

La participación de los pacientes en la investigación clínica: *algo más* que sujetos de estudio

Daniel-Aníbal García Diego
Federación Española de Hemofilia

Jornadas RD EC



No siempre ha sido así...

792

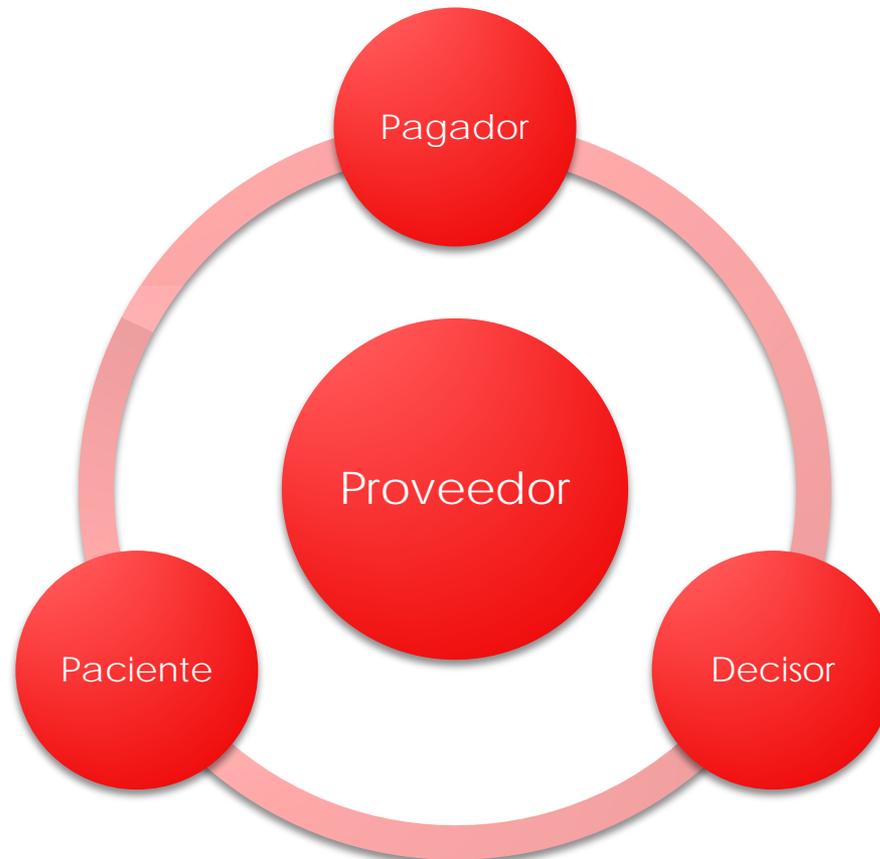
The Tuskegee Study of Untreated Syphilis

The 30th Year of Observation

DONALD H. ROCKWELL, MD; ANNE ROOF YOBS, MD;
AND M. BRITAIN MOORE, JR., MD, ATLANTA

The year 1963 marks the 30th year of the long-term evaluation of the effect of un-
 tion such as this offered an unusual oppor-
 tunity to follow and study the disease over a

El “*gran problema*” de la I+D biomédica



Descubrimiento

Necesidades terapéuticas

Asesoría

“Lo que quiere el paciente”

¿Y si no solo vivimos del fármaco?

Registros

EECC iniciados por entidades de pacientes, academia,...

Desarrollo: Ensayos clínicos (I)

Artículo 15. Composición de los Comités de Ética de la Investigación con medicamentos.

1. El CEIm estará constituido por un mínimo de diez miembros, al menos uno de los cuales será un **miembro lego**, ajeno a la investigación biomédica o a la asistencia clínica, que representará **los intereses de los pacientes.**

Real Decreto 1090/2015, de 4 de diciembre, por el que se regulan los ensayos clínicos con medicamentos, los Comités de Ética de la Investigación con medicamentos y el Registro Español de Estudios Clínicos.

Desarrollo: Ensayos clínicos (II)

¿Qué variables son relevantes y dan valor?

¡No todo es el dato duro!

EMA

- CHMP
- Huérfanos

Desarrollo: Consentimiento informado

La expresión libre y voluntaria por parte de un sujeto de ensayo clínico de su voluntad de participar en un ensayo clínico determinado, tras haber sido informado de todos los aspectos del mismo que sean pertinentes para su decisión de participar

- Se parecen más al contrato de ADSL que a una información médica

Desarrollo: Información y reclutamiento

Informar de la existencia de investigación biomédica

- Especialmente cuidadoso

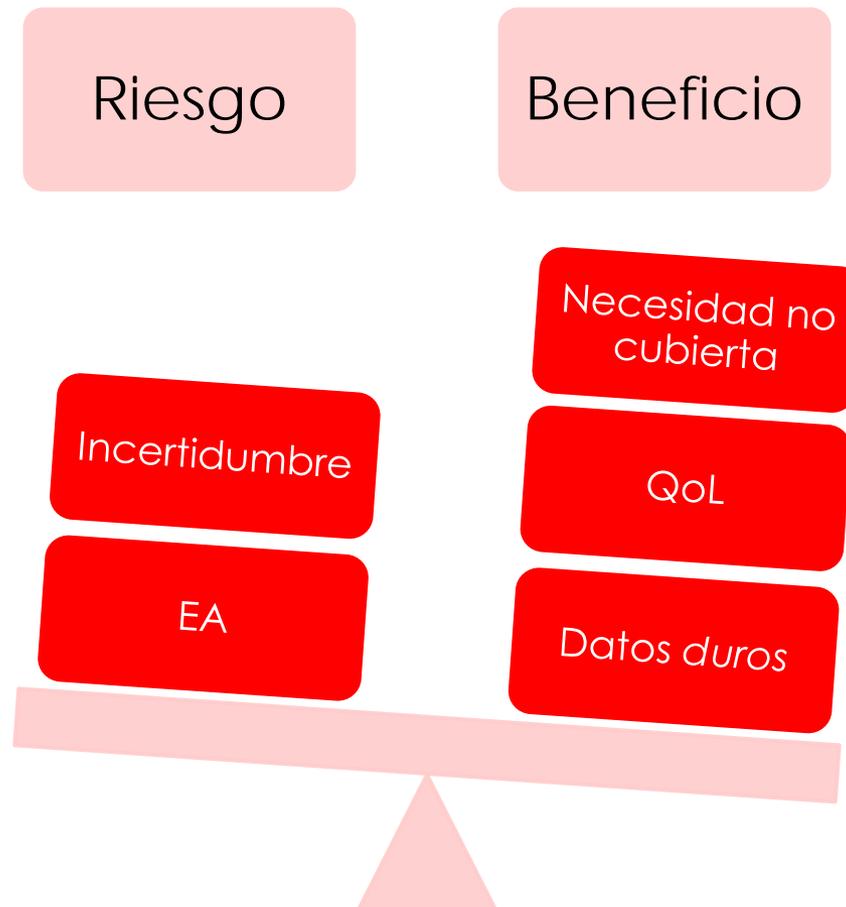
Ayudar en reclutamiento

- En alguna enfermedad rara somos los únicos registros

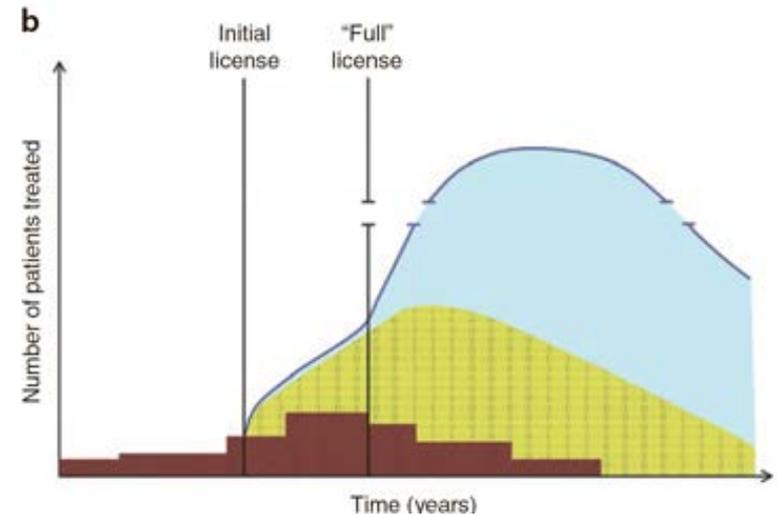
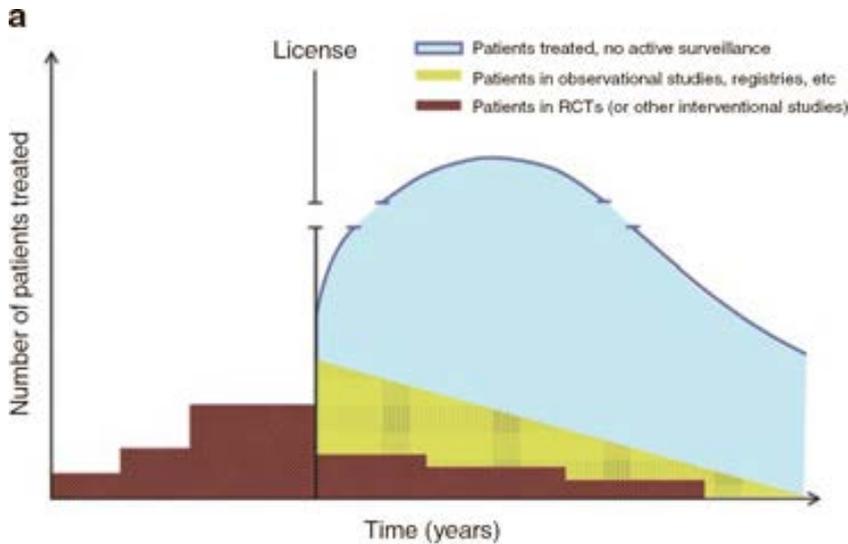
Informar sobre EECC

- Y sobre sus resultados

Aprobación (I)



Aprobación (II)



Clinical Pharmacology & Therapeutics

Volume 91, Issue 3, pages 426-437, 15 FEB 2012 DOI: 10.1038/clpt.2011.345

<http://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1038/clpt.2011.345/full#cptclpt2011345-fig-0001>

Aprobación (III)



EUROPEAN MEDICINES AGENCY

During the evaluation of Scenesse, the EMA's Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) invited patients to share their experience of living with this condition. This was the first time that patients were involved in CHMP discussions on the benefits and risks of a medicine.

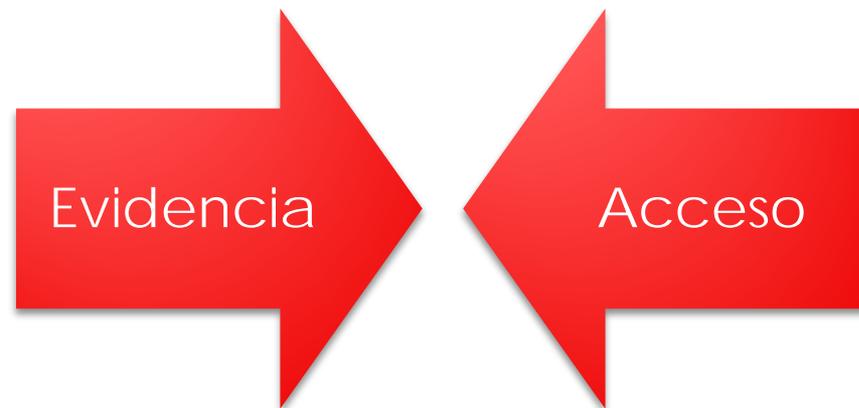
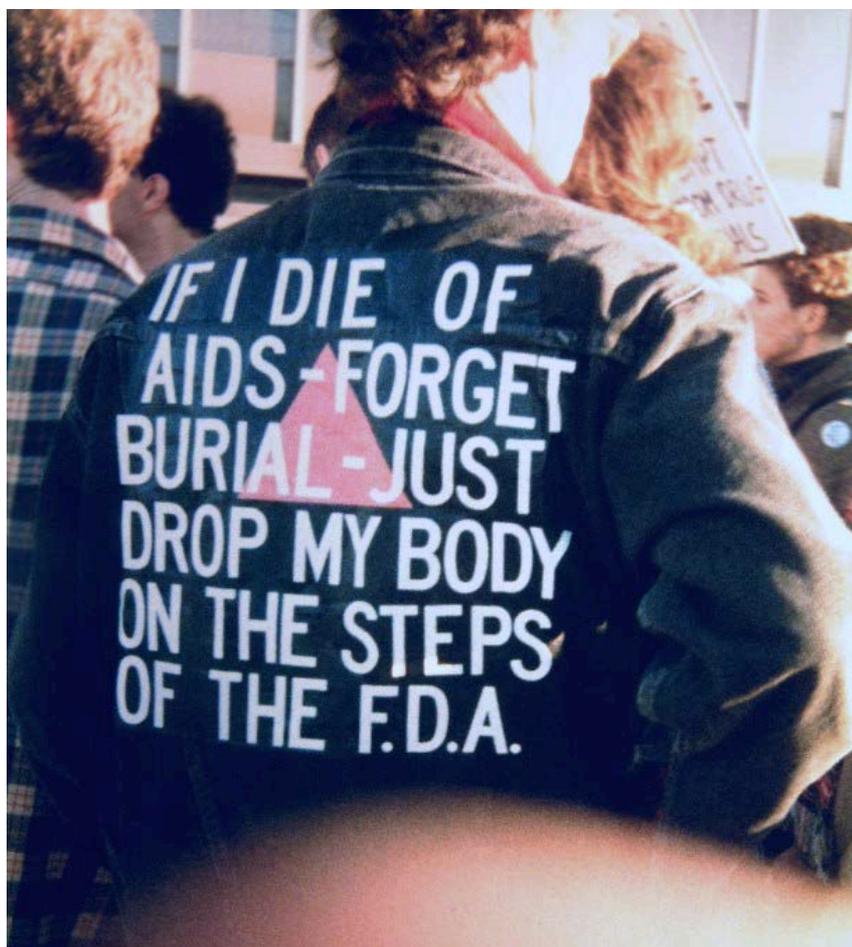
Press Office

[Press release](#)

Scenesse recommended for rare disease that causes intolerance to sunlight

Patients involved in discussions on benefits and risks of a medicine at CHMP for the first time

Aprobación (III)



Indicación (I)



MINISTERIO
DE SANIDAD, SERVICIOS SOCIALES
E IGUALDAD



agencia española de
medicamentos y
productos sanitarios

INFORME DE POSICIONAMIENTO TERAPÉUTICO
PT-SOFOSBUVIR/V1/01112014

Informe de Posicionamiento Terapéutico de Sofosbuvir (Sovaldi®)

El Laboratorio Titular, la Sociedad Española de Trasplante Hepático, la Asociación Española para el Estudio del Hígado, la Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos y la Federación Española de Hemofilia han tenido oportunidad de enviar comentarios al documento, si bien el texto final es el adoptado por el GCPT.

Indicación (II)

Determinación del valor

Call for experts

Variables relevantes

¿Qué necesitamos?

500€ y una habitación propia

- Y que nos inviten a las fiestas de los mayores

Salir de la “autoculpable minoría de edad”



Campus Chamartín
ISCIII

dagarcia@fedhemo.com