

Reflexiones sobre la innovación en la PYME biotecnológica

Cristina Garmendia

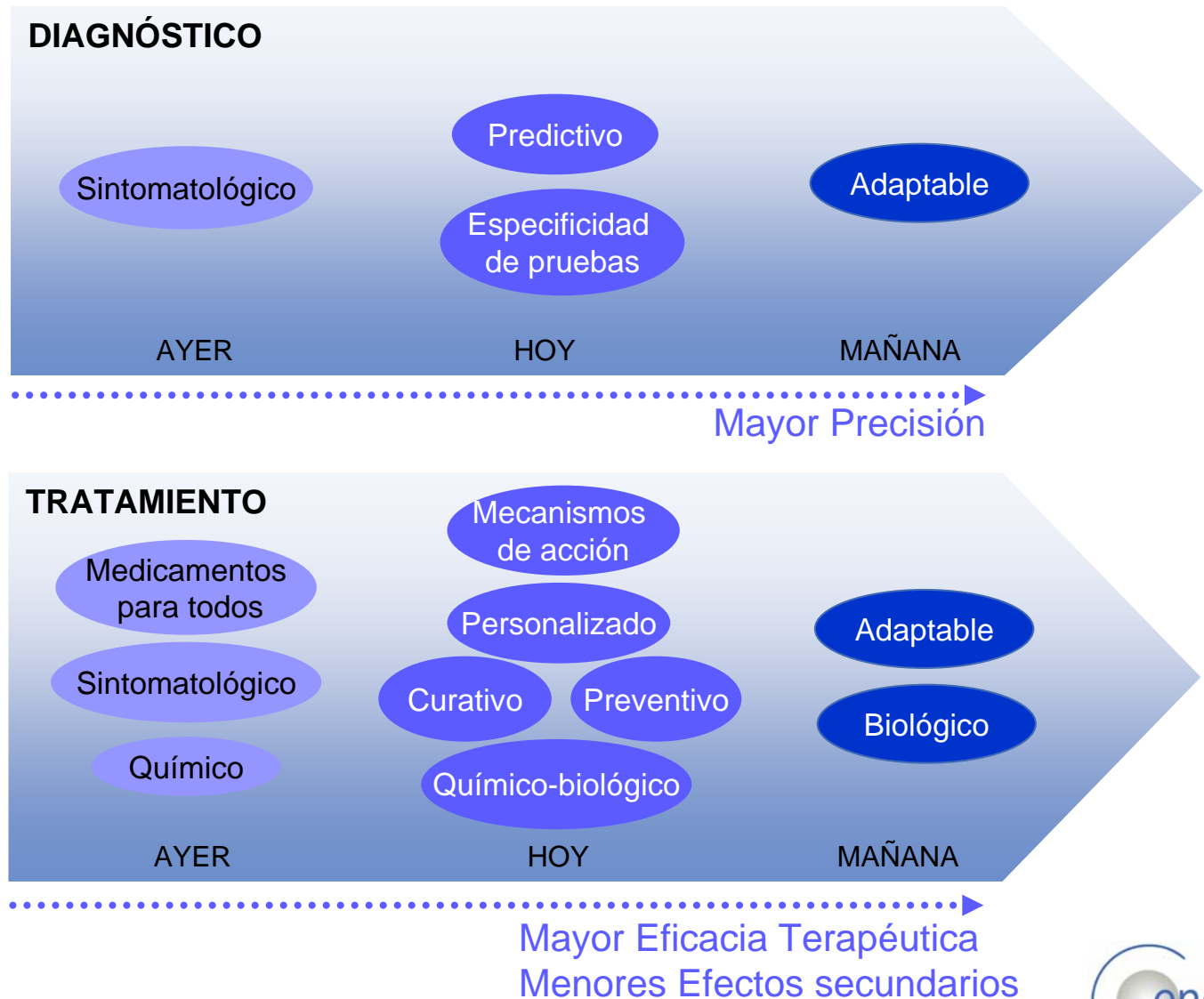


I Foro Europeo sobre Política Farmacéutica - 24/10/2005

Resumen

- El cambio en el modelo de innovación
- Los actores del proceso
- La biotecnología y la innovación
- La gestión integrada como forma de innovar
- Medidas que estimulen la innovación

Evolución de diagnóstico y tratamiento de enfermedades



El cambio en el modelo de innovación



Escasa innovación respecto a fármacos anteriores

Producción baja y en declive de NEM

Periodos de desarrollo demasiado largos

Costes altos en I + D

Se necesitan unos 14 años para llegar a la comercialización

Los gastos en I+D superarán a los ingresos por ventas en USA en el 2015

Solo 1 de cada 5.000-10.000 candidatos llega a ser aprobado

Incremento en la penetración de genéricos. El 40 % de los blockbusters en 2002 perderán su patente antes del 2006



Biológicos: novedosos y de rápida penetración en el mercado

Impulso de nuevas tecnologías

Inversión en nuevas infraestructuras

Impulso de alianzas: biotec-farma, público-privado

FARMACÉUTICAS

BIOTECNOLÓGICAS

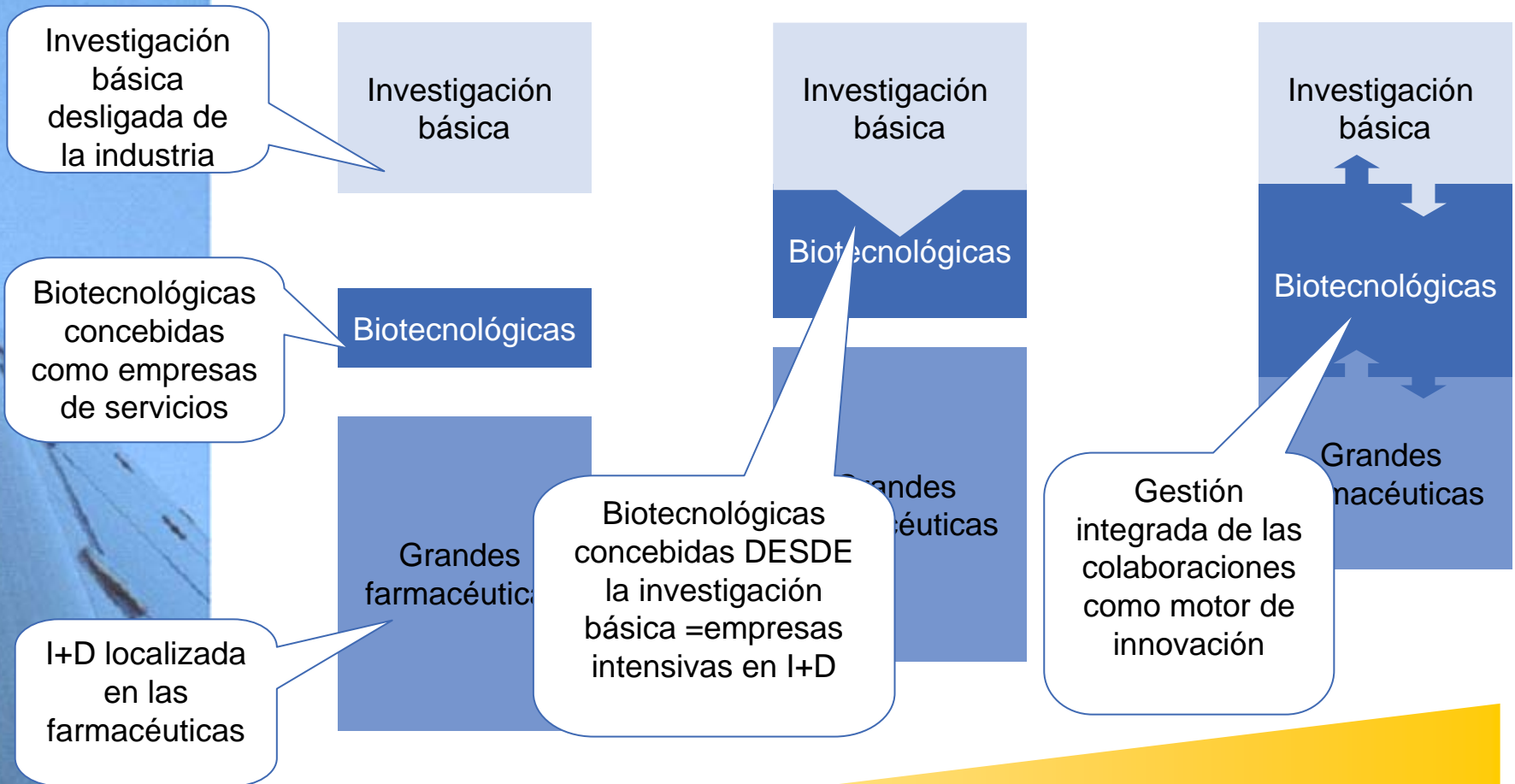


La biotecnología como vector de innovación en la industria farmacéutica

Modelo anterior

Modelo actual

Tendencia



Investigación básica desligada de la industria

Biotecnológicas concebidas como empresas de servicios

I+D localizada en las farmacéuticas

Biotecnológicas concebidas DESDE la investigación básica =empresas intensivas en I+D

Gestión integrada de las colaboraciones como motor de innovación



Innovación

Los actores del proceso

Biotechológicas

- Traslación de descubrimientos académicos en candidatos terapéuticos
 - Enfoque terapéutico novedoso y atractivo
 - Estrategia y posición competitiva en PI
 - Caracterización de candidatos. Ensayos “invitro”
 - Preclínica, FI y FIIa

Farmacéuticas

- FIII/IV. Registro
- Otras indicaciones. Estrategia a largo plazo
- Grandes mercados. Infraestructura establecida

La **colaboración** entre centros de investigación biotechológicas, farmacéuticas es la clave para innovar en el modelo actual

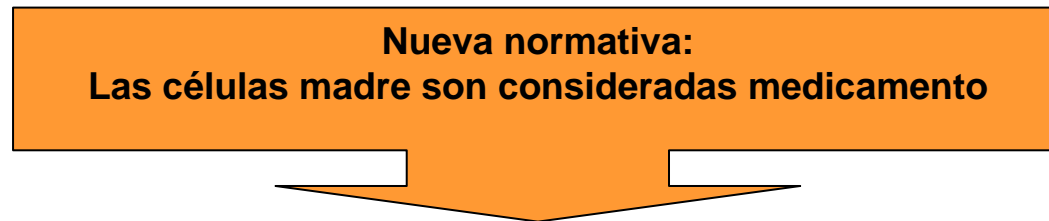


Investigación básica y clínica

- Descubrimiento
- Interpretación de mecanismos de acción
- Identificación de dianas terapéuticas
- Visualización del potencial de los nuevos abordajes terapéuticos

Proceso de desarrollo de una terapia innovadora: medicamento celular autólogo para tratamiento de fístula

- Fase I en número reducido de pacientes
 - Objetivo: estudiar y evaluar la eficacia y la seguridad del **trasplante autólogo** de células madre adultas para la regeneración de tejidos .
 - Realizado en un solo hospital. El elevado éxito obtenido en esta fase, permitía considerar la entrada en Fase II.

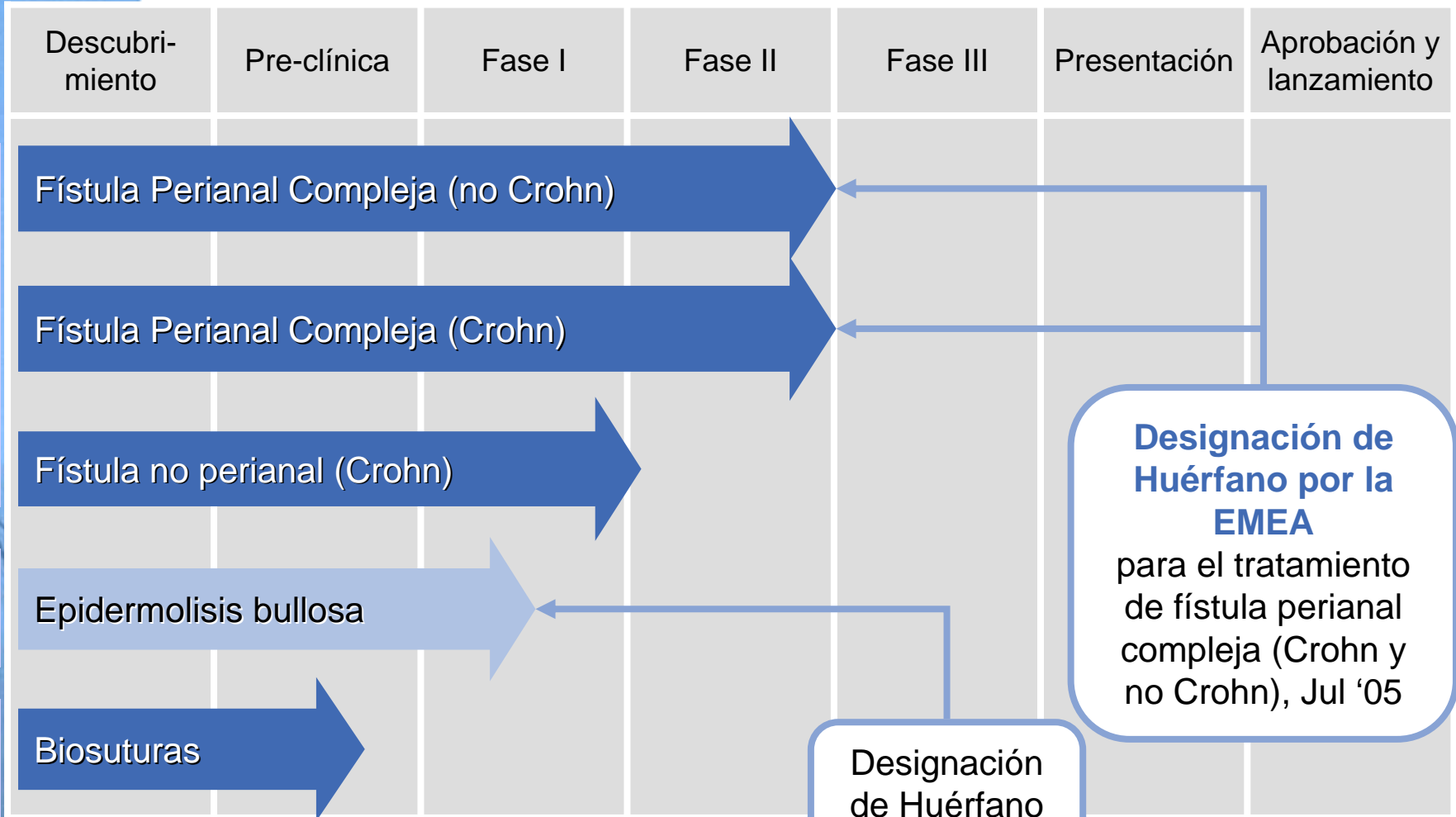


- Nuevo enfoque: de técnica quirúrgica a tratamiento
 - Desarrollo de un producto farmacéutico totalmente nuevo

La innovación como necesidad

- Al afrontar el desarrollo de un producto farmacéutico novedoso, tuvimos que innovar:
 - Innovar en la estrategia: Conciliar costes de desarrollo con indicación poco frecuente. Fomentar una política de colaboraciones (hospitales, centros de investigación)
 - Innovar en instalaciones: Disponer de una instalación autorizada para desarrollar medicamentos celulares con calidad clínica
 - Innovar en la regulación: conciliar la terapia con los requerimientos regulatorios en cuanto a ensayos clínicos

La apuesta de Genetrix en Terapia Celular: Cellerix



Designación de Huérfano por la EMEA
para el tratamiento de fístula perianal compleja (Crohn y no Crohn), Jul '05

Designación de Huérfano en proceso

- Células madre adultas (tejido adiposo)
- Queratinocitos y fibroblastos (piel)

La gestión integrada de la I+D interna y de nuestras colaboraciones nos ha permitido

- Conseguir la **autorización del primer laboratorio farmacéutico de producción celular** (obtenida el 6/09/04)
- Cumplir los **requerimientos regulatorios** en un corto plazo
 - Autorización de los CEIC (Comités Éticos de investigación Clínica) marzo de 2004
 - Aprobación de Producto en Fase de Investigación (PEI) 19/08/04
 - Aprobación del ensayo clínico en Fase II por la Agencia Española del Medicamento 19/08/04
 - Designación de Medicamento Huérfano por la EMEA, 26/08/05
- Prever **indicaciones futuras** con todas las garantías de cumplimiento de regulación:
 - Biosuturas
 - Epidermolisis bullosa
- Conciliar costes de desarrollo con indicación poco frecuente
 - Ventajas de designación de huérfano
 - Enfoque a mercado nicho.
 - Acortar tiempos

La gestión integral de la I+D como hecho innovador

- Creación de equipos **especializados, multidisciplinares y de background mixto** en áreas clave del negocio
 - Protección del conocimiento
 - Proyectos competitivos nacionales e internacionales
 - Desarrollo de Negocio
 - Desarrollo de Producto
 - Asuntos regulatorios
- Ventajas:
 - Adaptabilidad
 - Solidez
 - Visión de conjunto
 - Optimización de recursos

Innovación en la estrategia de mercado y aspectos regulatorios

- Mercado nicho
 - Menor competencia
 - Se puede ganar mayor cuota de mercado. La estimación es más precisa y realista.
 - Mayor probabilidad de reembolso por parte de las agencias reguladoras.
 - Mejor control del marketing y de la comercialización.
 - Requiere menos recursos.
- La atención a los aspectos regulatorios (medicamento huérfano) significa
 - Mayor probabilidad de aprobación
 - Exclusividad comercial
 - Asesoría gratuita por parte de agencias reguladoras durante las fases de ensayos clínicos
 - Acortamiento de los periodos de evaluación
 - Posibilidad de “premium pricing”

Medidas desde las compañías que pueden estimular la innovación

Gestión de la I+D	Gestión integrada de las áreas clave del negocio incluidas las colaboraciones académicas
Regulación	Búsqueda de aproximaciones cuya regulación contemple incentivos para su desarrollo (indicaciones huérfanas, terapias avanzadas)
Estrategia de mercado	Enfoque en mercados nicho. Permite independencia inicial aunque hace necesarias las alianzas para ampliar el mercado
Alianzas	Búsqueda de alianzas que permitan robustecer el pipeline y acceder a propiedad industrial y knowhow. Modelo de “win-win”.
Seguridad y novedad	Búsqueda de productos que ofrezcan garantías de seguridad desde el inicio del desarrollo (biológicos). Productos (o procesos) radicalmente innovadores.
Instalaciones	Asegurar las capacidades de producción de acuerdo a normas regulatorias, al menos en los primeros estadios del desarrollo (baja y media escala)

Medidas para estimular desde la administración la innovación biofarmacéutica en España

- Medidas fiscales
 - Establecimiento de un Estatuto de “Bioempresa” para las compañías intensivas en I+D biotecnológica que contemple “tasa cero” impositiva en los tres primeros años de actividad y exención de cargas sociales durante los primeros 10 años de vida.
 - Posibilidad, para las biotechs en pérdidas, de transferir las exenciones fiscales por I+D a sus aliados farmacéuticos.
 - Beneficios fiscales a inversores particulares (business Angels) que apuesten por la I+D biotecnológica.
- Medidas económicas:
 - Incentivos a las empresas farmacéuticas nacionales o multinacionales para aliarse con las biotech Españolas
 - Flexibilidad del balance coste/beneficio en medicamentos huérfanos
 - Creación de un mercado secundario de bolsa con condiciones más flexibles
 - Incentivos a la gestión de la I+D de empresas innovadoras (asesoría, financiación)
- Medidas institucionales
 - Apuesta por las innovaciones farmacéuticas radicales que aporten mejoras significativas (nuevas indicaciones y formulaciones)
 - Política de compras públicas que favorezca el desarrollo del tejido biotecnológico (contratando productos y servicios a empresas nacionales)
 - Facilidades para el desarrollo clínico de moléculas o terapias con alto grado de innovación.

Cristina Garmendia Mendizábal

Presidenta de Genetrix

Marconi, 1
Parque Tecnológico de Madrid
28760 Tres Cantos
Madrid – SPAIN

Tel. +(34) 91 804 92 64

Fax. +(34) 91 804 92 63

www.genetrix.es