

Recomendaciones  
para la articulación  
de la participación  
de pacientes y  
asociaciones de  
pacientes en el  
proceso de la I+D  
farmacéutica



La industria farmacéutica innovadora investiga, desarrolla, produce y comercializa medicamentos con el objetivo de curar enfermedades, aliviar el sufrimiento que éstas provocan y mejorar la calidad de vida de los pacientes. Su principal actividad se realiza, por tanto, en torno a los pacientes y, cada vez más, con los pacientes.

En las últimas décadas, este modelo de funcionamiento ha mejorado en lo que respecta a la participación de los pacientes en el proceso de investigación y desarrollo de nuevos medicamentos que lleva a cabo la industria farmacéutica. Y lo hace porque pacientes y familiares, a través de sus asociaciones y representantes, reivindican una mayor capacidad de influencia y decisión en el mismo y porque las compañías farmacéuticas aprecian cada vez más el valor añadido que aportan dichos colectivos a estas actividades.

Farmaindustria lleva varios años trabajando en este ámbito de la participación de los pacientes en la I+D biomédica. Primero en la iniciativa europea EUPATI<sup>1</sup>, de desarrollo de contenidos formativos para representantes de pacientes en este campo, y posteriormente en el marco del Proyecto BEST de la Plataforma Tecnológica Española de Medicamentos Innovadores, con la celebración desde 2015 de talleres con diversos colectivos de pacientes para explicar el valor de la actividad innovadora de la industria farmacéutica en sus respectivas patologías. En paralelo, **se ha trabajado con la colaboración de la Sociedad Española de Farmacología Clínica en la elaboración de un modelo de carta de agradecimiento a los participantes en un ensayo clínico**, algo que hasta ahora no se hacía. Dicho modelo ya ha sido publicado por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) y puede ser utilizado por los promotores de los ensayos clínicos.

Esta experiencia acumulada ha permitido detectar dos intereses confluyentes: por una parte,

la voluntad de las compañías farmacéuticas de incorporar la voz de los pacientes en sus distintas actividades de investigación y desarrollo de nuevos medicamentos; por otra, la determinación de estos colectivos de convertirse en un agente más en este proceso de la innovación biomédica junto con autoridades, comités de ética, investigadores y empresas.

La industria farmacéutica innovadora quiere contar con el conocimiento y la experiencia del paciente para entender mejor cómo se convive con una enfermedad concreta, una información inestimable para la identificación de necesidades no cubiertas, la definición de prioridades de investigación y la optimización del diseño de los ensayos clínicos. Asimismo, la voz del paciente debe tener mayor peso en el proceso de medición de resultados de los ensayos clínicos y en el desarrollo de criterios de valoración para conseguir resultados que aporten y supongan una mejora real en sus vidas.

La investigación clínica no puede mantenerse al margen de la evolución de pacientes y asociaciones de pacientes hacia la capacitación y la adquisición de un rol protagonista en la gestión de su salud y, en este ámbito, en el desarrollo de nuevas soluciones terapéuticas.

## Farmaindustria lleva varios años trabajando en este ámbito de la participación de los pacientes en la I+D biomédica.



<sup>1</sup> La Academia Europea de Pacientes (EUPATI por sus siglas en inglés) es una iniciativa IMI desarrollada entre 2012 y 2017 y financiada por la Comisión Europea y EFPIA para elaborar contenidos y organizar actividades formativas sobre el proceso de investigación y desarrollo de medicamentos dirigidos a representantes del colectivo de pacientes para su capacitación con vistas a la participación en actividades de I+D biomédica en Europa. Bajo el liderazgo de distintos colectivos de pacientes (con la coordinación del Foro Europeo de Pacientes) y con la participación de instituciones académicas y compañías farmacéuticas, el consorcio EUPATI reunió a 33 entidades, entre las que figuró Farmaindustria desde el inicio del proyecto.

A través de un grupo de trabajo organizado por Farmaindustria y con representación de varias compañías asociadas, la industria farmacéutica innovadora en España ha desarrollado en los últimos meses una intensa actividad de colaboración con diversas organizaciones y entidades de pacientes (EUPATI, con conocimiento en el ámbito de la formación de representantes de pacientes; así como la Plataforma de Organizaciones de Pacientes y el Foro Español de Pacientes, entidades representativas del colectivo de pacientes en España) **con el objetivo compartido de establecer una serie de recomendaciones para canalizar esa voluntad conjunta de promover la participación de pacientes en las actividades de investigación y desarrollo de nuevos medicamentos.** Este documento es el resultado de dicha colaboración.

El equipo de trabajo implicado en esta iniciativa ha concluido, entre otras cosas, que se pueden determinar al menos ocho ámbitos en los que articular de forma eficaz y valiosa la participación y contribución de pacientes en el proceso de I+D biomédica. Son los siguientes:



**1. Identificación de necesidades no cubiertas** y definición de prioridades de investigación.



**2. Elaboración de materiales para la información** y formación de pacientes sobre la I+D de medicamentos.



**3. Divulgación sobre la I+D** de medicamentos al paciente y a la sociedad en general.



**4. Participación en la redacción de protocolos de ensayos clínicos** y consentimientos informados.



**5. Búsqueda y difusión de ensayos clínicos** de interés por patología.



**6. Participación en la elaboración y redacción de resúmenes** ejecutivos de los ensayos clínicos (lay summary).



**7. Colaboración en el reclutamiento de pacientes** para su participación en ensayos clínicos.



**8. Entidades de pacientes interesadas** en participar en las actividades de I+D de la industria.





# 1 Identificación de necesidades no cubiertas y definición de prioridades de investigación.

Ya existen experiencias acreditadas de participación de representantes de colectivos de pacientes en el punto de partida del proceso de investigación y desarrollo de nuevos medicamentos: la identificación de necesidades no cubiertas y la definición de prioridades de investigación en la actividad de la industria farmacéutica. Es el caso, por ejemplo, de pacientes que forman parte

de órganos asesores (advisory boards) junto con investigadores, profesionales sanitarios y directivos de compañías farmacéuticas, por iniciativa de éstas. Se ha constatado la notable aportación de valor que genera para todas las partes la participación en estos foros de representantes de colectivos de pacientes y familiares.

## Recomendación

Aun a sabiendas de que este tipo de actividades se desarrollan principalmente en el ámbito de las sedes centrales de las empresas y en un nivel multinacional, resulta recomendable que las compañías farmacéuticas innovadoras con actividad en España faciliten en la medida de sus posibilidades la participación de representantes españoles de colectivos de pacientes en estos encuentros en los que los laboratorios acuden a consejo externo para orientar su actividad investigadora futura.





## 2 Elaboración de materiales para la información y formación de pacientes sobre la I+D de medicamentos

Considerado como un paso previo a la participación de los pacientes en el proceso de I+D de medicamentos, se entiende imprescindible que los representantes del colectivo de pacientes cuenten con la formación suficiente para comprender las distintas fases de la innovación biofarmacéutica, así como el papel que desempeñan los distintos agentes involucrados (AEMPS, CEIm, compañías, etcétera).

Para lograrlo, resulta necesario contar con materiales formativos e informativos acreditados, accesibles y de calidad. Se entiende que la iniciativa EUPATI constituye un notable punto de partida y que sería deseable que contara con garantías suficientes de continuidad y sostenibilidad en el tiempo para asegurar la actualización y revisión periódica de estos materiales.

### Recomendaciones

Sobre la base de estos materiales, se establecen una serie de recomendaciones para la elaboración y publicación de futuros contenidos por parte de las compañías farmacéuticas:



**Lenguaje accesible.** Es fundamental que estas publicaciones, sea cual sea el soporte elegido, estén redactadas en un lenguaje adaptado al público objetivo al que van dirigidas (representantes de colectivos de pacientes, así como pacientes, familiares y cuidadores en general). Para ello, es recomendable contar con un grupo de pacientes expertos o representantes de pacientes en el proceso de redacción de los mismos.



**Validación de pacientes.** Una vez concluida la redacción, es recomendable que el material elaborado sea revisado y validado por un grupo amplio de pacientes de la o las respectivas patologías.



**Garantía de robustez y fiabilidad del contenido.** Validación del material por un grupo acreditado de expertos o sociedad científica.



**Formato adecuado.** Adaptar el formato del material elaborado (texto, audiovisual, online, etcétera) a la plataforma y canal escogidos para su difusión.



**Difusión adecuada.** Se recomienda estructurar una adecuada hoja de ruta de difusión que incluya cronograma, selección de plataformas / canales externos de difusión (RRSS y webs de asociaciones y empresas), y plataformas / canales internos de difusión (mailing a público objetivo desde asociaciones de pacientes o sociedades científicas involucradas).

Igualmente, resulta de interés contemplar la idea de hacer accesibles los materiales ya existentes o los que se elaboren en el futuro a grupos con necesidades especiales (población pediátrica, colectivos con discapacidad física o intelectual, etcétera).





### 3 Divulgación sobre la I+D de medicamentos al paciente individual y a la sociedad en general

El valor que tiene la investigación biomédica en general, y la investigación y desarrollo de nuevos fármacos en particular, es una cuestión poco conocida entre los colectivos de pacientes y en el seno de la sociedad española. Así se ha comprobado en los talleres desarrollados en este ámbito en los últimos años por Farmaindustria tanto con organizaciones y aso-

ciaciones de pacientes como con estudiantes de educación secundaria.

Por ello, la posibilidad de divulgar el valor y la aportación de la I+D biomédica a todo tipo de públicos, especialmente pacientes, familiares y cuidadores, resulta en la actualidad especialmente importante, e incluso necesaria.

#### Recomendación

Por tanto, se recomienda a la Plataforma Nacional de EUPATI en España, en colaboración con tantas organizaciones de pacientes como puedan estar interesadas, abordar el desarrollo de una estrategia de divulgación y difusión de información sobre investigación y desarrollo de medicamentos dirigida a pacientes a título individual y a la sociedad en general. Dicha estrategia debe hacerse también con la participación necesaria de las Administraciones Públicas (Ministerios, AEMPS, CCAA) y los profesionales sanitarios, así como con la ayuda y participación de la industria farmacéutica innovadora.





## 4 Participación en la redacción de protocolos de ensayos clínicos y consentimientos informados

En este campo, la participación de los colectivos de pacientes y sus representantes es muy impor-

tante, tal y como se ha demostrado en distintas experiencias desarrolladas en los últimos años.

### Recomendaciones

Al respecto, se recomienda lo siguiente:

- > Incorporar al proceso de elaboración de los protocolos de ensayos clínicos a una asociación de pacientes representativa del colectivo de la patología en la que se desarrollará el ensayo para incluir el punto de vista del paciente en todos los aspectos en los que pudiera ser de utilidad. Estas actividades suelen desarrollarse con más frecuencia en las sedes centrales de las compañías farmacéuticas, de ámbito multinacional, aunque ya hay alguna experiencia de este tipo en el nivel nacional. Sería recomendable que los promotores favorecieran esta participación tanto en España, cuando sea posible, como en la sede central de la compañía, cuando así proceda.

---

- > Profundizar en la revisión por parte de las asociaciones de pacientes de los Anexos VIIIA, VIIIB y VIIIC de instrucciones de la AEMPS referentes a la hoja de información al paciente y al consentimiento informado para la realización de ensayos clínicos en España. Sería determinante poder articular la posibilidad de que las asociaciones de pacientes puedan aportar sus propuestas en la revisión de esta documentación. Significaría una mejora notable en el proceso global de consentimiento informado y para la cumplimentación de la hoja de información al paciente.

---

- > Preparar un glosario de términos y contenido del consentimiento informado, incluyendo ayudas visuales. Se adjuntan en documento anexo algunos ejemplos disponibles. El propósito es llegar a un consenso para compartir con la AEMPS y que pudiera pasar a ser parte de las instrucciones. Sería de gran ayuda para



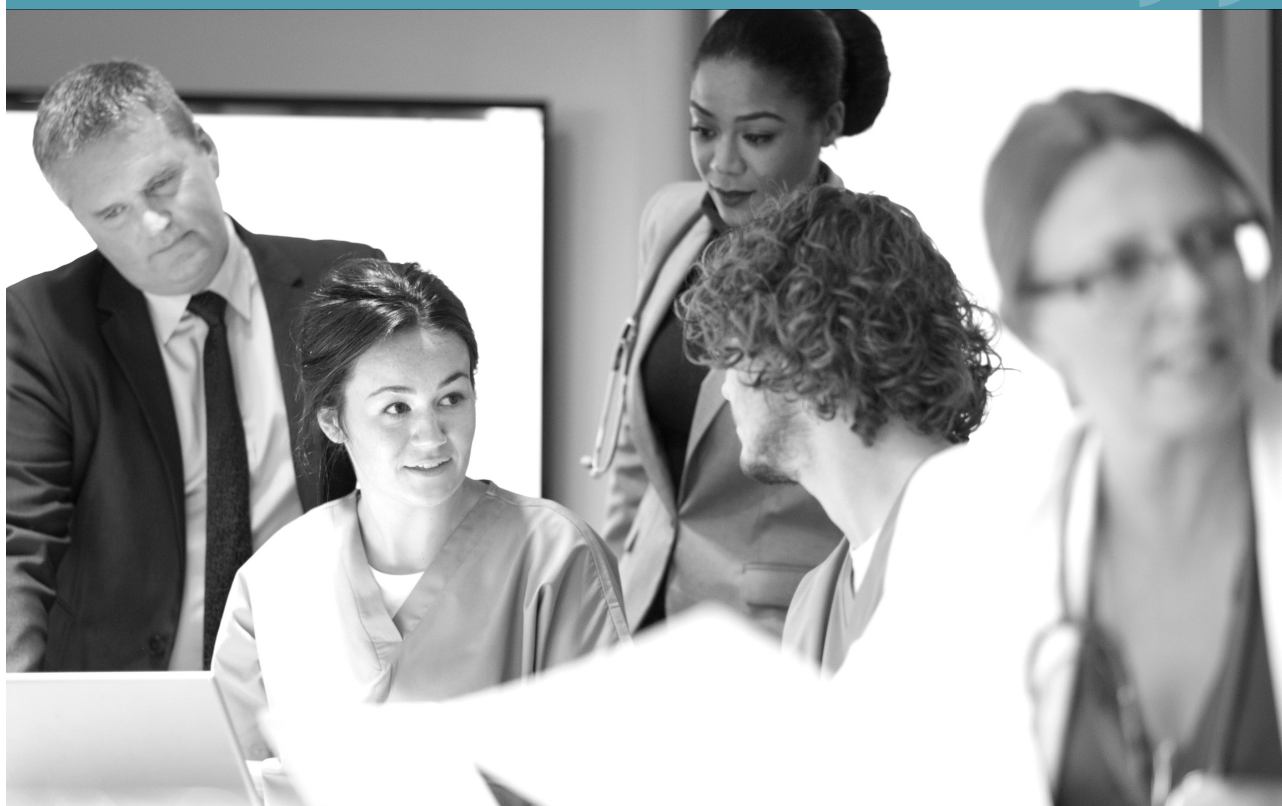
elaborar un modelo de Formulario de Consentimiento Informado con un máximo de 15 páginas, como sugiere la AEMPS. En este ámbito se puede tomar en consideración el modelo en discusión por el Consorcio IMI Do-It<sup>2</sup> y validarlo así para el ámbito nacional.

- > Sugerir el uso por parte de los centros o investigadores de un vídeo explicativo para el paciente sobre lo que es un ensayo clínico y un consentimiento informado previo al planteamiento de su participación en el ensayo. Se adjunta el enlace a algunos ejemplos disponibles.

<https://bit.ly/2m0UhyK>

<https://www.youtube.com/watch?v=PrQDYNk4CU0>

Fomentar los modelos de consentimiento informado electrónico en colaboración con la AEMPS y los comités de ética.



<sup>2</sup>Proyecto IMI DO-IT, es una Coordination and Support Action (CSA) para el Programa IMI 2 denominado Big Data for Better Outcomes (BD4BO), en el que están trabajando 37 diferentes stakeholders, de la industria farmacéutica, asociaciones de pacientes, academia, hospitales y centros de investigación. El paquete de trabajo 4 del proyecto está trabajando no sólo en consensuar un modelo de consentimiento informado amplio para participar en un ensayo clínico, dando respuesta a las necesidades del fomento de la investigación biomédica, alineado a los nuevos principios y derechos del Reglamento (UE) 2016/679 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 27 de abril de 2016, relativo a la protección de las personas físicas en lo que respecta al tratamiento de datos personales y a la libre circulación de estos datos, sino también en elaborar una serie de materiales que traten de explicar a los pacientes y profesionales sanitarios la posibilidad de que el uso futuro de los datos de los pacientes no sólo esté basado en un consentimiento específico, sino en la investigación científica (art. 9.2.j junto con las garantías del artículo 89 del Reglamento). <https://www.imi.europa.eu/projects-results/project-factsheets/do-it>.



## 5 Búsqueda y difusión de ensayos clínicos de interés por patología

El **REec** es el Registro Español de Estudios Clínicos, una base de datos pública online, de uso libre y gratuito, accesible desde la página web de la AEMPS, responsable de su gestión. El REec recoge todos los ensayos clínicos autorizados en España desde enero de 2013. Su objetivo es servir de fuente de información primaria en materia de ensayos clínicos con medicamentos y responde al principio de transparencia establecido para esta cuestión por el Real Decreto de Ensayos Clínicos 1090/2015 (en vigor desde el 13 de enero de 2016).

De cada ensayo clínico registrado (más de 4.000) el REec ofrece información sobre los datos generales del formulario de solicitud y las fechas sobre el avance del ensayo que son enviadas

a la AEMPS por el promotor. Pero además, y a diferencia de otros registros, el REec incluye un resumen de la justificación del ensayo en lenguaje comprensible e información sobre los centros participantes, así como de su estado en relación al reclutamiento de participantes.

El REec es una herramienta de inestimable utilidad para permitir a las organizaciones de pacientes localizar y difundir entre sus asociados ensayos clínicos que pudieran ser de su interés. Pero las asociaciones echan en falta que este repositorio esté más adaptado al perfil del paciente, con el propósito de hacerlo más accesible y útil a la búsqueda de información por parte de pacientes y familiares.

### Recomendación

Sería deseable que la AEMPS profundice en la accesibilidad y usabilidad del REec para lograr así hacerlo más accesible y de mayor utilidad en el trabajo que con esta herramienta puedan desarrollar pacientes, familiares y, especialmente, las asociaciones que les representan.





## 6 Participación en la elaboración y redacción de resúmenes ejecutivos de los ensayos clínicos (*lay summary*).

De acuerdo con la legislación que regula el contenido de los resúmenes de resultados comprensible de ensayos clínicos (*lay summaries*) y las guías para su elaboración<sup>3</sup>, los puntos imprescindibles que debe contener un documento de este tipo son:

- a) Identificación del Ensayo Clínico (incluyendo título, número de protocolo y número EUDRACT).
- b) Nombre y datos de contacto del promotor.
- c) Información general sobre el ensayo clínico (incluyendo dónde y cuándo se realizó el ensayo, los objetivos principales y la justificación del ensayo).
- d) Población (información sobre los sujetos incluidos a nivel local y global, distribución por edad y sexo, criterios de inclusión y de exclusión).
- e) Medicamento en investigación.
- f) Descripción de efectos adversos y su frecuencia.
- g) Resultados generales del ensayo.
- h) Comentarios acerca de los resultados.
- i) Determinación de próximos ensayos, si están previstos.
- j) Fijación de recursos de consulta para encontrar más información.

### Recomendaciones

Las recomendaciones para la elaboración de estos documentos, más allá de los requisitos legales y con el propósito de facilitar su interpretación para el paciente participante, son:



La inclusión de gráficos y tablas. Son recursos altamente recomendables ya que sirven para visualizar mejor el proceso y aligerar el texto.



Uso de colores en el documento para destacar y separar contenidos.



<sup>3</sup>(EU Clinical Trials Regulation 536/2014, article 37. Phase 1–4 interventional studies with at least 1 site in EU. EU Guidelines on Summaries of Clinical Trial Results for Laypersons 26 Jan 2017 version 13.2)



Determinación de forma expresa de que el documento sólo se refiere a los resultados de un estudio concreto y no representa el conocimiento global sobre el fármaco estudiado. Asimismo, también precisar que si el paciente quiere o necesita más información puede consultar a su médico.



Determinación de posibles canales de difusión de los *lay summaries*: médicos e investigadores del estudio, plataforma REec, compañía promotora, asociación de pacientes, etcétera.

Después de haber analizado los modelos compartidos por varios promotores, el grupo de trabajo considera que los mejores modelos son los publicados por CISC RP (The Center for Information and Study on Clinical Research Participation, <https://www.ciscrp.org/communicating-trial-results/>), sobre los que se sugieren las siguientes modificaciones:

- > El objetivo del *lay summary* es informar a la sociedad en general acerca de los resultados de un determinado ensayo clínico, y no sólo a los participantes, por lo que se debe enfocar la redacción de todo el documento bajo esta premisa.
- > Sería recomendable eliminar el agradecimiento inicial y mantener sólo un agradecimiento al final del documento y dirigido a la población en general. Al respecto, se propone el siguiente redactado: “Gracias a las personas que han participado en este estudio los investigadores han podido contestar importantes preguntas de salud que ofrecen un mayor conocimiento de la enfermedad y contribuir a la investigación de nuevos tratamientos médicos”. Esta propuesta se ajusta al modelo de carta de agradecimiento a los participantes en un ensayo clínico publicado recientemente por la AEMPS.





## 7 Colaboración en el reclutamiento de pacientes para su participación en ensayos clínicos

Aunque sólo ha habido iniciativas aisladas de colaboración de asociaciones de pacientes con la industria para el reclutamiento en ensayos clínicos, éstas ofrecen una experiencia muy positiva y sería recomendable generalizarlas conforme a unas recomendaciones estandarizadas.

La industria normalmente desarrolla materiales de reclutamiento que vienen diseñados desde las sedes centrales y que las filiales nacionales adaptan y/o traducen para su presentación a comités.

Estos materiales pueden estar disponibles desde el inicio del estudio, pero en otros casos se diseñan ya cuando la incorporación de pacientes al ensayo es muy difícil y se necesita darle difusión. La participación de las entidades de pacientes en la elaboración y/o adaptación de estos materiales para el reclutamiento, tal y como éstas reclaman, contribuye a adaptarlos a las necesidades de los pacientes que potencialmente vayan a participar en el ensayo, mejorando la accesibilidad de estos contenidos.

### Recomendaciones

Se propone un modelo de participación de asociaciones de pacientes con las siguientes características.



Involucrar a las asociaciones desde el inicio. El protocolo debe ser exhaustivo en cuanto a las vías de reclutamiento. Campañas diseñadas con la participación de pacientes para llegar mejor a su colectivo.



Elaboración de una estrategia de forma compartida. Conocer el proyecto. Inicio y difusión.



Presentación al CEIm de los materiales de la campaña y comunicación de la colaboración con la asociación de pacientes para la elaboración, revisión y difusión de los mismos.



Consideración de diferentes herramientas de comunicación: materiales impresos, electrónicos, charlas y presentaciones, jornadas, foros, etc.



Implicación de los investigadores principales de los centros haciéndoles partícipes de esta colaboración. Deben autorizar el proceso pues van a recibir pacientes derivados de la asociación.



Difusión desde la asociación a través de los canales disponibles. Los pacientes interesados se pondrían en contacto directamente con la persona responsable que se determine en cada centro sanitario donde se realice el ensayo, previo consentimiento de ésta.



La colaboración acaba al final del estudio, no al final del reclutamiento. Es necesario hacer un seguimiento con la asociación hasta la conclusión del estudio.



Entrega a la asociación de los resultados que se publiquen en el REec para cerrar el procedimiento y que los pueda compartir con los asociados.

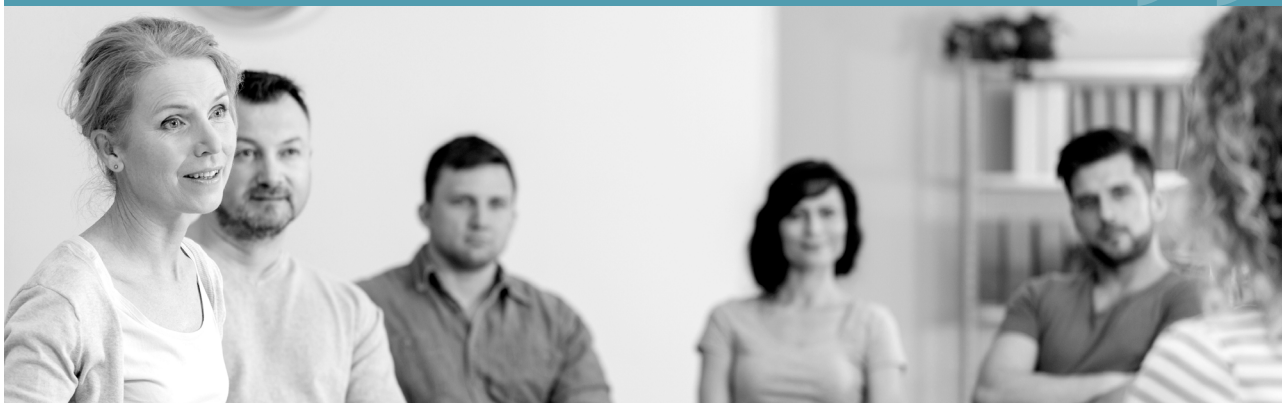


Dar validez, credibilidad y peso al proceso de colaboración de la asociación con la industria.



Evaluar la repercusión de la campaña conjunta.

Para evitar las alteraciones y retrasos que la participación de las asociaciones pudiera generar en el procedimiento de aprobación de los ensayos clínicos, sería recomendable trabajar con la suficiente planificación desde el inicio de la colaboración y dotar a las entidades de la formación necesaria sobre su participación en el proceso y la responsabilidad que conlleva.





## 8 Entidades de pacientes interesadas en participar en las actividades de I+D de la industria

En el proceso de elaboración de este documento de recomendaciones, se ha detectado un notable interés por parte de las asociaciones y organizaciones representativas del colectivo de pacientes por participar de forma activa y

efectiva en el proceso de I+D de medicamentos. Para gestionar dicha voluntad, sería de utilidad disponer de una relación de entidades que hagan constar de forma expresa su interés en estas iniciativas.

### Recomendación

Con el fin de facilitar la participación de las entidades de pacientes en las actividades de I+D de la industria farmacéutica, se recomienda la elaboración de un listado online orientativo y no excluyente que recoja las asociaciones y organizaciones de pacientes que muestren interés por figurar en él. En una primera fase, se incluirán sólo entidades de ámbito nacional.

Las entidades interesadas pueden registrarse en [participacion@farmaindustria.es](mailto:participacion@farmaindustria.es).

El listado está disponible para su consulta en este enlace <https://www.farmaindustria.org/servlet/fiPublic/docs/ListadoEntidadesID.pdf>.





Este documento de recomendaciones ha sido elaborado por Farmaindustria con la participación de representantes de las siguientes organizaciones de pacientes y compañías farmacéuticas:

EUPATI, Plataforma de Organizaciones de Pacientes, Foro Español de Pacientes, Acción Psoriasis, ACCU, Conartritis, Federación Española de Diabetes, Lung Cancer Europe, Lu-pus Madrid y Unimid.

Abbvie, BMS, Boehringer-Ingelheim, GSK, Janssen, Lilly, Merck, MSD, Novartis, Pfizer, Roche, Rovi, Servier, UCB y Vifor Pharma.