

NÚMERO 6, JUNIO DE 2016

EDITORIAL

Nos complace compartir con ustedes la sexta edición del Boletín DPT, publicado por la Fundación Instituto para el Desarrollo Productivo y Tecnológico Empresarial de la Argentina (DPT), cuya misión es contribuir al desarrollo sinérgico de la ciencia y la tecnología, del ámbito formativo y de los sectores productivos en nuestro país.

En este número nos referimos a tres cuestiones íntimamente vinculadas dentro del sector salud: el descubrimiento y desarrollo de fármacos, la investigación clínica y la evaluación de tecnología médica. En primer lugar reseñamos los testimonios obtenidos a través de nuestras entrevistas a destacados expertos en cada una de dichas cuestiones. Posteriormente, en nuestra sección Referencias, proporcionamos resúmenes de documentos pertinentes.

Confiamos en que los referidos testimonios y referencias contribuyan a difundir el relevante potencial de la Argentina para posicionarse favorablemente –en relación al entorno regional y global- en materia de descubrimiento y desarrollo de fármacos, investigación clínica y evaluación de tecnología médica.

Los animamos a continuar manifestándonos sus sugerencias, necesidades y expectativas acerca del Boletín DPT, para poder darles oportuna respuesta.

Guillermo Gómez Galizia
Presidente

Fundación Instituto para el Desarrollo Productivo
y Tecnológico Empresarial de la Argentina (DPT)

NOTA DE TAPA

INTRODUCCIÓN

El desarrollo de un país en materia de descubrimiento y desarrollo de fármacos, investigación clínica y evaluación de tecnologías sanitarias constituye una base fundamental para propiciar cierto grado de protagonismo o para condicionar su dependencia en dichos campos.

Para lanzar un medicamento al mercado, los institutos de investigación y las empresas farmacéuticas deben transitar una prolongada, compleja y costosa serie de pasos en la búsqueda y descubrimiento de fármacos con eficacia terapéutica, en los estudios pre-clínicos y posteriormente en las sucesivas fases los estudios clínicos. Por su parte, las autoridades reguladoras de cada país disponen también la realización de otros estudios para verificar la seguridad y la eficacia de los medicamentos para su aprobación.

Con el propósito de disponer de información de primera mano acerca de las temáticas encaradas en este número del Boletín, presentamos las reseñas de nuestras entrevistas con el Dr. Claudio Fernández sobre descubrimiento de fármacos, con la Dra. Clelia Magaril sobre investigación clínica, y con el Dr. Andrés Pichon-Riviere sobre evaluación de tecnologías sanitarias.

Confiamos en que los valiosos testimonios de dichos especialistas contribuirán a una creciente comprensión de la importancia de promover el desarrollo de nuestro país en los referidos campos.

DR. CLAUDIO FERNÁNDEZ, DIRECTOR DEL LABORATORIO DE BIOLOGÍA ESTRUCTURAL Y MOLECULAR - INSTITUTO MAX PLANCK, ROSARIO, ARGENTINA

1.- ¿Podría proporcionarnos una visión de las posibilidades del diseño y descubrimiento de fármacos?

Comenzaremos diciendo que el diseño racional y descubrimiento de fármacos representa un relevante motor económico. Cabe considerar que el mercado mundial de medicamentos involucra más de 1 billón (un millón de millones) de dólares por año. El mercado de la Argentina factura 3.500 millones de dólares por año, mientras que el de Brasil supera los 10.000 millones de dólares por año.

Frente a esas magnitudes, debemos reconocer que el desempeño de América Latina en materia de diseño, descubrimiento y desarrollo de fármacos innovadores ha sido prácticamente nulo.

Mientras tanto, las posibilidades son enormes. Cabe tener en cuenta que la inversión realizada en nuestro Laboratorio en Rosario totaliza unos 5 millones de dólares. Si una de nuestras quimiotecas (bibliotecas de compuestos) lograra convertirse en candidato a fármaco y entrara en fase clínica hacia 2022, podrían esperarse ingresos del orden de los 5.000 millones de dólares, con una ganancia que multiplica por mil el monto de la inversión inicial.

Es decir que estamos desarrollando en la Argentina un área de vacancia dentro de la región, con inmenso potencial. Para hacerlo es necesario trabajar en Biología Estructural, que consiste en determinar la estructura de biomoléculas (proteínas), que -junto con la Química- son las dos patas en las que se sustenta el descubrimiento de fármacos.

Para trabajar en Biología Estructural se necesita un espectrómetro de difracción de rayos X o de resonancia magnética nuclear. Personalmente, yo me desempeñé hasta 2006 como jefe de grupo para desarrollar el área en el Instituto Max Planck de Biofísica y Química (MPIbpC) de Göttingen (Alemania), donde adquirí una valiosa experiencia en ese tipo de desarrollos.

2.- ¿Podría reseñar los antecedentes y las características del Laboratorio de Biología Estructural y Molecular?

Decidí regresar a la Argentina al disponer del primer espectrómetro de Resonancia Magnética Nuclear (RMN) de alto campo (600 MHz) en el país, aportado por la Agencia Nacional de Promoción Científica y Tecnológica y el CONICET, para crear el Laboratorio de Biología Estructural y Molecular de Enfermedades Neurodegenerativas. Se trata de un laboratorio único en el país, de referencia internacional, que funciona en el espacio físico del Centro Científico Tecnológico (CCT-Rosario) dependiente del CONICET. El equipo RMN está montado con tecnología de criosonda, para investigar la estructura de biomoléculas directamente en el interior de las células. El laboratorio es uno de los pocos en el mundo especializado en la técnica de "In Cell RMN" (Resonancia Magnética Nuclear en células vivas), una herramienta fundamental para el descubrimiento de fármacos en fase pre-clínica.

Continué vinculado al MPIbpC como Investigador asociado al NMRbased Structural Biology Department, dirigido por el prestigioso científico alemán Prof. Dr. Christian Griesinger, lo que nos permitió potenciar el desarrollo en nuestro país de un área de vacancia como lo era el descubrimiento y diseño de fármacos en fase pre-clínica, a través del Instituto de Investigaciones para el Descubrimiento de Fármacos de Rosario (IIDEFAR, UNR-CONICET).

Posteriormente fui designado director del Laboratorio Max Planck de Biología Estructural, Química y Biofísica Molecular de Rosario (MPLbioR), y de la Carrera de Carrera de Doctorado Internacional, con doble titulación, en Biociencias Moleculares

y Biomedicina, entre la Universidad Nacional de Rosario de Argentina y el Göttingen Research Campus de Alemania (Georg-August Universität de Göttingen e Instituto Max Planck de dicha ciudad de Alemania, la cual tiene 120.000 habitantes y 47 Premios Nobel asociados a su Universidad: el premio Nobel en Medicina 2013 y de Química 2014 fueron ganados por científicos de esa Universidad).

La consolidación de dicho laboratorio a nivel internacional condujo a la creación de la Plataforma Tecnológica de Descubrimiento, Diseño y Desarrollo de Fármacos en fase Pre-clínica de Argentina (SEDIPFAR, UNR-UNC-CONICET), primera en su tipo en América Latina, y del primer Centro Internacional de Microscopía de Excelencia Nikon de América Latina, séptimo en su tipo que la empresa crea a nivel mundial (5 centros ubicados en Europa y un centro en USA) , que depende de la UNR y la empresa Nikon Internacional.

Nuestra labor fue reconocida por el Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva de la Nación (MINCyT) como uno de los Casos Modelo de científicos argentinos repatriados. Por otra parte fui designado Director de la primer Plataforma Federal para la Socialización y Comunicación Pública de la Ciencia (Paísciencia), creada 2014, dependiente del CONICET y del Ministerio de Educación de la Nación.

El descubrimiento y diseño de fármacos es un área de intensa competencia a nivel mundial ya que las respuestas que se buscan van a tener indudable impacto en la calidad de vida de millones de personas. Por otra parte, ofrece enorme rendimiento económico.

En el año 2009 publicamos con nuestro equipo, en la revista Proceedings of the National Academy of Sciences, un trabajo científico describiendo el mecanismo por el cual las moléculas de alfa sinucleína (α -sinucleína) se “pegotean” para luego formar agregados (fibras) insolubles, lo que lleva a la muerte neuronal en el Parkinson (similar al del Alzheimer). Nuestro equipo identificó una región de esos agregados que permitiría diseñar racionalmente fármacos capaces de interrumpir el proceso que desencadena la enfermedad.

Estamos dejando en el país un desarrollo tecnológico, una manera de hacer ciencia en el área de descubrimiento de fármacos que antes no existía.

3.- ¿Cómo afrontan los altos costos y riesgos de este tipo de investigaciones?

Los costos de nuestras investigaciones aumentan sustancialmente en la medida que necesitamos trabajar con modelos animales más complejos (tales como ratas o cerdos primates).

Mientras tanto, las empresas de farma están cada vez menos dispuestas a asumir riesgos, y tienden a tomar los proyectos cuando las fases más riesgosas ya fueron cubiertas.

Por nuestra parte tenemos vínculos internacionales muy fuertes con instituciones que confían en nuestra trayectoria y contamos con el apoyo del Instituto Max Planck, lo que nos permite disponer del apoyo financiero de Clubes de Ángeles.

4.- ¿Podría comentarnos acerca de País Ciencia?

La Plataforma País Ciencia es un Proyecto de Desarrollo Tecnológico y Social (PDTs) que forma parte del Programa de Promoción de Vocaciones Científicas (VocAr) del CONICET, creado en 2014 con mi dirección y con el apoyo de la Subsecretaría de Gestión y Coordinación de Políticas Universitarias (SGCPU) del Ministerio de Educación de la Nación, la Universidad Nacional de Rosario (UNR) y la Fundación Medifé. Se ideó con el fin de impartir charlas y talleres a alumnos y docentes en sus propias escuelas, llevando así la ciencia al interior, a los barrios y las aulas. Asimismo, los estudiantes puedan hacer visitas y pasantías que los acercan directamente al quehacer científico.

País Ciencia permite que chicos de la Villa 31 estén hoy haciendo Biotecnología en Quilmes o Bioquímica en la UBA, lo cual es -a mi entender- una de las mejores contribuciones que puede aportar un científico a la sociedad.

SÍNTESIS DE ANTECEDENTES PROFESIONALES Y ACADÉMICOS DE CLAUDIO O. FERNÁNDEZ

En 2006, luego de una estadía en el Instituto Max Planck de Biofísica y Química (MPIbpC) de la ciudad de Göttingen (Alemania), es repatriado al sistema nacional de ciencia y técnica debido a la adquisición -por parte de la Nación- del primer espectrómetro de Resonancia Magnética Nuclear (RMN) de alto campo (600 MHz). Tras reinstalarse en la Argentina forma el Laboratorio de Biología Estructural y Molecular de Enfermedades Neurodegenerativas, que funciona en el ámbito del Instituto de Investigaciones para el Descubrimiento de Fármacos de Rosario (IIDEFAR, UNR-CONICET). Lleva adelante una intensa actividad de formación y capacitación de recursos humanos, lo que conjuntamente con su status de Investigador asociado al NMR-based Structural Biology Department, dirigido por el Prof. Dr. Christian Griesinger en el MPIbpC, potencia el desarrollo de la Argentina en Biología Estructural basada en Resonancia Magnética Nuclear (RMN). Por sus aportes, es designado Director del EMBO World Practical Course "Structure & Dynamics of Biomolecules by NMR spectroscopy" (2009), curso internacional de referencia en el área de RMN dictado por primera y única vez en América Latina. Los antecedentes mencionados sentaron las bases para la creación del Laboratorio Max Planck de Biología Estructural, Química y Biofísica Molecular de Rosario (MPLbioR) y de la Carrera de Doctorado Internacional, con doble titulación, en Biociencias Moleculares y Biomedicina, entre la Universidad Nacional de Rosario de Argentina y el Göttingen Research Campus de Alemania (Georg-August Universität de Göttingen e Institutos Max Planck de dicha ciudad de Alemania). La consolidación del laboratorio a nivel internacional condujo a la creación de la Plataforma Tecnológica de Descubrimiento, Diseño y Desarrollo de Fármacos en fase Pre-clínica de Argentina (SEDIPFAR, UNR-UNC-CONICET) y del primer Centro Internacional de Microscopía de Excelencia Nikon de América Latina, séptimo a nivel mundial, que depende de la UNR y la empresa Nikon Internacional. Su labor ha sido reconocida por el Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva de la Nación (MINCyT) como uno de los Casos Modelo de científicos argentinos repatriados. Por su labor en tareas de divulgación científica, fue designado Director de la primer Plataforma Federal para la Socialización y Comunicación Pública de la Ciencia denominada País Ciencia, que depende del CONICET y del Ministerio de Educación de la Nación.

DRA. CLELIA MAGARIL. DOCENTE DE LA UBA, INVESTIGADORA, PRESIDENTE DE LA SOCIEDAD DE INVESTIGACIÓN CLÍNICA

1.- ¿Podría proporcionarnos un marco inicial acerca del sentido de la investigación clínica en la Argentina?

En materia de investigación clínica en la Argentina, estamos transitando una fase de intensa lucha para recuperar la posición preponderante que el país ocupaba hasta 2007, cuando nos hallábamos entre los cinco países líderes en ese tipo de estudios.

Tuvimos una caída significativa durante los años 2008 y 2010, en que prácticamente no ingresaron estudios a la Argentina.

Como reacción ante esa caída, se fueron constituyendo sociedades de investigación clínica, primero en Córdoba, después en la Provincia de Buenos Aires, en la Ciudad Autónoma de Buenos Aires, en Rosario, en Neuquén, etc. Con base en la reunión de esas sociedades, el 26/11/ 2010 se fundó la Federación Argentina de Sociedades de Investigación Clínica, con la misión de apoyar el desarrollo de los proyectos que contribuyan al crecimiento de la infraestructura que permita a los investigadores y tecnólogos del país y a todos los actores involucrados, apoyarse en instrumentos modernos y consecuentemente producir trabajos de calidad internacionalmente reconocida, así como impactar favorablemente en la competitividad de la industria nacional.

Además se constituyó el Foro Argentino de Investigación Clínica, la Fundación Cecilia Grierson, la Comisión para el Desarrollo de la Investigación de Farmacología Clínica (CODEINFAC), la FECICA, la Sociedad Argentina de Investigación Clínica, y tuvimos el apoyo de la Cámara Argentina de Especialidades Medicinales (CAEMe).

Todas las organizaciones están adecuadamente intercomunicadas y varias de ellas realizan diversas actividades en conjunto.

2.- ¿Qué factores condicionan la continuidad, la eficiencia y los beneficios de la investigación clínica?

Durante la última década, la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT) aprobó más de 200 medicamentos para el tratamiento de diabetes, SIDA, enfermedades infecciosas, oncológicas, etc. Y lo hizo con base en estudios desarrollados localmente en las distintas fases de la investigación clínica.

Este tipo de estudios, dirigidos a verificar y fundamentar la efectividad y la seguridad de los medicamentos, demanda enormes inversiones y gastos.

Dado que los principales financiadores de esas inversiones y gastos son las grandes empresas farmacéuticas (o laboratorios de especialidades medicinales), éstas tienen muy en cuenta el potencial y el riesgo que asumen en cada caso. Juegan aquí dos factores, por un lado los estímulos fiscales que el Estado asigna a la inversión en esos estudios, mediante exenciones impositivas, y por otro lado, los beneficios provenientes de los desarrollos exitosos.

Cabe tener en cuenta que, si bien existe alto riesgo de que las moléculas que se someten a estudio no superen los estándares de efectividad y seguridad exigidos, una molécula que resulte exitosa puede tener un beneficioso impacto en los pacientes afectados y, al mismo tiempo, puede representar altos rendimientos económicos para quienes invirtieron en su desarrollo.

De allí que las empresas farmacéuticas tiendan a invertir en estudios en aquellos lugares donde los procesos de aprobación de las fases pre-clínicas y clínicas son más rápidos y oportunos. Cabe señalar, en este sentido, que han aparecido nuevos centros altamente competitivos en países como Colombia, India y China.

En la Argentina la aprobación de un protocolo puede llegar a demorar más de 200 días, mientras que la demora normal en otros países puede ser de apenas 90 días. Esta diferencia, que se agudizó entre los años 2008 y 2010, nos descalabró en relación al mundo, ya que prácticamente nadie está dispuesto a invertir en estudios en un país que exhibe semejante nivel de morosidad en las aprobaciones oficiales por parte de los órganos de regulación y control.

3.- ¿Podría referirse a la acción de las sociedades actuantes en la actividad?

Para hacerlo tomaré como referencia a la Sociedad de Investigación Clínica de la Ciudad de Buenos Aires (SICCBA). Su objetivo es propender al creciente desarrollo de la investigación clínica y a la difusión y enseñanza del espíritu científico en el ámbito de la medicina.

Con tal finalidad colabora con la aplicación de la Clasificación Internacional de Funcionalidad, Discapacidad y Salud (International Classification of Functioning, Disability and Health, ICF), lo cual contribuye a reubicar a la Argentina entre los países elegidos para la ejecución y desarrollo de estudios clínicos farmacológicos.

La investigación clínica es una industria en crecimiento. Para su desarrollo es necesario "inducir" -a través de las organizaciones involucradas- la voluntad política de los funcionarios y de los representantes parlamentarios para formular y sancionar las normas pertinentes.

4.- ¿Podría proporcionarnos algunas magnitudes para dimensionar la relevancia cuantitativa y cualitativa de la actividad?

Con una perspectiva regional, debemos tomar en cuenta que pertenecemos a América Latina que abarca 44 países ubicados en Suramérica, Centroamérica y México en América del Norte, con 600 millones de habitantes.

La Argentina reúne un conjunto de factores sumamente favorables para el desarrollo sustentable de la investigación clínica: (a) amplias poblaciones vírgenes de tratamiento, (b) asistencia de salud centralizada, (c) intensa relación médico-paciente, (d) buena capacidad de retención de pacientes, (e) investigadores entrenados en los países más avanzados, y (f) patrones de enfermedades del “primer mundo” y de países en desarrollo.

Para promover un buen funcionamiento -conjunto y armonizado- del conjunto de actores vinculados a la investigación clínica, es fundamental constituir un entorno favorable: recursos humanos; infraestructura física; marco regulatorio favorable; financiamiento de fuentes diversas; inversión adecuada; cultura comunitaria, académica e institucional de demanda de conocimientos; etc.

En el campo de la investigación clínica en humanos, se agrega la actuación de los organismos regulatorios nacionales (ANMAT), los Comités de Ética de los Servicios de Salud Independientes, de las Universidades y de los Hospitales, en relación a los fármacos en estudio, así como las auditorías internacionales realizadas por la Food and Drug Administration (FDA) norteamericana o por la European Medicines Agency (EMA). Todos ellos deben velar por: (a) la seguridad de quienes participan en los estudios, (b) la total realización de los procesos protocolizados según lo prescrito y bajo estrictas normas éticas y de buena práctica clínica, (c) la competencia y calificación de los equipos de trabajo para desarrollar la investigación en humanos, y (d) el cumplimiento de los estándares requeridos para las instalaciones en que se realiza la investigación, así como de los propios Procedimientos Operativos Estándar (POEs).

Creemos fehacientemente que la aceleración de los tiempos de evaluación por parte de las Autoridades Regulatorias, la creación de entidades científicas dedicadas a la investigación clínica y la correcta supervisión de las tareas involucradas, contribuirán al desarrollo y avance de la actividad en nuestro país.

5.- ¿Podría reseñar algunas pautas de conducta exigidas a los investigadores clínicos?

Hoy es cada vez más importante la adecuada formación, calificación y actualización de quienes se dedican a la investigación clínica. Entre las pautas de conducta exigidas a los investigadores destacaría las siguientes: (a) enunciar claramente la eventual influencia del patrocinador en el diseño del estudio, (b) preservar la calidad en la obtención de datos, (c) hacer transparente la investigación clínica en las instituciones en las que realiza, asumiendo la correspondiente responsabilidad, (d) mantenerse actualizado en las buenas prácticas clínicas, regulaciones y normativas vigentes, (e) hacer transparente

el reclutamiento de pacientes, enunciando claramente a éstos el propósito de los estudios en general y en particular, bajo normas vigentes adecuadas, invitándolos a participar acorde a los criterios de ingreso al estudio.

SÍNTESIS DE ANTECEDENTES PROFESIONALES Y ACADÉMICOS DE CLELIA MAGARIL

Profesora Regular Adjunta de la Cátedra de Ginecología de la Universidad de Buenos Aires. Directora Médica del IMAI-Research, Presidente de la Sociedad de Investigación Clínica de la Ciudad de Buenos Aires (SICCBA), Presidente de la Sociedad Argentina de Investigación en Salud Femenina (SAISFEM), Secretaria de la Federación Argentina de Sociedades de Investigación Clínica, Miembro de la Comisión Directiva de la Fundación para la Ética en Investigación Clínica en Latinoamérica (FECICLA), Miembro del Foro Argentino en Investigación Clínica (FAIC), Profesor Miembro del Claustro de Profesores del Master en Climaterio y Menopausia de la International Menopause Society (IMS), Profesora y Autora del Máster en Climaterio y Menopausia de la Universidad Internacional Menéndez Pelayo (España), Fellow del Real Westminster College (Canadá) desde 2013. Maestro del Climaterio de la Asociación Argentina para el Estudio del Climaterio (AAPEC, 2016).

PROF. DR. ANDRÉS PICHON - RIVIERE, MD MSCPH.D - DTOR. DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS Y ECONOMÍA DE LA SALUD DEL IECS (INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLÍNICA Y SANITARIA) - PROF. DE SALUD PÚBLICA, UBA - PEC-PROGRAMA DE EFECTIVIDAD CLÍNICA.

1.- ¿Podríamos comenzar por enunciar los alcances de los conceptos básicos de evaluación de tecnologías sanitarias?

La expresión “tecnologías sanitarias” hace referencia al conjunto de conocimientos incorporados a técnicas, recursos e instrumentos utilizados en la prevención, atención, recuperación y rehabilitación de la salud. Por tanto, incluye, por ejemplo, medicamentos, vacunas, procedimientos clínicos y quirúrgicos, sistemas de atención de servicios de salud, equipamiento y prácticas de diagnóstico y tratamiento.

Por su parte, el término “evaluación” denota –en nuestro ámbito de trabajo- la determinación y exposición sistemática de los efectos e impactos de las tecnologías sanitarias en relación a distintas dimensiones y aspectos. Por ejemplo, la efectividad, el costo-efectividad, la seguridad y los efectos e impactos de un tratamiento de cierta patología -en determinado estadio- sobre la calidad de vida del paciente, sobre el tiempo y calidad de la supervivencia esperable, sobre la economía, cobertura y equidad

del sistema, sobre los requerimientos de calificación y actualización profesional, requerimientos de infraestructura, equipamiento e insumos, riesgos, etc. La evaluación contempla también, por ejemplo, la viabilidad y factibilidad de habilitar ese tratamiento en distintos tipos de establecimientos de acuerdo con sus propias características, posibilidades y restricciones; así como en qué tipo de pacientes se ha verificado la efectividad del tratamiento y en cuáles no.

Como podrá apreciarse, la amplitud y la complejidad de la evaluación de tecnologías sanitarias son inmensas, análogas a las de la Medicina.

2.- ¿Podría proporcionarnos algunas magnitudes acerca de la evolución de los beneficios y de los costos de las tecnologías sanitarias?

Daremos un ejemplo bastante ilustrativo. Una persona a la cual se le diagnosticó un cáncer de colon en un determinado estadio tiene hoy el doble de tiempo medio de supervivencia que hace diez (10) años. Pero el tratamiento es hoy 320 veces más costoso que hace una década.

3.- ¿Cómo caracterizaría la evolución de la investigación clínica y farmacológica?

Podemos decir que durante los últimos veinte (20) años cambió el paradigma de la investigación. Hasta hace dos décadas los descubrimientos se producían prácticamente por casualidad, por accidente o por "serendipia" (un hallazgo no buscado ni esperado).

En la actualidad los procesos de experimentación (de moléculas, de medicamentos) suelen responder a diseños elaborados sistemáticamente. Ello está resultando en una multiplicación de los avances en las diversas tecnologías sanitarias.

4.- ¿Cómo se vincula la evaluación de tecnologías con las políticas sanitarias?

Uno de los propósitos primordiales de la evaluación de tecnologías sanitarias es el de proveer, a los actores involucrados en la formulación de políticas y la adopción de decisiones, dictámenes fundados acerca de la efectividad clínica y sanitaria, así como valoraciones sobre el impacto y las consecuencias económico-financieras de la adopción de tecnologías en los sistemas de prevención, atención y rehabilitación de la salud.

En la actualidad tenemos un modelo de atención de la salud en el cual coexisten dos escenarios netamente divergentes. Por un lado, para ciertos sectores, el acceso a las posibilidades más sofisticadas, como la de moléculas adaptadas para transportar fármacos exclusivamente a las células sobre cuales deben actuar. Por otro lado, la carencia de acceso a los medios más elementales de prevención y atención sanitaria.

Por ejemplo, en la actualidad se registran en el mundo unas 11 millones de muertes de niños por año, de las cuales unas 10 millones podrían prevenirse y evitarse con tecnologías existentes y relativamente accesibles, tales como vacunas, antibióticos y técnicas de hidratación.

El problema reside en cómo distribuir de manera equitativa esas tecnologías para poder prevenir y evitar efectivamente esas 10 millones de muertes. Por supuesto, ello no implica olvidar al millón de niños que mueren anualmente por patologías que aún hoy no son prevenibles, pero se trata aquí de una cuestión de investigación clínica.

5.- ¿Podría referirse al Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS)?

El IECS es una institución académica afiliada a la Facultad de Medicina de la Universidad de Buenos Aires (UBA) que se dedica, desde hace 14 años, a investigación, educación y cooperación técnica en salud.

Su Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Economía de la Salud provee información científica a gobiernos, sistemas de salud e instituciones de la Argentina y Latinoamérica sobre la efectividad y seguridad de dispositivos, vacunas, medicamentos, procedimientos y estudios diagnósticos. Es además centro colaborador de la Organización Mundial de la Salud (OMS) en evaluación de tecnologías sanitarias. La información de evaluaciones de tecnologías sanitarias (ETS) realizadas por esta institución es utilizada por diversas entidades sanitarias para tomar decisiones en base a evidencia científica sólida.

Su equipo de investigación es interdisciplinario. El Departamento se compone de profesionales médicos, economistas de la salud, científicos sociales, bioestadísticos y un bibliotecario. Todos ellos producen anualmente más de 40 informes de ETS y EE por año, destinados a informar a los responsables políticos, profesionales de la salud, pacientes y usuarios, sobre las decisiones de asignación de recursos en relación con la cobertura y las políticas de atención de la salud.

Durante los últimos años el IECS ha sido líder en América Latina en el desarrollo de informes de efectividad clínica y sanitaria y evaluaciones del impacto y las consecuencias económico-financieras de la adopción de tecnologías en los sistemas de atención de salud. Asimismo, coordina diversos proyectos de investigación en Latinoamérica.

El Departamento realiza diversos tipos de documentos. Uno de ellos son Evaluaciones de Tecnologías Sanitarias (ETS). Dichos documentos incluyen una evaluación completa de una tecnología, teniendo en cuenta su eficacia, efectividad, seguridad, rentabilidad y el impacto sobre el sistema de salud local. Los informes se basan en búsquedas sistemáticas de la literatura y la clasificación y síntesis de la evidencia.

Otro tipo de documento se denomina "Informes de Respuesta Rápida". Constituyen una respuesta rápida a una solicitud de información. La búsqueda bibliográfica se centra principalmente en fuentes secundarias (por ejemplo, documentos de HTA de otros organismos, revisiones sistemáticas, metaanálisis, guías de práctica clínica, políticas de cobertura de salud) y los estudios de investigación primaria originales.

Los "Informes Técnicos Breves", por su parte, son evaluaciones preliminares de una tecnología particular de salud que se centran principalmente en la eficacia, efectividad y seguridad. Se basan en la búsqueda bibliográfica, clasificación y síntesis de la evidencia

y no son necesariamente nuestra propia elaboración de datos o análisis de los datos locales. La información podría servir como una evaluación preliminar de un documento completo HTA.

SÍNTESIS DE ANTECEDENTES PROFESIONALES Y ACADÉMICOS DE ANDRÉS PICHON - RIVIERE

Es médico egresado de la Universidad de Buenos Aires (UBA) galardonado con diploma de honor. Se graduó de Máster en Ciencias en Epidemiología en la escuela de Salud Pública de la Universidad de Harvard y de Doctor en medicina con orientación en Salud Pública en la UBA. Actualmente se desempeña como director ejecutivo del Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS) una institución académica afiliada a la Facultad de Medicina de la UBA, y como director del Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Economía de la Salud de dicha institución. También es investigador del CONICET y profesor de Salud Pública y miembro del consejo directivo de la Maestría en Efectividad Clínica de la Universidad de Buenos Aires. Dirige los cursos de posgrado en Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Evaluaciones Económicas del IECS. Es Vice-Presidente de la International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA); integra el Scientific & Professional Programs Committee de Health Technology Assessment International (HTAi), el Health Technology Assessment Council de la International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) y es miembro del Consejo de la Initiative for Cardiovascular Health Research in Developing Countries (IC-Health). En 2008 recibió el Global Health Leadership Award de la Global Health Research Initiative para promover la Evaluación de Tecnologías Sanitarias en la región. Coordina proyectos académicos, de investigación y de cooperación técnica en el área de la evaluación de tecnologías sanitarias y evaluaciones económicas, en cooperación con agencias internacionales, gobiernos e instituciones académicas y privadas en Argentina, Bolivia, Brasil, Chile, Colombia, México, Panamá, Perú, Uruguay y Venezuela. Sus trabajos más recientes están relacionados con el establecimiento de agencias de evaluación de tecnologías sanitarias, la educación y entrenamiento de profesionales, el estudio de costo-efectividad de vacunas, drogas oncológicas y otras tecnologías sanitarias, los mecanismos de asignación de recursos en países en desarrollo y las enfermedades crónicas.

**PROF. DR. ANDRÉS PICHON - RIVIERE,
MD MSCPH.D - DTOR. DE EVALUACIÓN
DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS Y ECONOMÍA
DE LA SALUD DEL IECS (INSTITUTO DE
EFECTIVIDAD CLÍNICA Y SANITARIA) -
PROF. DE SALUD PÚBLICA, UBA - PEC-PROGRAMA
DE EFECTIVIDAD CLÍNICA.**

1.- ¿Podríamos comenzar por enunciar los alcances de los conceptos básicos de evaluación de tecnologías sanitarias?

La expresión “tecnologías sanitarias” hace referencia al conjunto de conocimientos incorporados a técnicas, recursos e instrumentos utilizados en la prevención, atención, recuperación y rehabilitación de la salud. Por tanto, incluye, por ejemplo, medicamentos, vacunas, procedimientos clínicos y quirúrgicos, sistemas de atención de servicios de salud, equipamiento y prácticas de diagnóstico y tratamiento.

Por su parte, el término “evaluación” denota –en nuestro ámbito de trabajo- la determinación y exposición sistemática de los efectos e impactos de las tecnologías sanitarias en relación a distintas dimensiones y aspectos. Por ejemplo, la efectividad, el costo-efectividad, la seguridad y los efectos e impactos de un tratamiento de cierta patología -en determinado estadio- sobre la calidad de vida del paciente, sobre el tiempo y calidad de la supervivencia esperable, sobre la economía, cobertura y equidad del sistema, sobre los requerimientos de calificación y actualización profesional, requerimientos de infraestructura, equipamiento e insumos, riesgos, etc. La evaluación contempla también, por ejemplo, la viabilidad y factibilidad de habilitar ese tratamiento en distintos tipos de establecimientos de acuerdo con sus propias características, posibilidades y restricciones; así como en qué tipo de pacientes se ha verificado la efectividad del tratamiento y en cuáles no.

Como podrá apreciarse, la amplitud y la complejidad de la evaluación de tecnologías sanitarias son inmensas, análogas a las de la Medicina.

2.- ¿Podría proporcionarnos algunas magnitudes acerca de la evolución de los beneficios y de los costos de las tecnologías sanitarias?

Daremos un ejemplo bastante ilustrativo. Una persona a la cual se le diagnosticó un cáncer de colon en un determinado estadio tiene hoy el doble de tiempo medio de supervivencia que hace diez (10) años. Pero el tratamiento es hoy 320 veces más costoso que hace una década.

3.- ¿Cómo caracterizaría la evolución de la investigación clínica y farmacológica?

Podemos decir que durante los últimos veinte (20) años cambió el paradigma de la investigación. Hasta hace dos décadas los descubrimientos se producían prácticamente por casualidad, por accidente o por “serendipia” (un hallazgo no buscado ni esperado).

En la actualidad los procesos de experimentación (de moléculas, de medicamentos) suelen responder a diseños elaborados sistemáticamente. Ello está resultando en una multiplicación de los avances en las diversas tecnologías sanitarias.

4.- ¿Cómo se vincula la evaluación de tecnologías con las políticas sanitarias?

Uno de los propósitos primordiales de la evaluación de tecnologías sanitarias es el de proveer, a los actores involucrados en la formulación de políticas y la adopción de

decisiones, dictámenes fundados acerca de la efectividad clínica y sanitaria, así como valoraciones sobre el impacto y las consecuencias económico-financieras de la adopción de tecnologías en los sistemas de prevención, atención y rehabilitación de la salud.

En la actualidad tenemos un modelo de atención de la salud en el cual coexisten dos escenarios netamente divergentes. Por un lado, para ciertos sectores, el acceso a las posibilidades más sofisticadas, como la de moléculas adaptadas para transportar fármacos exclusivamente a las células sobre cuales deben actuar. Por otro lado, la carencia de acceso a los medios más elementales de prevención y atención sanitaria.

Por ejemplo, en la actualidad se registran en el mundo unas 11 millones de muertes de niños por año, de las cuales unas 10 millones podrían prevenirse y evitarse con tecnologías existentes y relativamente accesibles, tales como vacunas, antibióticos y técnicas de hidratación.

El problema reside en cómo distribuir de manera equitativa esas tecnologías para poder prevenir y evitar efectivamente esas 10 millones de muertes. Por supuesto, ello no implica olvidar al millón de niños que mueren anualmente por patologías que aún hoy no son prevenibles, pero se trata aquí de una cuestión de investigación clínica.

5.- ¿Podría referirse al Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS)?

El IECS es una institución académica afiliada a la Facultad de Medicina de la Universidad de Buenos Aires (UBA) que se dedica, desde hace 14 años, a investigación, educación y cooperación técnica en salud.

Su Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Economía de la Salud provee información científica a gobiernos, sistemas de salud e instituciones de la Argentina y Latinoamérica sobre la efectividad y seguridad de dispositivos, vacunas, medicamentos, procedimientos y estudios diagnósticos. Es además centro colaborador de la Organización Mundial de la Salud (OMS) en evaluación de tecnologías sanitarias. La información de evaluaciones de tecnologías sanitarias (ETS) realizadas por esta institución es utilizada por diversas entidades sanitarias para tomar decisiones en base a evidencia científica sólida.

Su equipo de investigación es interdisciplinario. El Departamento se compone de profesionales médicos, economistas de la salud, científicos sociales, bioestadísticos y un bibliotecario. Todos ellos producen anualmente más de 40 informes de ETS y EE por año, destinados a informar a los responsables políticos, profesionales de la salud, pacientes y usuarios, sobre las decisiones de asignación de recursos en relación con la cobertura y las políticas de atención de la salud.

Durante los últimos años el IECS ha sido líder en América Latina en el desarrollo de informes de efectividad clínica y sanitaria y evaluaciones del impacto y las consecuencias económico-financieras de la adopción de tecnologías en los sistemas de atención de salud. Asimismo, coordina diversos proyectos de investigación en Latinoamérica.

El Departamento realiza diversos tipos de documentos. Uno de ellos son Evaluaciones de Tecnologías Sanitarias (ETS). Dichos documentos incluyen una evaluación completa de una tecnología, teniendo en cuenta su eficacia, efectividad, seguridad, rentabilidad y el impacto sobre el sistema de salud local. Los informes se basan en búsquedas sistemáticas de la literatura y la clasificación y síntesis de la evidencia.

Otro tipo de documento se denomina "Informes de Respuesta Rápida". Constituyen una respuesta rápida a una solicitud de información. La búsqueda bibliográfica se centra principalmente en fuentes secundarias (por ejemplo, documentos de HTA de otros organismos, revisiones sistemáticas, metaanálisis, guías de práctica clínica, políticas de cobertura de salud) y los estudios de investigación primaria originales.

Los "Informes Técnicos Breves", por su parte, son evaluaciones preliminares de una tecnología particular de salud que se centran principalmente en la eficacia, efectividad y seguridad. Se basan en la búsqueda bibliográfica, clasificación y síntesis de la evidencia y no son necesariamente nuestra propia elaboración de datos o análisis de los datos locales. La información podría servir como una evaluación preliminar de un documento completo HTA.

SÍNTESIS DE ANTECEDENTES PROFESIONALES Y ACADÉMICOS DE ANDRÉS PICHON - RIVIERE

Es médico egresado de la Universidad de Buenos Aires (UBA) galardonado con diploma de honor. Se graduó de Máster en Ciencias en Epidemiología en la escuela de Salud Pública de la Universidad de Harvard y de Doctor en medicina con orientación en Salud Pública en la UBA. Actualmente se desempeña como director ejecutivo del Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS) una institución académica afiliada a la Facultad de Medicina de la UBA, y como director del Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Economía de la Salud de dicha institución. También es investigador del CONICET y profesor de Salud Pública y miembro del consejo directivo de la Maestría en Efectividad Clínica de la Universidad de Buenos Aires. Dirige los cursos de posgrado en Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Evaluaciones Económicas del IECS. Es Vice-Presidente de la International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA); integra el Scientific & Professional Programs Committee de Health Technology Assessment International (HTAi), el Health Technology Assessment Council de la International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) y es miembro del Consejo de la Initiative for Cardiovascular Health Research in Developing Countries (IC-Health). En 2008 recibió el Global Health Leadership Award de la Global Health Research Initiative para promover la Evaluación de Tecnologías Sanitarias en la región. Coordina proyectos académicos, de investigación y de cooperación técnica en el área de la evaluación de tecnologías sanitarias y evaluaciones económicas, en cooperación con agencias internacionales, gobiernos e instituciones académicas y privadas en Argentina, Bolivia, Brasil, Chile, Colombia, México, Panamá, Perú, Uruguay y Venezuela. Sus trabajos más recientes están relacionados con el establecimiento de agencias de evaluación de tecnologías sanitarias, la educación y entrenamiento de profesionales, el estudio de costo-efectividad de vacunas, drogas oncológicas y otras tecnologías sanitarias, los mecanismos de asignación de recursos en países en desarrollo y las enfermedades crónicas..

PROGRAMA DE GRANDES INSTRUMENTOS Y BASES DE DATOS

El Programa de Grandes Instrumentos y Bases de Datos funciona en la órbita de la Subsecretaría de Coordinación Institucional, dependiente de la Secretaría de Articulación Científico Tecnológica del Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva. Esta iniciativa apunta a mejorar la coordinación de actividades, con el fin de optimizar el uso de los recursos.

A través de Sistemas Nacionales (SSNN), el Programa promueve que los grandes equipamientos científicos adquiridos por el Estado, junto con los datos primarios resultantes de investigaciones con ellos realizadas, estén disponibles al público. Los SSNN actúan en diversas áreas de interés para la comunidad científica, respondiendo a necesidades, demandas o a déficits comunes, detectados por los organismos científicos de todo el país.

Entre los datos administrados por el Programa destacan aquellos referidos al uso, ubicación, antigüedad e insuficiencias de los equipos, los cuales resultan fundamentales para determinar qué mejorar, qué renovar, qué adquirir, dónde y por qué. Por ende, se desarrollaron las siguientes herramientas de análisis:

Sistema de Gestión de Turnos: herramienta online que permite mejorar el acceso al equipamiento científico de gran porte, dándole visibilidad y proveyendo información confiable sobre sus diversos usos y usuarios.

<http://www.microscopia.mincyt.gov.ar/turnos.php>

Mapa de Servicios de equipos adheridos a los SSNN: basada en los datos proporcionados al momento de la adhesión institucional, y registro del equipamiento al SN correspondiente. Esta herramienta provee información sistematizada y actualizada del equipamiento disponible en el país. <http://sistemasnacionales.mincyt.gov.ar/mapa/index.html>

Bajo el lema "Sistemas Nacionales: Articulando Ciencia e Industria", se impulsa un uso más intenso de los equipos por parte del sector productivo. A través de talleres con empresarios, industriales e investigadores se apuesta a conectar necesidades con prestaciones. La próxima edición del Taller se realizará el 30/6 con el tema: Nanotecnologías.

El Programa integra 15 Sistemas Nacionales:

- Sistema Nacional de Microscopía (SNM)
- Sistema Nacional de Resonancia Magnética (SNRM)
- Sistema Nacional de Computación de Alto Desempeño (SNCAD)
- Sistema Nacional de Rayos X (SNRX)
- Sistema Nacional de Espectrometría de Masas (SNEM)

- Sistema Nacional de Láseres (SINALA)
- Sistema Nacional de Citometría de Flujo (SNCF)
- Sistema Nacional de Magnetometría (SNMAG)
- Sistema Nacional de Bioterios (SNB)
- Sistema Nacional de redes Avanzadas (SNRA)
- Sistema Nacional de Datos Bilógicos (SNDB)
- Sistema Nacional de Datos del Mar (SNDM)
- Sistema Nacional de Repositorios Digitales (SNRD)
- Sistema Nacional de Datos Climáticos (SNDC)
- Sistema Nacional de Datos Genómicos (SNDG)

El Programa apoya económicamente a las instituciones adheridas, para incidir en:

- La formación de personal que se desempeña con el equipamiento o los datos
- Las mejoras necesarias al equipamiento central
- La adquisición de equipamiento complementario
- El fortalecimiento de las bases de datos primarios de investigación y los repositorios.
- Para más información, accede a <http://sistemasnacionales.mincyt.gob.ar/>

(*) Subsecretario de Coordinación Institucional (SSCI) de la Secretaría de Articulación Científico Tecnológica del Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva de la Nación.

(**) Directora Nacional de Recursos Físicos de Ciencia y Tecnología (SSCI).

(***) Responsable de la Secretaría Ejecutiva del Programa de Grandes Instrumentos y Bases de Datos (SSCI).

REFERENCIAS

Esta sección incluye una selección de referencias documentales vinculadas con la temática de este número: “Descubrimiento y desarrollo de fármacos, investigación clínica y evaluación de tecnología médica”.

Mediante el clickeo de uno de los títulos, el lector accederá al resumen del documento, el cual incluye el enlace al texto completo del mismo.

Los títulos para acceder a los respectivos resúmenes y enlaces a los textos completos son los siguientes:

- Nuevo impulso para el crecimiento de las empresas farmacéuticas
- Descubrimiento de fármacos
- Descubrimiento y desarrollo de medicamentos
- Los químicos y el descubrimiento de fármacos
- Desarrollo de nuevos fármacos: desde la invención a la farmacia
- ¿Cómo se descubren y se desarrollan los medicamentos biotecnológicos?
- Evaluación de tecnologías médicas basada en la evidencia
- Los diez fármacos más vendidos supusieron más de \$96.000 millones de ingresos para sus fabricantes en 2015
- Aprovechamiento de “grandes datos” para la sostenibilidad ambiental del cuidado de la salud



Nota del Editor: El editor no se responsabiliza por los conceptos u opiniones vertidos en las entrevistas, artículos y documentos reseñados en este Boletín, los cuales son de exclusiva responsabilidad de los respectivos entrevistados, autores o colaboradores.

STAFF BOLETÍN DPT

Director:

Sr. Guillermo Gómez Galizia.

Coordinador Editorial:

Lic. José Luis Tesoro

Asesor:

Dr. Carmelo Polino

ISSN 2525-040X