

## Posicionamiento de FIFARMA – Acerca del potencial de las denominadas "terapias avanzadas" para los pacientes de América Latina

Los miembros de FIFARMA representan a la industria farmacéutica innovadora y a las cámaras farmacéuticas nacionales de la región de América Latina.

FIFARMA está comprometido a participar en el desarrollo de políticas que fomenten el acceso a innovaciones farmacéuticas de alta calidad que prolonguen, preserven y mejoren la vida de los pacientes en América Latina.

### **Introducción a las terapias avanzadas en la región de América Latina - la importancia de los sistemas regulatorios**

Las Terapias Avanzadas son medicamentos de uso humano que se obtienen a partir de células (terapia celular), genes (terapia génica) o tejidos (ingeniería tisular). Algunas pueden contener uno o más dispositivos médicos como parte integral de la terapia ("terapia avanzada combinada").

Estas nuevas terapias innovadoras están expandiendo continuamente los límites de la ciencia y desafiando las expectativas de la medicina moderna. Las Terapias Avanzadas tienen el potencial de atender las principales necesidades de salud no satisfechas, cambiar el curso de las enfermedades al mitigar las causas subyacentes e incluso, potencialmente curar ciertas afecciones.

Sin embargo, los beneficios de esos productos traen aparejados nuevos desafíos en materia regulatoria, como consecuencia del amplio espectro de terapias abarcadas, la innovación científica y el alto nivel de complejidad que representan durante el desarrollo y la fabricación de esas tecnologías. Para ello se requiere un cambio de mentalidad y de enfoque por parte de todos los actores interesados, lo que a su vez exige fortalecer el sistema regulatorio.

- Los Gobiernos y los sistemas de atención sanitaria podrían de este modo minimizar los riesgos éticos y de reputación en aquellos casos en que los productos o terapias actualmente autorizados no demuestren suficiente beneficio terapéutico o eficacia y seguridad, así como los desafíos de los centros que administran dichos productos.

- Las autoridades regulatorias nacionales y la industria se beneficiarían al contar con procesos regulatorios y de reglamentación eficaces, flexibles e innovadores que puedan gestionar estos complejos sometimientos regulatorios y abordar las limitaciones de suministro a nivel mundial, sobre la base de aprobaciones regulatorias basadas en la evaluación de evidencia científica.

- Los pacientes y los proveedores de atención médica, al comprender los beneficios, pueden tener un mejor acceso a terapias avanzadas seguras, eficaces y de calidad.

FIFARMA reconoce la oportunidad que el fortalecimiento de los sistemas regulatorios para estos medicamentos puede ofrecer a todos los actores interesados de la región.

## **Principales desafíos que enfrentan los sistemas regulatorios para reglamentar las terapias avanzadas**

- (I) la necesidad de adaptar marcos regulatorios, que incluyen la orientación y las prácticas, a las especificidades singulares de las terapias avanzadas, es decir, la fabricación compleja, los estudios con poblaciones reducida, criterios de valoración indirectos o sustitutos, las aprobaciones condicionales y la farmacovigilancia, incluido el seguimiento a largo plazo.
- (II) La falta de armonización internacional en relación con la terminología, estándares regulatorios y evidencia científica.
- (III) un alto nivel de complejidad que requiere capacitación para generar conocimientos especializados en las diversas tecnologías.
- (IV) consideraciones de fabricación, tales como la recolección y manipulación de material fuente.
- (V) la necesidad de utilizar estrategias innovadoras para la generación de evidencia científica en relación con estas terapias, lo que generalmente implica la presentación de un dossier regulatorio sobre la base de datos clínicos que abordan importantes necesidades médicas no satisfechas y que son más reducidos en comparación con otros medicamentos.

## **Recomendaciones de FIFARMA para el fortalecimiento de los sistemas regulatorios en relación con las terapias avanzadas en la región**

FIFARMA apoya la reciente "Regulación de los Medicamentos de Terapia Avanzada: Nota conceptual y recomendaciones" publicada por la Red PARF, comparte las recomendaciones propuestas (véase el apéndice 1) y se manifiesta dispuesta a colaborar con las autoridades regulatorias en la implementación de las mismas.



**FIFARMA destaca tres áreas de oportunidad claves para fortalecer los sistemas regulatorios para estos medicamentos en la región:**

- **Instauración de marcos regulatorios:** la falta de marcos regulatorios o la existencia de regulaciones divergentes en la región puede implicar un retraso en el acceso a terapias avanzadas seguras, eficaces y de calidad. Se reconoce que la implementación de marcos regulatorios adecuados para estas terapias avanzadas, que por un lado reconozcan la diversidad de tecnologías, y al mismo tiempo permitan una flexibilidad suficiente para incorporar los continuos avances de la ciencia implica un desafío.

En este sentido, FIFARMA alienta la adopción de reglamentaciones y estándares internacionales. En la elaboración de marcos regulatorios nacionales, FIFARMA apoya la convergencia con estándares científicos internacionales para lograr la armonización normativa y de sus mecanismos de implementación, utilizando un criterio de riesgo-beneficio con criterios sólidos para garantizar la eficacia y seguridad a los pacientes.

- **Adopción de procedimientos de "reliance regulatorio":** a efectos de garantizar la seguridad, la calidad y la eficacia de estos productos, debido a su complejidad, es necesario contar con recursos técnicos humanos capacitados.

FIFARMA insta a las autoridades regulatorias de América Latina para que adopten procedimientos de reliance para incrementar la eficiencia de los procesos regulatorios. Dichos procedimientos de reliance pueden aplicarse a todo el ciclo de vida del producto (inspecciones, revisión/aprobación regulatoria, variaciones posteriores a la aprobación).

- **Capacitación regulatoria:** la complejidad de estos productos implica un desafío a las autoridades regulatorias, tanto en relación con su capacitación técnica como para el desarrollo de regulaciones adecuadas y procesos eficaces de revisión y aprobación regulatorias.

FIFARMA considera necesario abordar de manera conjunta un programa de capacitación técnica integral de autoridades regulatorias, funcionarios de gobierno y profesionales de la salud. A tal fin, recomienda utilizar los programas de capacitación con que cuentan el Centro de Excelencia de la APEC, la /OPS/Red PARF en materia de terapias avanzadas.



## Conclusión

Las Terapias Avanzadas constituyen un área científica en constante evolución, con un considerable nivel de complejidad técnica y reconocidos desafíos. FIFARMA vislumbra tres áreas de oportunidad que considera claves para fortalecer los sistemas regulatorios para estos medicamentos en la región, en consonancia con las actividades de la Red PARF, a fin de facilitar el uso de terapias avanzadas aprobadas y minimizar sus riesgos para la población. FIFARMA sugiere a las agencias regulatorias de América Latina que: i) establezcan marcos regulatorios consistentes con estándares internacionales, ii) adopten procedimientos adecuados de reliance y iii) implementen programas de capacitación específicos. Finalmente, todas las partes interesadas están llamadas a colaborar en conjunto, a los efectos de facilitar la disponibilidad de terapias avanzadas seguras, eficaces y de calidad para los pacientes de América Latina.



FIFARMA es la Federación Latinoamericana de la Industria Farmacéutica creada en 1962. Representamos a 14 empresas biofarmacéuticas basadas en la investigación y a 11 asociaciones locales dedicadas a descubrir y desarrollar productos y servicios de salud innovadores, de calidad y seguros que mejoren la vida de los pacientes en América Latina y el Caribe, y abogamos por sistemas de salud sostenibles y centrados en el paciente, caracterizados por estándares regulatorios y principios éticos elevados.

**Apéndice 1: RECOMENDACIONES PARA LAS AUTORIDADES REGULATORIAS<sup>1</sup>**  
**La Novena Conferencia de la Red Panamericana para la Armonización de la Reglamentación Farmacéutica [Pan American Network for Drug Regulatory Harmonization] recomienda a las autoridades regulatorias**

**1. Fortalecer los sistemas regulatorios de los medicamentos, las tecnologías de la salud y los productos de origen humano a través de:**

- a. La revisión de los marcos regulatorios nacionales por parte de las ARN y reconocimiento de la existencia de esos productos;
- b. La adopción de normativas específicas para la introducción de terapias avanzadas, teniendo en cuenta los Principios Rectores sobre trasplante de células, tejidos y órganos humanos y los Principios sobre la donación y la gestión de sangre, componentes sanguíneos y otros productos médicos de origen humano, ambos establecidos por la OMS y otras directrices internacionales;
- c. La utilización de normas internacionales para la aprobación de estas terapias, el registro de productos y la concesión de licencias a los establecimientos que las manipulan o administran (incluidos entre otros: ensayos clínicos de eficacia, seguridad y efectividad; supervisión de las buenas prácticas de fabricación; biofarmacovigilancia, etc.);
- d. La autorización (incluida la concesión de licencias o lo que corresponda), supervisión y vigilancia de los centros o instalaciones en los casos en que se demuestre que se utilizan técnicas aprobadas de terapia celular, a fin de evitar actividades fraudulentas.

**2. Mejorar los mecanismos de información de las autoridades regulatorias a fin de:**

- a. Informar a la comunidad sobre los usos, riesgos y beneficios de las terapias con base en las pruebas científicas actuales para evitar la publicidad engañosa;
- b. Exhortar a los médicos y pacientes a no utilizar células madre no aprobadas para fines terapéuticos, dados los posibles riesgos de esa terapia;
- c. Ampliar la red de comunicación entre las agencias regulatorias, los investigadores, los centros y otras partes interesadas a fin de mantener una comunicación y coordinación continuas para lograr la armonización de los lineamientos, directrices, reglamentos y mecanismos de implementación, y mejorar la producción de datos sobre la regulación y el uso de estos productos y el intercambio de información de seguridad.

<sup>1</sup>Organización Panamericana de la Salud, Regulación de los Medicamentos de Terapia Avanzada": Nota conceptual y recomendaciones", Novena Conferencia de la Red Panamericana para la Armonización de la Reglamentación Farmacéutica (Red PARF) (San Salvador, octubre de 2018) Washington D.C.: OPS; 2019