

Cómo se fabrica un fármaco.

Fase 8: Estudios de confirmación

Introducción

Más de 12 años y unos costes de más de 1000 millones de euros de media es lo que supone realizar toda la investigación y el desarrollo necesarios para que pueda ponerse un nuevo medicamento a disposición de los pacientes.

El desarrollo de fármacos es una empresa de alto riesgo. La mayoría las sustancias (alrededor de un 98 %) que se desarrollan no llegan nunca al mercado en forma de nuevos medicamentos. El motivo suele ser que al examinar las ventajas y los riesgos (efectos secundarios negativos) que se han hallado durante el desarrollo, la comparación no resulta ventajosa respecto a fármacos de los que ya disponen los pacientes.

El desarrollo de un nuevo fármaco puede dividirse en 10 fases diferentes. El siguiente artículo abarca la fase 8: Estudios de confirmación.

Fase 8: Desarrollo para el lanzamiento: Estudios clínicos de fase III: Estudios de confirmación

Los ensayos de fase III (también denominados estudios de confirmación) constituyen la parte de más envergadura, más complicada y más cara del desarrollo de un fármaco. El objetivo es confirmar la eficacia y la seguridad del compuesto

candidato en un elevado número de pacientes.

La decisión de pasar a ensayos de fase III solo se toma si está respaldada por toda la información de estudios anteriores, así como de la fabricación y de las unidades comerciales. El diseño de este tipo de ensayos es también de una importancia crítica. Por ello, contribuyen en gran medida con sus aportaciones los expertos externos, las autoridades normativas, los grupos de pacientes y otros antes de que se inicien los ensayos de fase III. De esta forma se garantiza que se estén haciendo las preguntas correctas y se esté recopilando la información adecuada. El número de pacientes que incluye el ensayo también es muy importante para poder interpretar debidamente los resultados y cumplir con los requisitos de las autoridades normativas.

Toda la información recopilada en las fases anteriores se usa ahora para tomar decisiones importantes como:

- la fórmula definitiva del fármaco (cómo se combina el fármaco activo con otras sustancias químicas);
- la dosis que se someterá a prueba;
- los pacientes que pueden incluirse (criterios de inclusión);
- los pacientes que no pueden incluirse (criterios de exclusión);
- el número de pacientes necesario;
- el diseño del estudio;
- la duración del estudio;
- la forma de medir la eficacia y la seguridad y
- las pruebas estadísticas que se usarán.

En esta fase, los ensayos pueden incluir a miles de pacientes. Sin embargo, esto dependerá de qué es lo que se pretende tratar con este fármaco (la "indicación"). Por ejemplo, los ensayos de fase III pueden realizarse con poblaciones más reducidas si la indicación es una enfermedad no común.

Los estudios de fase III pueden incluir a miles de pacientes, realizarse en muchos países y requerir una gran cantidad de experiencia para llevarlos a cabo de forma eficaz. Son, por lo tanto, muy caros y llevan mucho tiempo. No obstante, es la única forma de obtener una imagen clara de la relación entre la eficacia del fármaco (si funciona) y su seguridad (si se tolera bien), lo cual es muy importante.

Los estudios de fase III constituyen la parte de más envergadura, más complicada y más cara del proceso de desarrollo de un fármaco. Más de un 50 % de fármacos no superan esta fase. En general, el índice de fracaso de los proyectos (desde la fase de descubrimiento) es de más de un 97 %. Los ingresos que generen los escasos medicamentos que lleguen a comercializarse cubrirán los costes de todos los proyectos (tanto de los que se han concluido con éxito como de los que han fracasado).

Referencias

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Eds.). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3rd ed.). Oxford: Wiley-Blackwell.

Anexos

A2-1.02.7-v1.1