



Shutterstock / DC Studio

## La búsqueda de medicamentos se acelera y el paciente tipo ya no es “varón blanco y joven”

Publicado: 6 abril 2022 20:34 CEST

**María Eugenia González**

Científica Titular del Instituto de Salud Carlos III. Centro Nacional de Microbiología. Viróloga, Instituto de Salud Carlos III

Nuestra edad, sexo, situación médica y otras condiciones personales pueden determinar la eficacia y la seguridad de los fármacos que recibimos. Cuando los tratamientos farmacológicos tienen en cuenta a quién se prescriben, su cumplimiento mejora y el beneficio terapéutico aumenta.

### **El inicio de los ensayos controlados, la regulación y la vigilancia**

La industria farmacéutica nació durante la primera mitad del siglo XX. Concretamente, el primer ensayo clínico controlado en la historia se llevó a cabo en 1948 para el tratamiento de la tuberculosis con estreptomycin. Por primera vez, el diseño, análisis y publicación de un ensayo se hacía con rigor científico.

Poco después, la talidomida se empezó a comercializar como sedante. A finales de los 50 se autorizó también su uso como tratamiento sintomático de las náuseas durante el embarazo. Y entonces ocurrió lo peor: durante varias décadas provocó malformaciones congénitas y alta mortalidad de bebés, en un buen número de países, incluyendo España. Pero sus efectos adversos durante el desarrollo embrionario tardaron en ser reconocidos. Este dramático episodio forzó a adoptar medidas reguladoras y de vigilancia de los medicamentos que garantizaran su seguridad.

En 1977 se determinó excluir de los ensayos clínicos a las mujeres en edad fértil. Con esta prohibición se evitaba que, en caso de embarazo o lactancia, el fármaco en estudio pudiera producir daños teratogénicos como los ocurridos con la talidomida. Más tarde, se reguló que los estudios preclínicos garantizaran la ausencia de este tipo de riesgos. Esta medida preventiva garantiza la seguridad de los ensayos en humanos que se hacen a continuación.

Desde entonces se viene acumulando un valioso conocimiento científico que mejora el uso de los nuevos fármacos después de su autorización. Las agencias de medicamentos europeas disponen de bases de datos que recogen incluso los efectos adversos declarados *on line* por pacientes y profesionales.

### **La búsqueda de medicamentos se acelera y cambia con las crisis sanitarias**

Se ha calculado que los medicamentos comercializados a partir del 1990 contribuyeron en un 73 % al incremento de la esperanza de vida al nacer en la década 2000 - 2009.

Las crisis sanitarias exigen que aceleremos los procesos de desarrollo y de autorización de tratamientos terapéuticos. Las pandemias del SIDA y de la covid-19 nos han obligado a hacer frente a virus emergentes, devastadores para la población.

En ambos casos se improvisaron ensayos, utilizando fármacos que previamente se habían desarrollado para otras enfermedades. La mayoría de estos ensayos podían concluirse en poco tiempo. Las tres fases clínicas –que garantizan la seguridad, eficacia y dosificación del fármaco– se pudieron acortar en el tiempo porque ya había estudios previos de seguridad. Esto también permitió disminuir el número de voluntarios para los estudios clínicos o improvisar su selección. El control de los brotes de zika y ébola dejaron estudios sin poder completarse, debido a la escasez de pacientes.

Cuando hay emergencias sanitarias, las agencias reguladoras internacionales y nacionales aceleran la autorización condicional de los medicamentos. Pero siempre es necesario que los beneficios terapéuticos del nuevo fármaco superen a sus riesgos. Una vez superadas las crisis sanitarias, el reto es prepararse por si pudiera repetirse algo parecido en el futuro.

### **No solo ensayos con el perfil de varón blanco, joven y con salud**

La mayoría de los medicamentos se han autorizado desconociendo posibles efectos adversos o problemas de eficacia para la mayoría de la población.

Hasta hace poco, el sexo femenino y las minorías étnicas se consideraban factores de variabilidad que podían ser difíciles de interpretar. Los estudios se hacían en células y animales fisiológicamente uniformes, estables y saludables. En los ensayos preclínicos solo se utilizaban animales machos y de una cepa seleccionada en el laboratorio. Para los ensayos clínicos se reclutaban voluntarios que respondían al perfil de varón blanco, joven y con salud.

En los últimos años se están introduciendo cambios en la investigación de los nuevos medicamentos. La comunidad científica y las autoridades reguladoras han acordado que se considere el sexo como variable biológica en todas las investigaciones biomédicas básicas y preclínicas. Se obliga a que los ensayos clínicos incluyan mujeres y a que participen individuos de minorías étnicas en los estudios de seguridad, dosificación y eficacia. Asimismo, se recomienda aumentar la representación de las franjas de edad por debajo y por encima de 18 - 65 años, para que niños y ancianos puedan beneficiarse de tratamientos adaptados a sus requerimientos.

Otras particularidades del paciente, como su dotación genética, índice de masa corporal, mala salud, polimedicación, alimentación y situación social o económica también pueden condicionar el buen funcionamiento de los fármacos.

### **Priorizar tratamientos alternativos según el perfil del paciente**

Solo el 10 % de los fármacos que entran en la primera fase de los ensayos clínicos acaban siendo autorizados para su comercialización. Una vez han sido autorizados, se vigila su comportamiento durante el tiempo que siguen usándose. Esta evaluación en el mundo real puede llevar a modificar las indicaciones del fármaco y reducir su uso para situaciones específicas.

La tolerancia y la simplicidad de los tratamientos influyen en el seguimiento de los tratamientos crónicos. Un ejemplo exitoso es la terapia del SIDA. La variedad de fármacos disponibles permite adecuar el tratamiento a las peculiaridades de las personas que viven con VIH.

Sin llegar a ser de precisión, son tratamientos seguros y proporcionan una esperanza de vida igual que para el resto de la población. Después de 35 años de mejoras, el seguimiento por el paciente de estos tratamientos duplica lo habitual para otras enfermedades crónicas.

Los prospectos de los medicamentos informan sobre dosificaciones, interacciones y riesgos. El paciente debe leer esta información y seguir las instrucciones prescritas para asegurarse del uso correcto del medicamento. Ante cualquier duda, antes que automedicarse, se debe pedir consejo profesional. La colaboración del paciente es imprescindible para el éxito de un tratamiento.