

El camino a la aprobación por la FDA ([English Original](#))

por [Jana von Hehn, PhD](#) | 7 de febrero de 2018

Primero de todo, qué es la FDA y qué hace? Mucha gente asume que la FDA desarrolla tratamientos, o que elige qué tratamientos o indicaciones desarrollar, pero no es así. **No desarrollan tratamientos, no financian el desarrollo de tratamientos, y no eligen qué grupos de pacientes se beneficiarán.**

La FDA, o Food and Drug Administration (Administración de Alimentos y Medicamentos), es el agente regulador nacional en EEUU, lo que significa que determinan los requerimientos para el desarrollo de productos en investigación (medicamentos o biológicos) y evalúan estos productos en investigación para determinar si son seguros y efectivos. ¿Los beneficios de un producto en investigación son mayores que sus riesgos? Su principal preocupación, y hacen bien, es la seguridad de la población en su conjunto. Y proteger a los pacientes de cualquier daño, ya sea temporal o permanente, es una dura carga que sobrellevar. Pensad en esta responsabilidad por un minuto.

Las empresas farmacéuticas o de biotecnología eligen los productos de investigación y la población de pacientes para la que los van a desarrollar, y crean un plan de desarrollo acorde con las regulaciones de la FDA que consiste en estudios en animales y en humanos. Tras la obtención de datos iniciales que apoyen el desarrollo de un producto, el plan de desarrollo se envía a la FDA una solicitud de Nuevo Fármaco Investigativo (IND, Investigational New Drug). El desarrollo no-clínico ocurre en el laboratorio o en modelos de animales para aprender sobre qué dosis son seguras, los efectos secundarios o toxicidades específicos que limitan las dosis, si hay riesgo potencial de causas cáncer o riesgos al nacimiento y otros aspectos críticos para la seguridad. **Si no hay 'banderas rojas' en estos estudios pre-clínicos**, la FDA aprobará que el producto en investigación se inicie en humanos.

Se deben abordar muchas cuestiones sobre la seguridad y eficacia de los programas de desarrollo clínico a medida que progresan. ¿Se ha explorado suficiente el rango de dosis para encontrar la dosis mínima efectiva y la dosis máxima segura? ¿Se ha determinado la frecuencia y duración de dosis más apropiada? ¿Cuáles son los efectos adversos y son éstos manejables o peligrosos? ¿Hay interacciones con otros medicamentos o condiciones médicas que puedan llegar a ser problemáticas? Como os podéis imaginar, esto va cambiando a medida que se van generando datos, así que la suma de nuevos estudios o cambios en el diseño del estudio son frecuentes.

El camino que se recorre en un desarrollo clínico empieza entendiendo cómo se comporta el producto en investigación en el cuerpo y qué dosis son seguras. Los primeros ensayos en humanos, Fase 1, se centran principalmente en definir las dosis seguras a administrar a humanos. Los ensayos en Fase 1 son normalmente llevados a cabo en humanos sanos., aunque para algunos tratamientos como la quimioterapia o la terapia génica, donde no es

apropiado administrarlo a voluntarios sanos, los pacientes deben inscribirse. Los ensayos en Fase 2 están diseñados para identificar las dosis seguras y efectivas en pacientes y para generar importantes datos sobre el régimen de dosis e información paramétrica para apoyar el diseño de los ensayos en Fase 3, que se usarán para la aprobación por parte de la FDA. El tercer estadio del desarrollo del medicamento, los ensayos pivotaes en Fase 3, está diseñado para probar de manera definitiva su eficacia y confirmar su seguridad. Todo estudio normalmente se construye sobre información conseguida en el estudio previo hasta que la eficacia haya sido optimizada con regímenes de dosificación claramente definidos y se haya confirmado un perfil de seguridad global aceptable.

Una vez una empresa ha completado tu desarrollo clínico planeado, el paquete de datos entero se recopila y se envía a la FDA bajo la Solicitud de Nuevo Medicamento (NDA, New Drug Application) o bajo la Solicitud de Licencia Biológica (BLA, Biologics License Application), según convenga, para su revisión. La FDA evalúa lo que ha enviado la empresa y determina si han demostrado suficientemente la seguridad y eficacia del producto en la población de pacientes seleccionada. Si lo han hecho, el producto se aprueba y el doctor lo tiene disponible para su prescripción. Si no lo han demostrado, se debe hacer más trabajo. **Al final del día podemos dormir tranquilos sabiendo que la FDA está trabajando con las empresas para asegurar que productos seguros y eficaces están a disposición nuestra y de nuestros hijos e hijas.**

Entender lo que es la FDA y cómo trabaja es importantísimo para nuestro trabajo en RSRT, en especial ahora que esperamos tener más oportunidades para llevar nuestras iniciativas de investigación básica hacia ensayos clínicos. Como siempre en RSRT, queremos avanzar lo más rápido posible para cambiar las vidas de cada niña y adulto con Rett.