mismo que obtener una aprobación acelerada

Los programas de desarrollo de terapias génica y celular son sumamente complejos y su manejo efectivo requiere alineamiento estratégico entre todos los participantes, internos y externos, junto con plazos bien planificados y detallados, y comunicaciones que guíen el progreso en todas las etapas del desarrollo. Los patrocinadores deben ser muy adaptables en sus tratos con la FDA, dado que todas las partes trabajan juntas para entender y demostrar los riesgos y posibles beneficios de cada una de las terapias innovadoras. Crear y poner en práctica planes y plazos claros requiere inversiones iniciales a corto plazo, pero a la larga reducen el riesgo y agilizan la aprobación.

Para obtener más información sobre las estrategias para el éxito de Cardinal Health, visite <https://www.cardinalhealth.com/content/dam/corp/web/documents/whitepaper/cardinal-health-reg-sci-cell-and-gene-therapies.pdf> o envíe un correo electrónico a specialtysolutions@cardinalhealth.com.

El mayor reto de Gilead es contar con un modelo sustentable para remdesivir

(Fuente: Un artículo redactado por Joseph Haas para Scrip)

Gilead, munido con sus datos de eficacia más recientes, busca equilibrar su sustentabilidad económica con la amplia disponibilidad de remdesivir, su tratamiento para la COVID-19.

Un día después de que dos ensayos clínicos indicaron que el medicamento brinda beneficios terapéuticos a pacientes hospitalizados con la COVID-19, el tema dominante de las conversaciones internas de Gilead Sciences Inc. fue el antiviral. Se espera que la Dirección de Alimentos y Fármacos de EE UU (FDA) emita una autorización de emergencia después de que el análisis de datos iniciales realizado por el Instituto Nacional de

EE UU de la Alergia y las Enfermedades (NIAID) y los datos de un estudio en Fase II patrocinado por Gilead indiquen que el fármaco es promisorio.

Remdesivir fue creado inicialmente para el tratamiento de la enfermedad Ébola y se lo promociona como la mayor posibilidad de contar con un tratamiento terapéutico para la COVID-19. El CEO de Gilead, Daniel O'Day, dijo que la compañía está en conversaciones con la FDA para sacar el medicamento al mercado lo antes posible con una autorización de uso de emergencia.

“Adjudicaremos [el medicamento] a medida que las aprobaciones regulatorias entren en línea. Así que sí es posible que cobremos”, dijo O'Day. “Simplemente quiero decir que nuestro objetivo es obtener la aprobación plena de remdesivir”.

O'Day añadió que si bien Gilead donó 1,5 millones de dosis del fármaco para uso compasivo y ensayos clínicos, es probable que empiece a cobrar por remdesivir cuando tenga la autorización de uso. No indicó cuándo lo hará Gilead ni tampoco dijo categóricamente que remdesivir podrá ser un negocio lucrativo, como lo fueron para Gilead los tratamientos del VIH y de la hepatitis C.

No obstante, sí señaló que los comentarios positivos de Anthony Fauci, el director de la NIAID, basados en los datos obtenidos hasta ahora, indican que el panorama del tratamiento del virus cambió y que será necesario comparar remdesivir con otros tratamientos o proporcionar un beneficio añadido, como en el caso de los modelos terapéuticos desarrollados para el VIH.

“Remdesivir está pasando a ser una especie de terapia básica para intentar mejorar la sintomatología, reducir la mortalidad y expandir las poblaciones de pacientes, otros factores que tendremos en consideración para determinar la mejor manera de crear una solución sustentable para remdesivir. Claramente hemos estado pensando en todas esas cosas”, expresó.

En lo referente al impacto de la pandemia sobre el aspecto comercial de Gilead, Andrew Dickinson, el director financiero de la empresa, dijo que el impacto negativo en el primer trimestre fue modesto y que las medidas de acopio de la compañía durante el trimestre aportaron unos US\$200 millones adicionales, especialmente en el ámbito del VIH. En abril, sin embargo, Gilead empezó a ver un mayor impacto sobre su negocio, porque la pandemia afectó la conducta en todo el sector de la atención de la salud.

Noticias resumidas...

de mayo de 2020 fueron de R\$203,9 millones. Los ingresos brutos de su división de distribución ascendieron a la cantidad sin precedentes de R\$1.500 millones, lo que representa un aumento del 31,6%.

El Departamento de Justicia de EE UU eliminó los obstáculos jurídicos que afectaban la distribución de *hidroxicloroquina* a enfermos de coronavirus. AmerisourceBergen, McKesson y Cardinal Health obtuvieron aprobación para distribuir el medicamento. AmerisourceBergen ahora está lista para trabajar con entidades gubernamentales y profesionales de la salud para distribuir *hidroxicloroquina* a pacientes con síntomas del coronavirus. La *hidroxicloroquina* ha sido una opción polémica, pero sus propiedades contra la malaria han sido una opción de

(continued on page 3)

La Reunión General de los Miembros de la IFPW de 2020 aplazada hasta 2021

MÁS INFORMACIÓN ESTARÁ DISPONIBLE EN LOS PRÓXIMOS MESES.

¡IFPW espera darle la bienvenida a Tokio del 6 al 8 de octubre de 2021!

Si tienen alguna pregunta, pónganse en contacto con Christina Tucker en c.tucker@ifpw.com

Noticias resumidas...

tratamiento de la COVID-19. El medicamento exacerbó problemas cardíacos con consecuencias mortales y en EE UU todavía no se realizaron ensayos clínicos para determinar su eficacia.

- ♦ **Pfizer** y **BioNTech** están colaborando en el desarrollo de una vacuna basada en ARN mensajero para combatir la COVID-19. La vacuna se está ensayando en seres humanos y se espera que los resultados de esos ensayos se publiquen a fines de mayo o en junio. Con uno de los plazos más cortos indicados por otros fabricantes farmacéuticos, Pfizer espera que la vacuna esté en circulación a fines del otoño de 2020, dependiendo de que **la Dirección de Alimentos y Fármacos de EE UU** emita una autorización de uso de emergencia.

- ♦ El gobierno japonés está restringiendo la adquisición en el extranjero de productos farmacéuticos, dispositivos médicos, vacunas y productos de sangre necesarios para combatir enfermedades infecciosas, y recientemente añadió “fabricantes biofarmacéuticos” a la lista. Estas reglamentaciones afectan especialmente a compañías de fabricación de tratamientos de enfermedades infecciosas, antibióticos, respiradores y dispositivos de oxigenación por membrana extracorpórea.

- ♦ **Takeda Pharmaceutical** está considerando vender su filial de productos de consumo para la atención de la salud como parte de su plan para ir saldando la deuda proveniente de su adquisición de Shire. También aumentará su adjudicación de recursos para los medicamentos de receta. Se espera que el precio de venta de **Consumer Healthcare**, que ofrece medicamentos de venta libre como *Benza Block* para el catarro, bebidas de energía *Alinamin* y otros productos para la salud sea de entre 300.000 millones y 400.000 millones de yenes, según fuentes informadas.

- ♦ El fabricante farmacéutico **Roche** obtuvo una autorización de emergencia de la FDA para su prueba de detección de anticuerpos de la COVID-19. Tras obtener la aprobación, Roche anunció que la compañía invertirá US\$459 millones en su planta de fabricación en Alemania para incrementar la producción. El gobierno alemán firmó un trato con Roche para garantizar el suministro de 3 millones de pruebas diagnósticas en mayo y otros 5 millones todos los meses subsiguientes. Roche espera producir 100 millones de pruebas por mes para fines de 2020.

(Fuentes: Drug Store News, Newsweek, Scrip y Pharma Japan)