

# DESCUBRIMIENTO Y DESARROLLO DE FÁRMACOS: DESCUBRIMIENTO, DESARROLLO Y REGULACIÓN

En promedio, de cada **10,000 COMPUESTOS** evaluados, **250** pasarán a la etapa preclínica; **5** de estos compuestos pasarán a los ensayos clínicos y, en última instancia, **1** recibirá la aprobación de la FDA. El proceso completo de investigación, desarrollo y aprobación puede llevar de **12 A 15 AÑOS** o más.

Se estima que el desarrollo de un nuevo medicamento recetado que obtenga la aprobación de comercialización costará a los fabricantes de fármacos **\$2.600 MILLONES** de acuerdo con un estudio reciente realizado por el Centro Tufts para el Estudio del Desarrollo Farmacológico.

## Descubrimiento



El proceso de desarrollo del fármaco comienza con el descubrimiento, las pruebas de investigación preclínicas de compuestos moleculares.

Esta primera etapa incluye:

- Identificar un objetivo y seleccionar una biblioteca de compuestos mediante robótica
- Realizar experimentos con los mejores compuestos identificados para seleccionar aquellos que presenten el resultado deseado en las células (in vitro)
- Realizar experimentos mediante los compuestos seleccionados en organismos vivos para evaluar si mejoran los síntomas (in vivo).

Cuando se identifica un compuesto prometedor, los investigadores realizan experimentos para recopilar información y diseñar protocolos de ensayos clínicos.

## Desarrollo y regulación



Se presenta una solicitud de fármaco nuevo en fase de investigación clínica (Investigational New Drug, IND) ante la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA).

Un IND incluye:

- Datos de seguridad y eficacia de estudios de investigación que utilizaron el compuesto en células y animales
- La composición y fabricación del compuesto
- Un plan propuesto para evaluar el compuesto en ensayos clínicos en personas

Cuando la FDA otorga el permiso para comenzar los ensayos clínicos:

### Fase 1

Estudio en voluntarios sanos que permite monitorear de cerca y recopilar información sobre cómo un fármaco interactúa con el cuerpo humano, su seguridad y la forma en que el cuerpo lo descompone.

**Aproximadamente el 70 %** de los fármacos pasan a la fase 2.

### Fase 2

Estudio en pacientes con enfermedad o afección para proporcionar datos de seguridad adicionales.

**Aproximadamente el 33 %** de los fármacos pasan a la fase 3.

### Fase 3

Estudio con una población de pacientes más amplia para monitorear la seguridad y la eficacia a largo plazo.

**Aproximadamente del 25 % al 30 %** de los fármacos pasan de fase.

Después de que un fármaco recibe la aprobación de la FDA, se realiza un estudio de **fase 4** para el monitoreo de seguridad posterior a la comercialización.

## Regulación



La solicitud de registro de un fármaco (New Drug Application, NDA) es el paso formal que le pide a la FDA que considere la comercialización de un fármaco.

Cuenta la historia completa de un fármaco y su propósito es demostrar que un fármaco es seguro y eficaz. El Comité Asesor es un órgano de expertos, incluidos los pacientes, que la FDA contrata para consultas cuando lo considera necesario.

La FDA revisa los datos del estudio y decide si se debe otorgar la aprobación o no. Es posible que se requiera una investigación adicional o un panel de asesores expertos antes de que la FDA tome una decisión final.

## ¿Qué significa la aprobación de la FDA?



El proceso de revisión de fármacos de la FDA apunta a garantizar que los fármacos sean seguros, eficaces y se fabriquen correctamente.

La aprobación de la FDA significa que se ha determinado que los datos sobre el efecto del fármaco proporcionan beneficios que superan sus riesgos conocidos y potenciales para la población prevista.

**Acceda a recursos que lo ayudarán en este proceso.**

☎ 1-833-PTC-HOPE (1-833-782-4673)  
o en español: 1-833-PTC-VIDA  
(1-833-782-8432)

➔ [InsightfulMoments@ptcbio.com](mailto:InsightfulMoments@ptcbio.com)  
[www.ptcinsightfulmoments.com](http://www.ptcinsightfulmoments.com)