

CUARTO EJERCICIO: SUPUESTO PRÁCTICO

ÁREA: Evaluación clínica y preclínica de medicamentos

Una compañía farmacéutica quiere presentar una solicitud de comercialización para un nuevo medicamento de síntesis química, destinado al tratamiento por vía oral de la artritis reumatoide activa de moderada a grave. Contiene el principio activo etgoatinib (nombre ficticio), inhibidor reversible y selectivo de las quinasas Janus (JAKs), enzimas que intervienen en la transducción de señales en una amplia gama de procesos celulares como la inflamación, la hematopoyesis y la función inmune. Etgoatinib inhibe de manera preferente JAK1 y en menor medida JAK2 y JAK3. Ya existen comercializados otros medicamentos de la misma clase.

Preguntas

1. En los estudios preclínicos de toxicidad a dosis repetidas se estableció una NOAEL (nivel sin efectos adversos observables) en ratas de 1000 mg/kg y en monos de 1 mg/kg. Con estos datos ¿cómo calcularía usted la dosis máxima a utilizar por primera vez en humanos? **2 puntos**
2. Dadas las características de este tipo de medicamentos ¿Qué estudios preclínicos de seguridad considera usted que deberían presentarse en la solicitud de autorización de comercialización? **2 puntos**
3. En la evaluación de los estudios pivotaes de eficacia, indique el tipo de diseño, variables principales, secundarias, comparador y duración que consideraría relevantes, conforme a la guía de la EMA aplicable, para sustentar de forma favorable la indicación solicitada. **2 puntos**
4. En el ensayo en fase III, describa las variables de seguridad más relevantes relacionadas con el perfil de reacciones adversas esperable para esta clase de medicamentos, que debería considerar durante la evaluación. **2 puntos**
5. En relación a la solicitud de autorización de comercialización, justifique si se podría solicitar indistintamente un procedimiento de registro por vía centralizada, descentralizada o nacional. **2 puntos**
6. ¿Tendría que presentar la compañía un plan de investigación pediátrico? En caso afirmativo ¿en qué momento del desarrollo clínico debería presentarlo y qué organismo lo evaluaría? **2 puntos**



7. Si fueran necesarios los estudios de carcinogénesis ¿Cuándo deberían realizarse?
¿Sería aceptable para usted como evaluador preclínico que se completaran post-autorización?
2 puntos

8. Describa los criterios que debería tener en consideración para posicionar este nuevo medicamento con el resto de las alternativas autorizadas para el tratamiento de la artritis reumatoide.
2 puntos

9. Una vez comercializado, se notifica un problema de desabastecimiento en España de todos los medicamentos de la misma clase (inhibidores de la JAK) para el tratamiento de la artritis reumatoide. Justifique qué alternativas terapéuticas comercializadas en España propondría para evitar una posible laguna terapéutica.
2 puntos

10. ¿Podría considerarse este medicamento como un posible candidato contra la infección por SARS-CoV-2 en pacientes hospitalizados con COVID-19? Justifique su respuesta.
2 puntos