

Jornada retos vigentes y retos superados en la Medicina de Precisión

UIC

barcelona

Instituto Universitario
de Pacientes



FOROS IUP

ATENCIÓN AFECTIVA Y EFECTIVA

Diciembre de 2023

Con el patrocinio de:



Índice

Justificación y objetivo de la Jornada	5
Entidad organizadora	7
Participantes	9
Metodología	11
Discusión	13
Conclusiones	17
Bibliografía	19

Justificación y objetivo de la Jornada

La llamada Medicina de Precisión es una realidad en la práctica clínica diaria. La disponibilidad de datos, principalmente genómicos y a gran escala, lo ha facilitado gracias también a la posibilidad de explotarlos.

Patologías consideradas de entidad propia y sin relación aparecen ahora desglosables y con diferentes elementos causales. Por el contrario, enfermedades que parecían dispares tienen mecanismos moleculares comunes.

Ello supone una importante mejora en los diagnósticos y que un número elevado de pacientes se puedan beneficiar de tratamientos específicos de alta eficacia, como también que podamos prevenir diferentes enfermedades.

El estudio y análisis, en que ha participado el Aula de Innovación de Políticas Sanitarias del Instituto Universitario de Paciente, de los diferentes documentos publicados sobre las políticas y estrategias de abordaje de la Medicina de Precisión vigentes en los países de nuestro entorno, en el SNS y en sus Servicios de Salud, lleva a identificar unos puntos clave en que todos ellos coinciden.

Entre ellos y a título de ejemplo, el grado de implementación y accesibilidad a la Medicina de Precisión, el nivel de la toma de decisiones, la disponibilidad de biomarcadores o la eficacia de los tratamientos de última generación como los anticuerpos monoclonales o los CAR-T. En relación a ellos, hemos identificado logros y cuestiones pendientes que fueron tratados en un Foro previo de expertos.

La Jornada se ha centrado en contrastar esos logros y cuestiones pendientes identificados con diferentes actores que concurren en la aplicación de la llamada Medicina Personalizada a pacientes con patologías tributarias de ello.

Desde sus diferentes perspectivas, y atendiendo a la dimensión Afectiva y Efectiva de los tratamientos, hemos contado en la Jornada con la visión de las personas afectadas y de sus asociaciones, de los profesionales expertos en los ámbitos de su implementación y manejo, de los investigadores, de los gestores y de los planificadores sanitarios.



Entidad organizadora

El Instituto Universitario de Pacientes de la Universidad Internacional de Cataluña es una institución universitaria que tiene como objetivo general la educación y formación sanitaria de los pacientes, sus familiares y sus asociaciones en relación a las enfermedades en sus diferentes dimensiones. Entre sus líneas de trabajo destaca el abordaje de las diferentes dimensiones de la enfermedad: individual, familiar, social y relacional con el sistema sanitario.

En el entorno sanitario actual, el Instituto parte del análisis de necesidades de la comunidad para desarrollar programas y estrategias destinadas a promover las aulas de educación y formación, estudios y creación de instrumentos que ayuden en el día a día del paciente y su gestión.

El Aula Janssen de Innovación en Política Sanitaria tiene su sede en el Instituto Universitario de Pacientes de la Universidad Internacional de Cataluña. Ésta se centra en el estudio de las innovaciones en el área de las políticas sanitarias, principalmente las destinadas a la gestión de organizaciones sanitarias, las políticas de participación y la formación directiva de profesionales, y la traslación a nuestro entorno de innovaciones en las áreas de política y gestión sanitaria.

Participantes

Ponencia inaugural: Datos y medicina de precisión

Joan Guanyabens. Director de la Fundació TIC Salut Social.

Mesa redonda 1: Logros alcanzados en nuestro contexto con la medicina de precisión

Boi Ruiz. Director del Instituto Universitario de Pacientes UIC. Moderador.

Josep María Argimon. Director de Infraestructuras Científicas del Barcelona Beta Brain Research Center (BBRC).

Josep Sánchez de Toledo. Consultor Emérito Institut Català d'Oncologia (ICO).

Albert Oriol. Director científico de la Unidad de Ensayos. ICO-Badalona.

Judith López. Suport i Companyia.

Mesa redonda 2: Retos pendientes para la medicina de precisión en nuestro contexto

Gemma Valeta. Gerente de Medicina personalizada y de precisión. Departament de Salut de la Generalitat de Catalunya.

Josep Tabernero. Jefe de Servicio de Oncología. Hospital Universitario Vall d'Hebron.

Bonaventura Clotet. Director de IrsiCaixa y Presidente de la Fundación Lluita contra les Infeccions.

Marco Pugliese. Director Fundación Grupo de Afectados por Esclerosis Múltiple. GAEM.

Montserrat Daban. Directora de Análisis Estratégico y Relaciones Internacionales. Biocat.

Metodología

La Jornada se desarrolla de forma presencial, abierta a los interesados en la temática, y en su transcurso se recogen las aportaciones, opiniones y puntos de vista de los participantes en diversos turnos de palabra dirigidos a través de la moderación del Dr. Boi Ruiz.

La Jornada se inicia con una ponencia centrada en el papel de los datos sanitarios en el desarrollo de la medicina de precisión y se articula posteriormente a través de dos mesas redondas focalizadas en:

Mesa redonda 1: Logros alcanzados en nuestro contexto con la medicina de precisión

Mesa redonda 2: Retos pendientes para la medicina de precisión en nuestro contexto.

La Jornada se cierra con unas breves conclusiones preliminares.

Los principales temas de tratados a lo largo de la Jornada se recogen y se presentan en el apartado Discusión de este documento. Finalmente, se extraen las principales conclusiones y aportaciones de la misma.

Discusión

En la ponencia introductoria se aborda **la importancia de los datos para el desarrollo de la medicina de precisión.**

El momento actual constituye el inicio de una revolución digital, cuyo elemento central son los datos. Nos encontramos, pues, ante un reto que requiere de un acuerdo social sobre cómo utilizarlos en beneficio de los pacientes.

En Cataluña tenemos una buena disponibilidad de datos clínicos, pero nos falta avanzar en la disponibilidad de datos genómicos, datos sobre determinantes de salud y del entorno social de los pacientes y datos sobre la actividad asistencial privada. Asimismo, las limitaciones impuestas a nivel político no han permitido avanzar en la usabilidad e interoperabilidad de los datos.

Es fundamental poder avanzar en el uso de todos estos datos para garantizar la mejor calidad asistencial, avanzar en la investigación y evaluar los resultados para tomar decisiones a todos los niveles.

Por las características de los sistemas sanitarios, en Europa tenemos al alcance un elevado volumen y nivel de datos de salud, pero al mismo tiempo existe un alto grado de protección que limita su utilización. Debemos ser capaces de aprovechar las potencialidades que actualmente ofrece la tecnología para resolver este dilema, garantizando la protección de los datos y al mismo tiempo haciendo posible su usabilidad en beneficio de los propios pacientes. Europa, a través del Espacio europeo de datos de salud, debe procurar las fórmulas para hacerlo posible.

Asimismo, en este campo es imprescindible disponer de recursos (económicos y de conocimiento) para lograr avances y, para ello, es necesaria la colaboración público-privada.

En el momento actual, la inteligencia artificial (especialmente la generativa) aportará aún más valor, a partir de su capacidad para el procesamiento de los datos o a través de la generación de lenguaje natural. Se debe aprovechar esta capacidad, minimizando los riesgos de su uso.

En definitiva, debemos ser capaces de utilizar la tecnología al servicio de los objetivos marcados por las personas.

Mesa redonda 1: Logros alcanzados en nuestro contexto con la medicina de precisión

La primera mesa redonda de la Jornada se centra en los logros que ya se han alcanzado a través de la medicina de precisión.

En este sentido, se considera que se han logrado ya avances importantes (por ejemplo, mediante la secuenciación genómica o la capacidad de actuar sobre dianas moleculares), pero queda todavía un largo camino por recorrer. La medicina de precisión, especialmente a través del uso de los datos, abrirá múltiples líneas de desarrollo.

Asimismo, se considera que, más allá de la definición *académica* de medicina de precisión, este concepto puede abarcar todos los avances que han permitido a la medicina, a lo largo del tiempo, ser más precisa, segura y eficaz en la aplicación de diagnósticos y tratamientos; es decir, aplicar *la mejor medicina posible*.

Así, por ejemplo, esta mayor precisión es la que ha permitido, en el caso concreto del **cáncer infantil**, pasar de una supervivencia de un 40% en los años 70 del siglo pasado al actual 80%. En este campo, lo que entendemos actualmente como medicina de precisión se encuentra, sin embargo, todavía en los inicios de un proceso que será largo. Debe poder avanzarse, por ejemplo, en la reducción de los efectos secundarios de los tratamientos, aspecto esencial en oncología infantil. En el campo, el limitado número de casos (la *n*) es un condicionante importante, por lo que la colaboración entre distintos países es fundamental para lograr estos progresos.

Las propias características de la medicina de precisión de ser adaptativa y focalizarse cada vez más en *n* más reducidas hace que el diseño de la investigación deba ser también más adaptativo, por lo que el uso de los datos en esta investigación es fundamental.

Otro ámbito en el que se han producido avances notables es el de **la digitalización de la anatomía patológica**, que actualmente alcanza únicamente 8 hospitales de Cataluña, pero que permite ser mucho más precisos en el diagnóstico y, en consecuencia, el tratamiento de tumores.

Desde **la perspectiva de los pacientes**, existe un interés y una información creciente por la medicina de precisión, que puede suponer también la asunción de un papel más activo. Sin embargo, la relación de confianza con el profesional (el oncólogo, en el caso de pacientes de cáncer) sigue constituyendo el elemento clave para la información y la concienciación sobre las consecuencias de la enfermedad, también aquellas derivadas de la posibilidad de acceder o no a un tratamiento y la comprensión de las posibles limitaciones.

Respecto al **acceso a las innovaciones terapéuticas**, se señala que en España sigue existiendo un condicionante muy importante en lo referido al tiempo que transcurre desde que la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) autoriza un tratamiento hasta que éste está disponible para el paciente. Esta dilación, centrada fundamentalmente en la negociación del precio, supone una limitación importante.

Se considera que debe tenerse en cuenta el coste-efectividad de las nuevas innovaciones terapéuticas, pero que el coste no debería ser una barrera si el tratamiento es realmente efectivo, supone una mejora respecto a alternativas ya existentes o permite tratar a un ma-

yor número de pacientes. Una opción para asumir estas innovaciones podría ser que el Sistema Nacional de Salud (SNS) dispusiera de un fondo de contingencia para innovación.

Asimismo, se señala que **la precisión** de la medicina debería contemplar también aspectos emocionales y de calidad de vida de los pacientes, no limitarse a la innovación técnica o clínica.

En general, se hace una valoración positiva de los avances alcanzados mediante la medicina de precisión pero quedan caminos todavía por recorrer. La investigación es el instrumento básico para poder alcanzar más y mejores resultados.

Mesa redonda 2: Retos pendientes para la medicina de precisión en nuestro contexto

La segunda mesa redonda se centra fundamentalmente en los retos aún pendientes en el campo de la medicina de precisión, algunos de los cuales ya identificados en la primera mesa de debate.

Existen diferentes documentos que definen ya los retos pendientes en medicina de precisión. Por ejemplo, a **nivel europeo** se han identificado 60 tripletas de acción (investigación, innovación, implementación) para poder avanzar de forma efectiva, que incluyen aspectos de regulación, formación, accesibilidad a las terapias... En este sentido, la apuesta europea por la medicina de precisión es firme: inversión de 3.000 M€, creación del Espacio europeo de datos de salud, desarrollo de modelos clínicos de medicina de precisión...

Se considera esencial **la alineación y coordinación** de los distintos agentes implicados: administración, clínicos, investigadores, pacientes... evitando la búsqueda de protagonismos o la primacía de intereses particulares.

También se señala como fundamental **la celeridad en la traslación de los avances de la investigación a la práctica clínica** para dar respuesta a las necesidades de los pacientes. Lógicamente, los requisitos necesarios para garantizar la seguridad no deben obviarse, pero al mismo tiempo, deben priorizarse las necesidades de los pacientes individuales que requieren un tratamiento en el momento actual.

La medicina de precisión tiene **un alcance multifactorial** que requiere un abordaje complejo: la incorporación al sistema de la innovación, el acceso a los tratamientos, la visión de los pacientes, la formación y acompañamiento, la gestión de los datos, la sostenibilidad... En Cataluña se están contemplando todos estos aspectos, partiendo del conocimiento previo y de la base existente que supone disponer de una investigación puntera, un modelo de atención a las enfermedades minoritarias sólido, etc.

Esta estrategia de medicina de precisión de Cataluña, elaborada a partir de un proceso **bottom-up**, cuenta con instrumentos, recursos y voluntad política para desarrollarse, a partir de la coordinación entre el sistema de salud y las estructuras de investigación y desarrollo.

Para el necesario avance de la medicina de precisión, es fundamental, como ya se ha indicado, poder disponer de datos y utilizarlos a distintos niveles. **Informar a los pacientes sobre el valor de estos datos** y los beneficios que se pueden obtener a partir de ellos es esencial para poder implicarlos y que sean un aliado en este reto. Para ello, es esencial también que los pacientes obtengan un retorno, en forma de información, de los resultados obtenidos a partir del uso de los datos.

En este mismo campo, es fundamental la **colaboración entre instituciones públicas y privadas**, traspasando las fronteras de los estados. **Las alianzas entre regiones y estados** nos deben permitir avanzar sobre la base de modelos de negocio desarrollados de acuerdo con los valores europeos. Deben identificarse los modelos internacionales de éxito y buscar colaboración con ellos. La fragmentación (entre modelos sanitarios distintos, por ejemplo) o la existencia de silos de información pueden ser un obstáculo, pero no debe obviarse que la alternativa son los modelos de las grandes corporaciones norteamericanas (Google, Amazon, Apple...), que pueden asumir el liderazgo en el sector con una perspectiva y unos valores muy alejados de los imperantes en Europa. No se debe correr el riesgo de caer en la pobreza de datos. La **medicina de las 5P** (Personalizada, Predictiva, Preventiva, Participativa y Poblacional) debe ser una realidad.

Se apunta también, en este entorno, la necesidad de flexibilizar el sistema para poder incorporar al sistema de salud **nuevos perfiles profesionales** (genetistas, bioinformáticos) con capacidad para generar y usar los datos.

Se abordan asimismo algunos de los retos pendientes de la medicina de precisión en **patologías distintas de las oncológicas**, como pueden ser la esclerosis múltiple (por ejemplo, en los indicadores de progresión o el tratamiento de las formas más progresivas de la enfermedad) o las enfermedades infecciosas (por ejemplo, en las resistencias o las complicaciones más frecuentes). En todos los casos, se señala la importancia de invertir en investigación como elemento clave.

También frente al **cáncer** es fundamental invertir en investigación, así como en acciones de prevención y detección precoz, teniendo en cuenta que el 45% de los tumores diagnosticados son evitables. El Plan europeo contra el cáncer establece objetivos ambiciosos de reducción de estos cánceres evitables y de mejora de la supervivencia con un horizonte 2030. Se considera que esta fijación de objetivos a nivel europeo es una línea de avance muy importante.

También se apunta a la necesidad de abordar **las necesidades de los pacientes** desde una perspectiva global, más allá del tratamiento farmacológico estricto, abordando aspectos relacionados con la nutrición, el bienestar, la ayuda psicológica, la necesidad de cuidados...

Conclusiones

- Disponer de datos de salud y poder utilizarlos, con todas las garantías de protección necesarias, es clave para el desarrollo de la medicina de precisión.
- Los datos son fundamentales para la mejora de la calidad asistencial, el desarrollo de la investigación y la capacidad para tomar decisiones a todos los niveles, basadas en la evidencia.
- Actualmente, a nivel europeo, disponemos de un gran volumen de datos, pero tenemos muchas limitaciones en su uso. La creación del Espacio europeo de datos de salud debe ser un instrumento que permita avanzar en el uso secundario de los datos en beneficio de los pacientes.
- Asimismo, deben dedicarse recursos económicos a este campo, fomentar la colaboración público-privada e implicar a los pacientes para promover la utilización segura de los datos.
- La inteligencia artificial puede generar gran valor en la toma de decisiones a partir del procesamiento de los datos. Es necesario equilibrar estos beneficios con los posibles riesgos: la tecnología debe estar al servicio de los objetivos marcados por las personas.
- La medicina de precisión ha permitido alcanzar metas notables en determinados tratamientos de enfermedades, fundamentalmente oncológicas, pero todavía queda un largo camino por avanzar. El big data abre un nuevo campo para la medicina, con múltiples líneas de avance que irán apareciendo.
- El concepto de “medicina de precisión” tiene una definición académica pero parece lo suficientemente amplio para incluir avances desarrollados desde hace décadas desde una perspectiva de aplicar “la mejor medicina posible”.
- Las necesidades de los pacientes deben abordarse desde una perspectiva global, más allá del tratamiento farmacológico estricto, teniendo en cuenta aspectos relacionados con la nutrición, el bienestar, la ayuda psicológica, la necesidad de cuidados...
- Los pacientes tienen un creciente interés por la medicina de precisión, que abre también un nuevo camino para que asuman un papel más activo. La “precisión” en la medicina debe incluir también los aspectos emocionales y de calidad de vida de los pacientes. En definitiva, la perspectiva debe ser afectiva-efectiva.
- A la hora de autorizar y aplicar nuevos tratamientos es importante tener en cuenta su coste-efectividad, pero sin introducir barreras de acceso o dilaciones en el tiempo en la aplicación de tratamientos efectivos.

- A nivel europeo están bien definidos los retos pendientes en medicina de precisión, que incluyen los ámbitos de investigación, innovación e implantación y abarcan aspectos de regulación, formación, accesibilidad a las terapias...
- En el desarrollo de la medicina de precisión es fundamental la colaboración entre instituciones públicas y privadas, traspasando las fronteras de los estados.
- Para poder avanzar en el campo de la medicina de precisión, es necesario que todos los agentes estén alineados: administración, clínicos, investigadores, pacientes...
- Es necesaria una verdadera priorización de la investigación, incrementando los recursos que se destinan a ella para poder conseguir avances importantes y que estos puedan aplicarse con celeridad a la práctica clínica.
- En Cataluña se está avanzando con un plan de acción conjunto que implica a los distintos actores y que abarca los diferentes ámbitos de actuación en medicina de precisión. Existen las herramientas, recursos y voluntad política para avanzar.
- Es importante la colaboración transfronteriza y aprovechar la experiencia y los modelos desarrollados en los países europeos más pioneros.

Bibliografía

Estudi UIC Medicina precisió a nivel europeu

McKinsey and Company. Precision medicine: Opening the aperture. Pharmaceutical and Medical Practice 2018.

<https://www.mckinsey.com/~media/mckinsey/industries/life%20sciences/our%20insights/precision%20medicine%20opening%20the%20aperture/precision-medicine-opening-the-aperture.pdf>

Ignacio Para Rodríguez-Santana (director-coautor). Fundación Bamberg. El impacto de la nueva medicina en el sistema sanitario. 2021.

Jacob Aptekar, Nicholas Donoghoe, Edd Fleming, Meredith Reichert, Erika Stanzl, and Kevin Webster. Precision medicine: Opening the aperture. McKinsey and Company. 2019.

<https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/precision-medicine-opening-the-aperture#/>

European Union. EP PerMed: Towards a European Partnership in Personalised Medicine

<https://erapermed.isciii.es/ep-permed-towards-a-european-partnership-in-personalised-medicine/>

Consorti de Salut i Social de Catalunya. Propostes per avançar en el model de Medicina Personalitzada de Precisió (MPP) a Catalunya. 2023

https://www.consorti.org/media/upload/arxius/publicacions/WEB_informe_MPP_v01_2022_02_17.pdf

Generalitat de Catalunya. Implantació del Programa d'oncologia de precisió en el sistema sanitari públic de Catalunya 2021.

<https://scientiasalut.gencat.cat/handle/11351/5692?show=full&locale-attribute=es>

Gobierno de España. Infraestructura de Medicina de Precisión asociada a la Ciencia y la Tecnología - IMPaCT. www.isciii.es. 2021.

<https://www.isciii.es/QueHacemos/Financiacion/IMPACT/Paginas/default.aspx>



Campus Sant Cugat
Josep Trueta, s/n
08195 Sant Cugat del Vallès
Tel. +34 935 042 000
a/e iupacientes@uic.es
www.uic.es/es/instituto-universitario-pacientes

UIC
barcelona
**Instituto Universitario
de Pacientes**

UIC
barcelona
**Cátedra de Gestión Sanitaria
y Políticas de Salud**

Con la colaboración de:

