Centro de Investigación Biomédica en Red

Enfermedades Raras

INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA ACADEMIA

21 de octubre de 2019. Universidad de Deusto. Bilbao

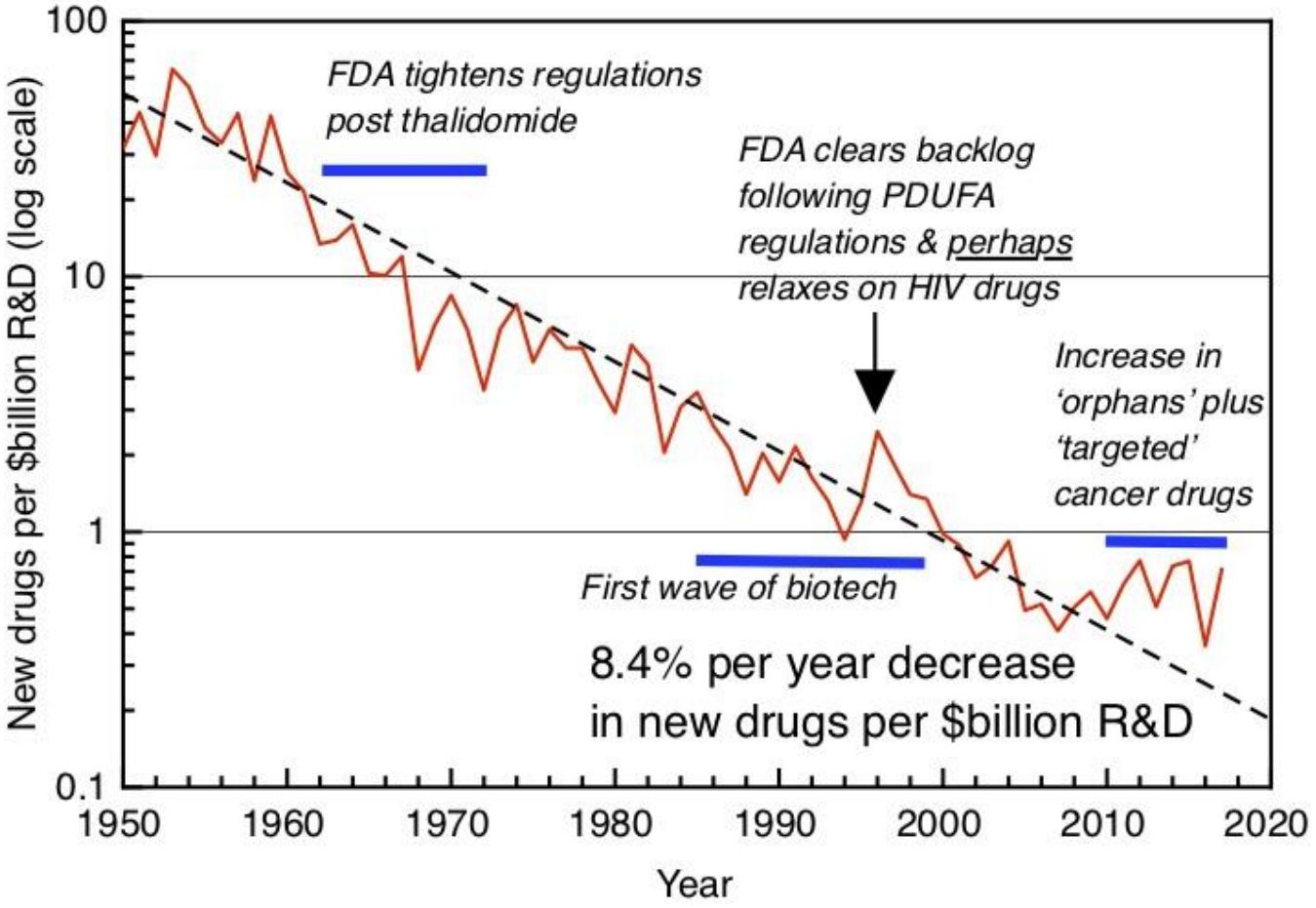
MINISTERIO
DE CIENCIA, INNOVACIÓN
Y UNIVERSIDADES

Instituto
de Salud
Carlos III

¿Qué está pasando en la academia?

- Cambios en la industria farmacéutica
  - (1995 - 2015)

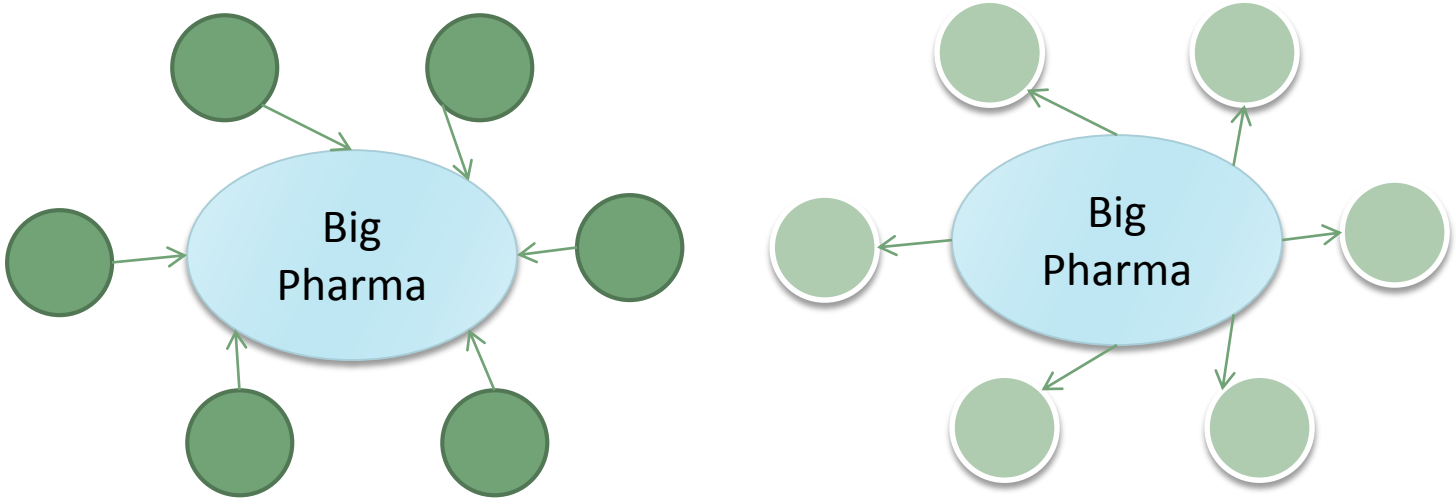
1.-Descenso de la productividad en el desarrollo de medicamentos



Scannell et al.

2.1-Cambio de modelo

- Modelo ‘bigger is better’ vs ‘leaner and focused’.

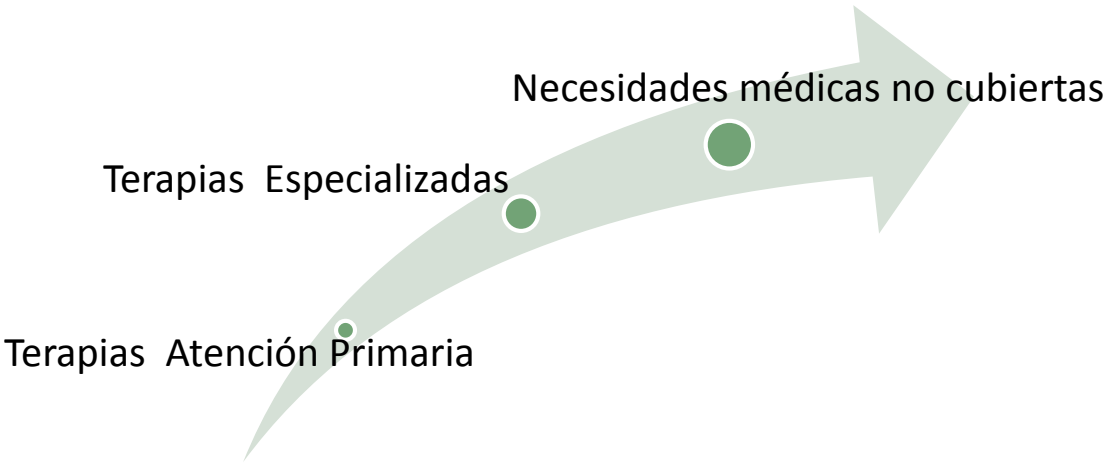


1995-2005

2010-

Hubs *vs* *Hotspots*

2.2-Cambio de modelo

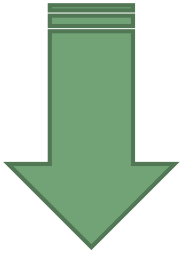


- Mejor conocimiento biológico para desarrollar medicinas más precisas
- Avances en el desarrollo tecnológico aplicado a terapias (
- Marco regulatorio favorable. Tiempos de desarrollo. Precios y reembolsos
- Empresas monofármaco (Fase I/II)

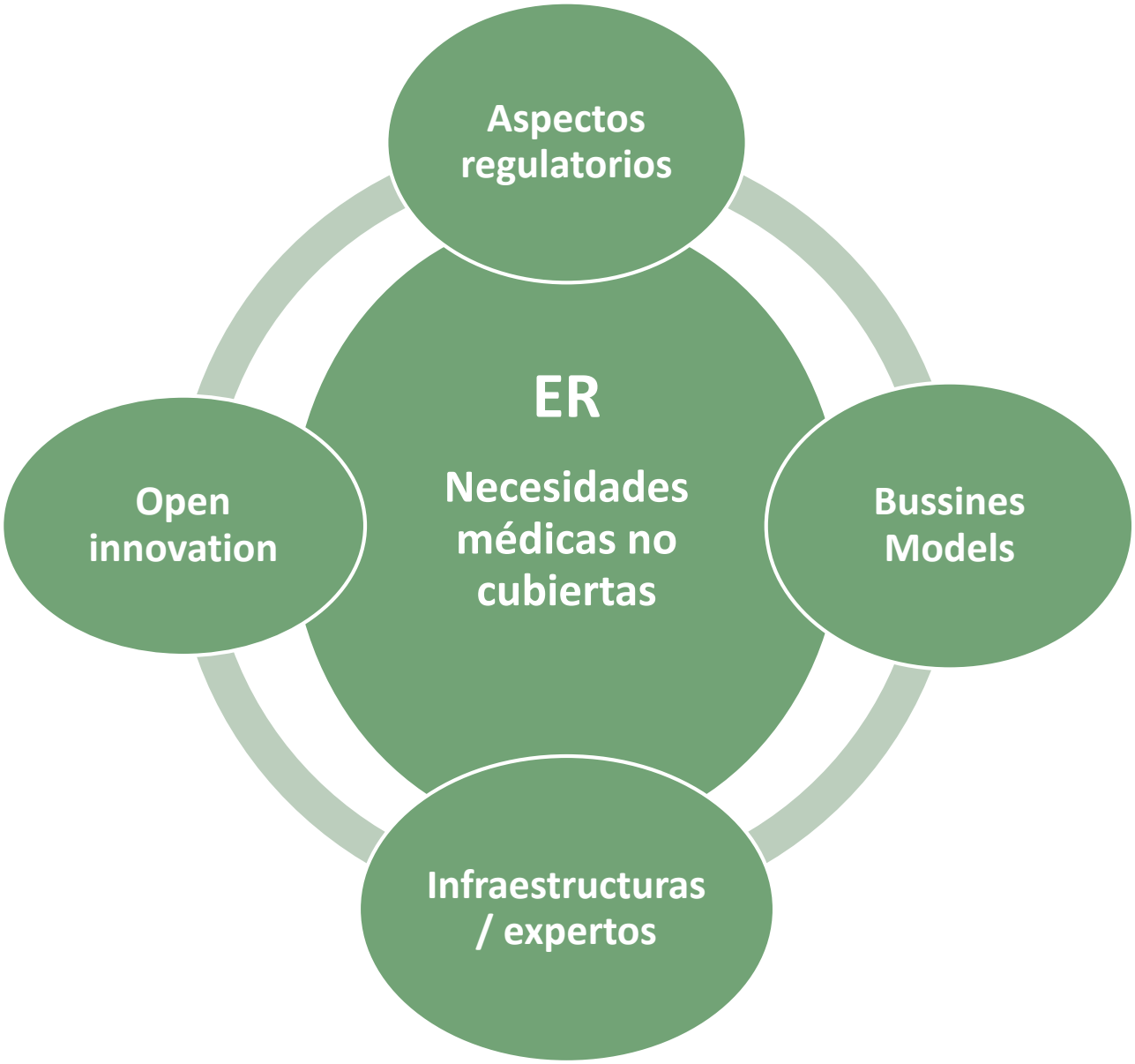
3.-Oportunidades surgidas para la academia

- Incentivos de los programas de investigación traslacional/Innovación.
- National Center for Accelerating Translational Science (NCATS), IIS, CIBERER, ERN.
- Open Innovation big pharma.
- Terapias avanzadas.
- Incremento de alianzas y acuerdos = Experiencia.

4.- Academia tiene retos diferentes a la industria farmacéutica



Consecuencias en ER



Desarrollo de MMHH

Drug Discovery → Tests preclínicos → Fase I → Fase II → Fase III → Comercializacion

GUÍA RÁPIDA
para investigadores

DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS PARA ENFERMEDADES RARAS

ciberer

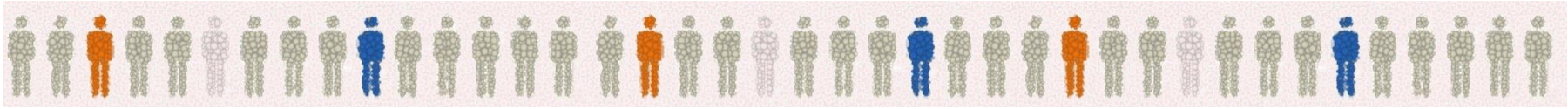
Desarrollo de MMHH

ODD

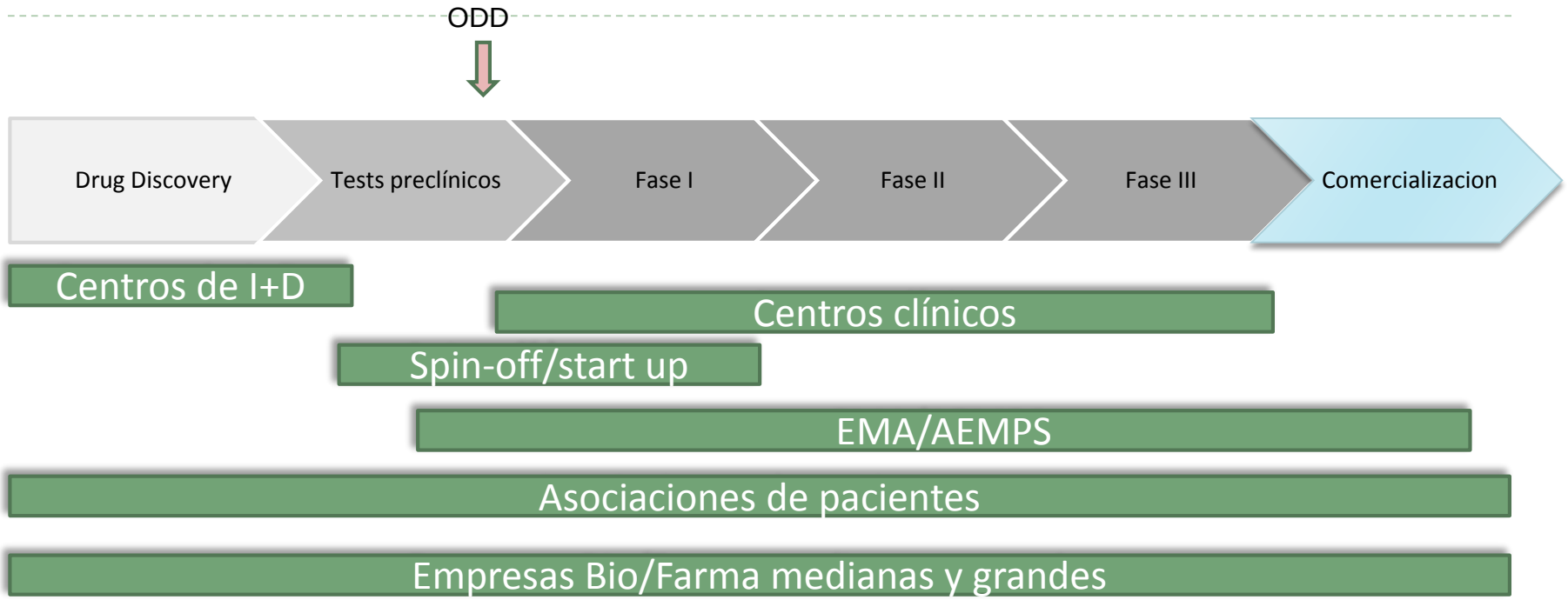
Drug Discovery | Tests preclínicos | Fase I | Fase II | Fase III | Comercializacion

Death valley

EUROPEAN MEDICINES AGENCY



Desarrollo de MMHH

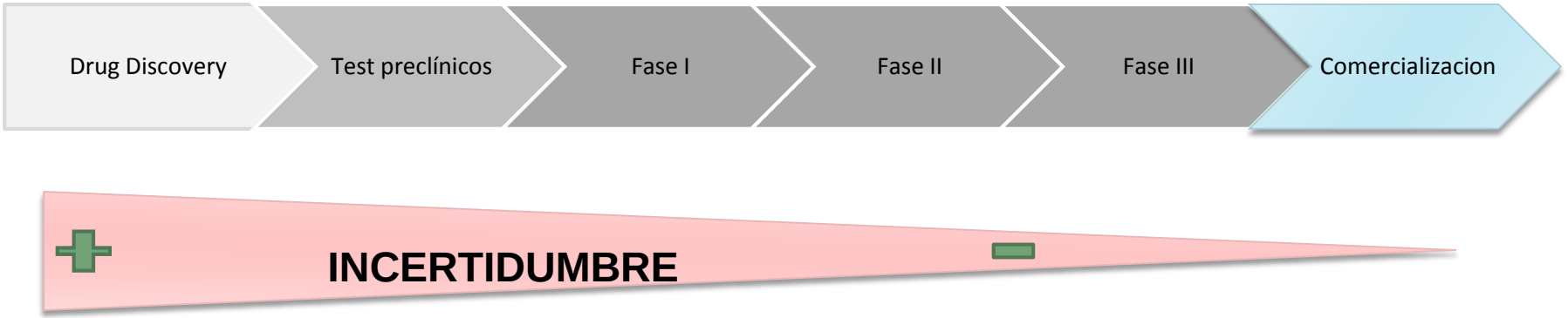


Valorización de medicamentos en desarrollo

Perspectiva de la academia

- **Lo antes posible**
- **Objetivo: Reducir incertidumbre**

Valor de un medicamento en desarrollo



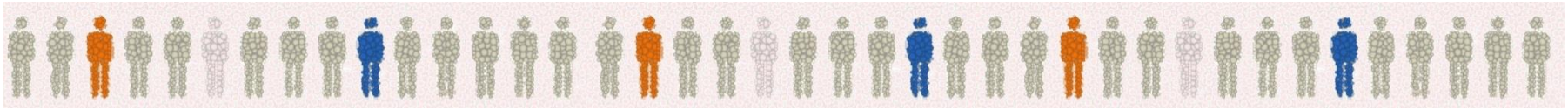
•La inversión en nuevos medicamentos tiene un riesgo elevado

•**“Valor Actual Neto ajustado por riesgos” (rNPV**). Estos permite dar valor en función de la etapa de
desarrollo. (ingresos previstos, costes y riesgo)

Valor de un medicamento en desarrollo

Drug Discovery → Test preclínicos → Fase I → Fase II → Fase III → Comercializacion

- **Incertidumbre científica, clínica y metodológica:**
  - Conocimiento de la fisiopatología, historia natural, etc. (registro)
  - Modelos experimentales robustos
  - Criterios y métodos diagnósticos suficientemente establecidos y aceptados. Pacientes diagnosticados e identificados
  - Colaborando con los socios necesarios (Clínicos implicados, Asoc Pacientes, regulatorio. EMA, AEMPS)
  - PI y designación
  - Casos de éxito



Desarrollo de MMHH

ODD

Consorcio I+D

Drug Discovery → Tests preclínicos → Fase I → Fase II → Fase III → Comercializacion

Centros de I+D

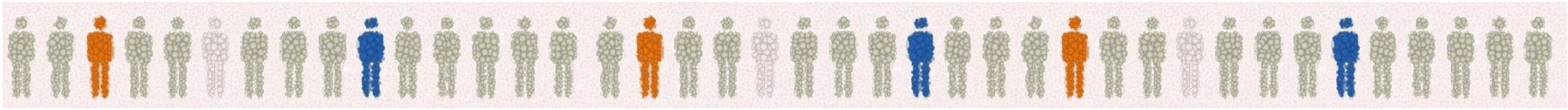
Centros clínicos

Spin-off/start up

EMA/AEMPS

Asociaciones de pacientes

Empresas Bio/Farma medianas y grandes



Estrategias de Valorización

- **Reposicionamiento**

- **Nuevos compuestos (NCE)**

- **Terapias avanzadas**

CIBER como sponsor MMHH

Grupo CIBERER	Sustancia	Indicación/ER	Agencia y fecha	Estado TT			
U710	Vector lentiviral conteniendo el gen de la anemia de Fanconi A (FANCA)	Anemia de Fanconi tipo A	EMA 2011 FDA (2016) Patente 2016	TG	RCA	LIC	Fase II
U710	Vector lentiviral conteniendo el gen piruvato quinasa de hígado y eritroide (PKLR)	Deficiencia en Piruvato Quinasa	EMA (22.08.2014) Patente 2015 FDA (23.03.2016)	TG	RCA	LIC	Fase I/II
U759 y U721	Temsirolimus	Adrenoleucodistrofia	Patente 2015 EMA (21.04.2016)	Reposicionamiento		LIC	Fase I/II
U710	Celular madre hematopoyéticas modificadas con un vector lentiviral que contiene el gen CD18 (ITGB2)	Deficiencia de Adhesión Leucocitaria tipo I	EMA (14.10.2016) FDA (09.11.2016)	TG	RCA	LIC	Fase I/II
U729 y U703	Ubiquinol	Síndrome de deficiencia primaria de coenzima Q_{10}	EMA (14.10.2016)	Reposicionamiento		Neg	/Fase I/II
U742 y U744	Metformina	Epilepsia mioclónica progresiva tipo 2 (Enfermedad de Lafora)	EMA 12/12/2016	Reposicionamiento			Preclínica
U745	Afatinib	Tumores escamosos en Anemia de Fanconi	EMA 17/10/2018	reposicionamiento		Neg	Fase I/II
U745	Genifitib	Tumores escamosos en Anemia de Fanconi	EMA 17/10/2018	Reposicionamiento			Preclínica

ciberer

Centro de Investigación Biomédica en Red

Enfermedades Raras

PLATAFORMA

MALALTIES MINORITÀRIES

GUÍA RÁPIDA
para investigadores

DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS PARA ENFERMEDADES RARAS

ciberer