



Iniciativa Nacional para la Transformación
de la Investigación Clínica

Acceso expandido/Uso compasivo

Dr. Alexander Carreño

Md. Esp. MsC. PhD(c)

jcarreno@cancer.gov.co

Coordinador grupo de investigación clínica

Instituto Nacional de Cancerología

Mayo 2024

Características de un programa de acceso expandido (AE)/ uso compasivo (CU)



Iniciativa Nacional para la Transformación de la Investigación Clínica

EA proporciona mediante programa para que los pacientes obtengan autorización para usar un producto médico en investigación para uso terapéutico que no ha sido aprobado por la FDA para su uso fuera de un entorno de ensayo clínico.

Uso compasivo (CU) como un “programa que tiene como objetivo proporcionar tratamientos experimentales que potencialmente salven vidas a pacientes que padecen una enfermedad para la cual no existe una terapia autorizada satisfactoria y/o que no pueden participar en un ensayo clínico”.

Un comité de Revisión Institucional (IRB) evalúa el protocolo de acceso expandido y el consentimiento para garantizar que el paciente esté informado sobre la naturaleza de la terapia de investigación.

La FDA revisa la solicitud de AE y determina la aprobación

Los criterios para participar en un programa de AE son amplios e inclusivos

Se opta por brindar únicamente la terapia de investigación (no comparadores o placebo)

Acceso Expandido

Criterios elegibilidad



Iniciativa Nacional para la Transformación
de la Investigación Clínica



En cáncer: enfermedad en
progresión, donde se han
agotado todas las opciones
de tratamiento aprobadas.
**(1L, 2L, 3L tolerabilidad,
reacciones adversas)**



-Ausencia de ensayos
clínicos
-Sin criterios para
enrolamiento en un ensayo
clínico.
-Con criterios para la
terapia de investigación –
perfilamiento molecular



El suministro de la terapia
de investigación no
interfiere con ensayos
clínicos
**(obtención de NDA y
comercialización)**



Existe un beneficio
potencial para el paciente
que justifica los riesgos de
recibir una terapia en
investigación
**(beneficio observado en al
menos confirmación
terapéutica)**

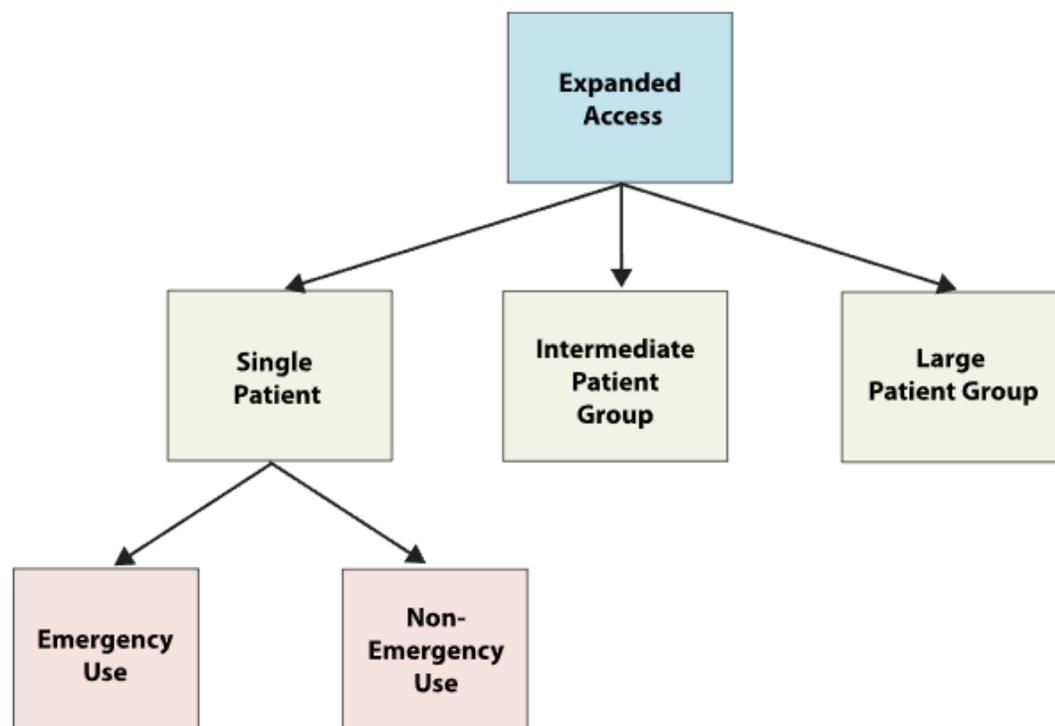


La terapia de investigación
aún no ha sido aprobada ni
autorizada por Agencias
reguladoras.
**(sin determinación de la
eficacia y seguridad)**

Tipos de solicitudes de EA (medicamentos o productos biológicos)



Iniciativa Nacional para la Transformación de la Investigación Clínica



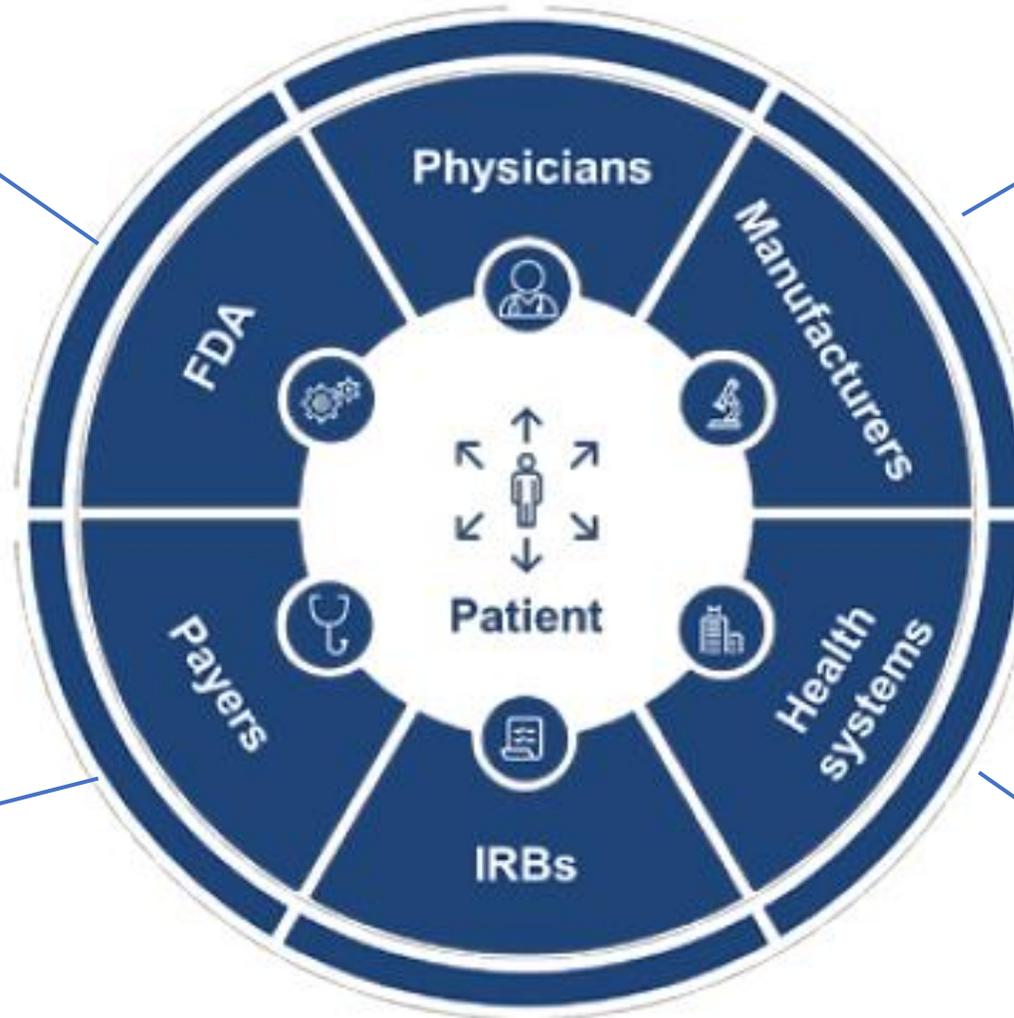
Tipo de solicitud	¿Quién puede solicitar EA?	
	Industria	Médico
1. IND de paciente individual	✓	✓
2. IND de paciente individual para uso de emergencia	✓	✓
3. Población de tamaño intermedio IND	✓	✓
4. Tratamiento IND	✓	✓
5. Protocolo individual del paciente	✓	
6. Protocolo de paciente individual de uso de emergencia	✓	
7. Protocolo de población de tamaño intermedio	✓	
8. Protocolo de tratamiento	✓	

Stakeholders

- Identificar pacientes/ tratamientos
- Acuerdo para la solicitud de terapia a través de un programa EA.

- Evaluar solicitudes
- Clasifica, coordina, revisa y autoriza la solicitud.

- Procedimientos para analizar solicitudes y definir criterios de autorización
- No tienen la obligación legal de proporcionar tratamientos de investigación a través de EA



- Políticas de cobertura para los costos del tratamiento /honorarios
- Seguimiento
- Tratamiento de complicaciones

- Apoyo a profesionales de la salud
- Proporciona infraestructura para apoyo administrativo (farmacia de investigación)
- Gestión de envíos de terapias de investigación
- Coordinar temas logísticos/facturación

- Revisión de solicitudes
- Asegurar la protección de los derechos y el bienestar de los participantes



Box meaning

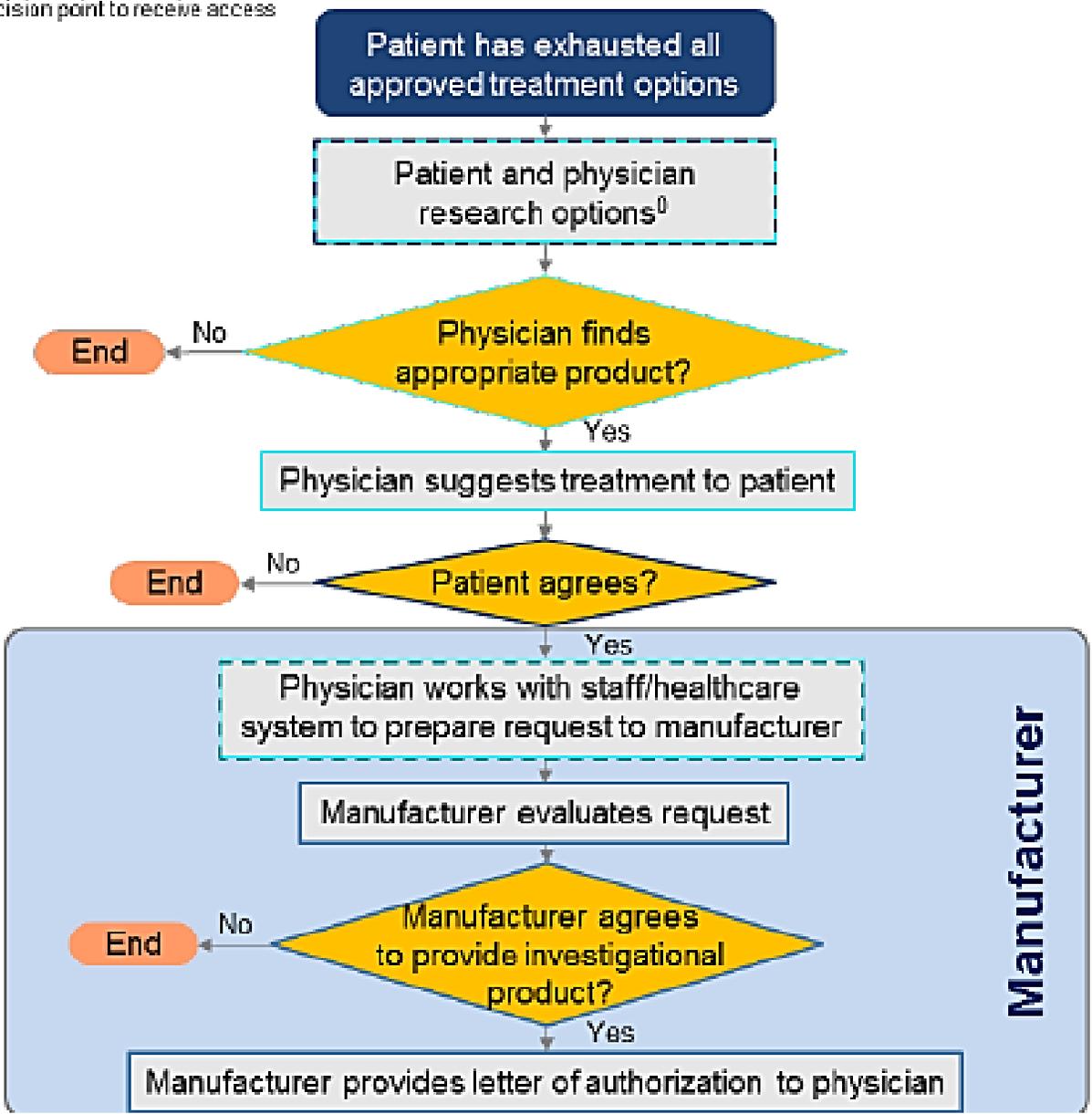
■ Process starts ■ Process ends ■ Process step

◆ Critical decision point to receive access

Stakeholder

□ Patient □ Physician □ Health system □ Manufacturer □ IRB □ FDA □ Payer

Identification²





Conclusiones



RETOS

- Consolidación como programa Nacional de acceso expandido
- Participación: Sistema de salud, profesionales de la salud, Industria, agencias regulatorias, Comités, pagadores y pacientes
- Regular y normar el programa en Colombia
- Creación de sistemas de información y programas de educación



Iniciativa Nacional para la Transformación
de la Investigación Clínica

¡Gracias!