

**Ponencia de estudio sobre Genómica y Medicina de Precisión
Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social
Senado de España**

Participación de la Asociación Española de Bioempresas (ASEBIO)

Desde la Asociación Española de Bioempresas (ASEBIO) agradecemos a la Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social del Senado la oportunidad de participar en la Ponencia de Estudio sobre Genómica y Medicina de Precisión.

A través de esta participación escrita, pretendemos presentar ASEBIO y nuestra labor como asociación; ofrecer algunos datos representativos que ayuden a contextualizar el peso del sector biotecnológico en España; y por último aportar una serie de consideraciones que nos parecen necesarias de cara a elaborar una Estrategia de Medicina de Precisión comprehensiva, sostenible y beneficiosa para el conjunto de la sociedad.

A continuación, detallamos un pequeño índice que estructura nuestra intervención:

1. Presentación de ASEBIO
2. Datos representativos del sector biotecnológico en España
3. La Biotecnología y la Medicina Genómica y de Precisión. Avances científicos y retos actuales
4. Medicina Genómica y de Precisión. Una oportunidad para España
5. Necesidad de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión
6. Iniciativas relevantes en Medicina de Precisión
 - a. Experiencias Internacionales: Europa, Alemania, Francia, Finlandia, Reino Unido. Estados Unidos. Japón
 - b. Experiencias a nivel estatal y autonómico
7. Consideraciones de ASEBIO para la elaboración y desarrollo de una Estrategia de Medicina de Precisión en España

1. Presentación de ASEBIO

ASEBIO agrupa a empresas, asociaciones, fundaciones, universidades, centros tecnológicos y de investigación que desarrollan sus actividades de manera directa o indirecta en relación con la biotecnología en España.

Desde su fundación en 1999, ASEBIO trabaja para representar los intereses del sector y lograr cambios positivos en la política y la economía que favorezcan e impulsen el desarrollo del sector biotecnológico español.

Para ello, ASEBIO colabora estrechamente con las administraciones nacionales, autonómicas y europeas, así como con todas aquellas organizaciones sociales comprometidas con el uso de la biotecnología para la mejora de la calidad de vida de los ciudadanos, la sostenibilidad medioambiental, el desarrollo económico y la generación de empleo cualificado.

Adicionalmente, es interesante mencionar que ASEBIO es una asociación definida por la tecnología: la innovación biotecnológica es la seña de identidad de su actividad y de la de sus asociados. Ello hace que, paralelamente, la asociación se vertebre en torno a tres ejes de diversidad:

- Diversidad público-privada: en ASEBIO están presentes empresas biotecnológicas, pero también Organismos Públicos de Investigación, Universidades, Fundaciones Hospitalarias, Sociedades Científicas, Asociaciones de Pacientes, etc.
- Diversidad sectorial: ASEBIO agrupa empresas e instituciones del sector biosanitario, agroalimentario e industrial.
- Diversidad de tamaño: el 85% de la base asociativa de ASEBIO son PYMEs, mientras que el 15% son grandes empresas. Ese 15% de grandes empresas se divide, a su vez, en un 3% de empresas nacionales y un 12% de filiales de multinacionales.

Para ASEBIO la cooperación y el trabajo en red son una prioridad. Por ello, forma parte de la Asociación Europea para la Bioindustria (EuropaBio), en la que junto a casi un centenar de organizaciones empresariales representa los intereses de más de 1.800 empresas europeas.

ASEBIO es también miembro de la Confederación Española de Organizaciones Empresariales (CEOE) y colabora con varias sociedades científicas y médicas, como la Sociedad Española de Biotecnología (SEBiot), la Sociedad Española de Bioquímica y Biología Molecular (SEBBM), la Federación Española de Enfermedades Neuromusculares–ASEM, la Fundación Española de Hematología y Hemoterapia (FEHH), la Sociedad Española de Oncología Médica (SEOM) o la Sociedad Española de Neurociencia (SENC).

Esta amplia base de asociados y su extensa red de colaboraciones nacionales e internacionales hacen de ASEBIO un interlocutor clave a la hora de diseñar políticas y programas para el fomento de la innovación, el emprendimiento y el desarrollo empresarial en el sector biotecnológico, vector indiscutible de crecimiento económico y social en España. Dentro de esa voluntad de colaboración se enmarca, también, la participación de ASEBIO en esta Ponencia de Estudio de Genómica y Medicina Personalizada del Senado de España.

2. Datos representativos del sector biotecnológico en España¹

El sector biotecnológico es un sector en alza que cuenta con un peso cada vez mayor en el crecimiento económico y el progreso social de nuestro país.

La contribución específica de las empresas con dedicación principal a la biotecnología (empresas *biotech*) en el año 2016 superó los 7.300 millones de euros de PIB (un 0,7% del total nacional) y generó más de 108.000 empleos, de los cuales más de 22.000 fueron empleos directos. Todo ello generó unos ingresos para las Administraciones Públicas de en torno a los 2.600 millones de euros.

El impacto económico total que generan las empresas que realizan actividades biotecnológicas sobre el conjunto de la economía española se situó en 2016 en el 7,8% del PIB, generando en

¹ Asociación Española de Bioempresas, *Informe Asebio 2017* (Asociación Española de Bioempresas, 2018).

torno a 90.000 millones de euros de renta. En el mismo sentido, aproximadamente 850.000 puestos de trabajo (el 4,9% del total) dependen de forma directa, indirecta e inducida de la actividad desarrollada por estas empresas.

Toda esta actividad generó unos ingresos fiscales para el conjunto de las Administraciones Públicas de más de 25.000 millones de euros en 2016, es decir, en torno al 2,3% del PIB. Cabe destacar que, de esos 25.000 millones, 11.000 corresponden directamente al sector biotecnológico.

Globalmente, el sector biotecnológico emplea a más de 177.000 personas, de las cuales un 13% se localiza en empresas estrictamente *biotech*, un 31% en las empresas de dedicación secundaria, y el 56% restante en las empresas usuarias de biotecnología como herramienta de producción. En términos relativos, durante el año 2016 se generaron algo más de 3.600 nuevos puestos de trabajo netos, lo que supone un crecimiento de en torno al 2,3% con respecto a 2015.

En la misma línea, durante 2016 el sector biotecnológico presentó unos niveles de productividad media (producción por empleado) significativamente más altos que el conjunto de la economía. Los salarios medios en las actividades biotecnológicas son también ligeramente más elevados que la media nacional, destacando el colectivo de empresas *biotech*.

Además, consideramos que las empresas biotecnológicas son un fiel ejemplo de la realidad de nuestro tejido productivo, empresarial e industrial. La empresa *biotech* tipo es una empresa pequeña, con una media de unos 35 trabajadores que perciben un salario medio en torno a los 59.000€ anuales, y que factura anualmente unos 13,5 millones de euros, de los que algo más de un 5% se destina anualmente a la realización de inversiones.

Dentro de esa “imagen tipo”, se observa una mayor concentración en el segmento de micropymes; es decir, empresas con menos de 10 asalariados, que suponen casi el 60% del total y alcanzan una facturación media de unos 400.000€ anuales.

Del mismo modo, la internacionalización es uno de los factores más importantes para el desarrollo de la industria biotecnológica en España; y en los últimos años, el esfuerzo realizado por la biotecnología española ha recibido el reconocimiento de los mercados internacionales. Las empresas del sector biotecnológico han sido objeto de interés de grandes multinacionales farmacéuticas, de inversores internacionales y de los mercados de capitales, dando lugar a acuerdos y rondas de financiación sin precedentes en nuestro país. Las empresas biotecnológicas españolas captaron en 2017 un volumen de financiación internacional que ascendió a 68,8 millones de euros.

Como se puede imaginar, la distribución del peso del sector biotecnológico no es similar en todo el territorio del Estado. De acuerdo con los datos recogidos por el INE, las Comunidades Autónomas con mayores porcentajes de empresas *biotech* son Cataluña (23,3%), Madrid (18,7%), Andalucía (16%) y la Comunidad Valenciana (10%). Por el contrario, aquellas que cuentan con menor presencia de empresas asociadas al sector biotecnológico son Extremadura (0,3%), Castilla la Mancha (0,8%), Asturias (0,8%) y La Rioja (0,8%).

Por último, es necesario remarcar la estrecha relación que existe entre el sector biotecnológico y el de la salud. El 66,8% de las empresas *biotech* tienen al ámbito sanitario y de la salud humana como área de aplicación final de sus desarrollos biotecnológicos. Es de entender, por tanto, que ASEBIO asuma el futuro de la salud humana, la mejora progresiva de los productos y tecnologías sanitarias y la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud como intereses fundamentales.

3. La Biotecnología y la Medicina Genómica y de Precisión. Avances científicos y retos actuales.

En primer lugar, consideramos esencial tener claro de qué hablamos cuando hablamos de Medicina Personalizada. El *National Research Council* de Estados Unidos publicó en 2011 la siguiente definición: “Adaptación del tratamiento médico a las características individuales de cada paciente”². El Instituto Nacional de Salud de Estados Unidos acuñó otra de las definiciones más populares hasta la fecha: “un enfoque emergente para el tratamiento y la prevención de enfermedades, que tiene en cuenta la variabilidad individual en los genes, el entorno y el estilo de vida de cada persona”³.

En la práctica, hablamos de la capacidad de clasificar a los pacientes en subpoblaciones que difieren en su susceptibilidad a experimentar una determinada enfermedad, en la biología y/o el pronóstico de esta enfermedad, o en su respuesta a un determinado tratamiento. Esta identificación se realiza a través del análisis e integración de datos genómicos y otras ciencias ómicas, técnicas de imagen con datos clínicos y del entorno del paciente. De esta forma, es posible aplicar intervenciones preventivas o terapéuticas en aquellos grupos de pacientes más susceptibles de obtener un beneficio de las mismas, evitando el gasto innecesario y posibles efectos secundarios en aquellos menos susceptibles de responder favorablemente. Precisamente, este enfoque también permite que los pacientes menos adecuados para un tratamiento concreto puedan acceder de antemano a otro mejor, en el momento más oportuno⁴.

Desde que se empezó a investigar en fármacos, se hizo evidente que ante el mismo tratamiento algunos individuos respondían mejor o peor, incluso a las mismas dosis. Con el avance de las tecnologías basadas en ADN se logró la secuenciación completa del genoma humano, y con ella la llegada de las ciencias genómicas. Así, la Medicina Genómica nace como un “enfoque dirigido a la prevención, el diagnóstico y el tratamiento de la enfermedad basándose en el perfil específico del sujeto”⁵, tal y como recoge la Alianza Europea para la Medicina Personalizada (*European Alliance for Personalised Medicine*, EAPM).

La Medicina Genómica y la Medicina de Precisión suponen, por tanto, un cambio de paradigma en la forma de prestar la asistencia sanitaria, incorporando estrategias de diagnóstico y tratamiento más eficaces y seguras, y aportando soluciones para garantizar la sostenibilidad de los sistemas sanitarios⁶.

Tal y como han reconocido recientemente de forma conjunta la SEOM, SEAP y SEFH, su implementación no solo es un mandato ético y una obligación de la política en la medida en que representa una mejora indiscutible en el tratamiento de los pacientes y la prevención de enfermedades; sino que también se ha demostrado que promueve la sostenibilidad del sistema

² Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 9.

³ Pilar Garrido, Azucena Aldaz, Miguel Ángel Calleja, Enrique de Álava, María Jesús Lamas, Miguel Martín, Xavier Matías-Guiu, José Palacios, Ruth Vera, “Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine in Cancer: a position statement of SEOM, SEAP and SEFH”, *Farmacia Hospitalaria* vol. 41, nº 6 (2017): 689.

⁴ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 5.

⁵ Academia Europea de Pacientes, “Medicina estratificada y medicina genómica personalizada”, <https://www.eupati.eu/es/medicina-genomica-personalizada/medicina-estratificada-y-medicina-genomica-personalizada-lioxdraft/> (consultada el 3 de diciembre de 2018).

⁶ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 10.

de atención médica en ciertos casos, al seleccionar pacientes con una mayor probabilidad de respuesta, evitando que los pacientes estén expuestos a tratamientos costosos e innecesarios, mientras minimizan las complicaciones derivadas de terapias con poca o ninguna posibilidad de respuesta, y permite seleccionar las acciones preventivas más eficaces para cada individuo⁷.

El papel de la Biotecnología, y en concreto de la investigación biotecnológica, en los avances que hacen posible la Medicina de Precisión es clave, y está ampliamente documentado. Según expertos internacionales de la firma IQVIA, la biotecnología aplicada a la salud permite realizar ensayos clínicos cada vez más inteligentes y predictivos de éxito, a partir de un modelo de desarrollo de fármacos que favorece el desarrollo clínico en el marco biofarmacéutico emergente⁸.

- Algunos ejemplos concretos del papel de la investigación biotecnológica en el desarrollo de la Medicina de Precisión los encontramos en el área de las inmunoterapias, donde las técnicas de edición genética como CRISPR se han empleado para mejorar la respuesta del sistema inmune contra el cáncer. Estas terapias, apoyadas en procesos biotecnológicos, suponen un avance significativo hacia objetivos tan ambiciosos como la cura del cáncer.
- Otro ejemplo paradigmático lo constituyen los biomarcadores, que están desempeñando un papel clave en el diagnóstico de enfermedades. En el caso del Alzheimer, donde actualmente el mejor tratamiento de la enfermedad consiste en prevenirla, estas técnicas podrían reducir y/o retrasar hasta un tercio de los casos de demencia por Alzheimer; ya que la identificación de población en riesgo es clave para la eficacia de estrategias preventivas.

Estos ejemplos, que forman parte de una realidad mucho mayor, nos ayudan a entender que actualmente el 69% del pipeline farmacéutico mundial sea biotecnológico. Abundando en esta dinámica, Sheridan y Marquis confirmaron que, entre los años 2003 y 2012, el 40% de los medicamentos a nivel mundial fueron licenciados o comprados a empresas biotecnológicas de pequeño tamaño. De igual forma, se ha observado desde 1995 un aumento anual de patentes biotecnológicas del 25%; lo que supone una tasa de éxito investigador dos veces superior a la investigación química de moléculas pequeñas, típica de la industria farmacéutica no biotecnológica⁹.

Cada avance científico y médico impacta directamente en los pacientes, y por ello se debe seguir avanzando en la formación e información de nuestros profesionales sanitarios. Los beneficios de la Medicina de Precisión son numerosos, pero somos conscientes de que su aplicación de manera generalizada plantea importantes retos relacionados con la demostración de su eficacia, efectividad, seguridad y coste-efectividad.

Precisamente por ello, la elaboración de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión es muy necesaria. Sin una estrategia nacional, la medicina de precisión se irá implantando sin una adecuada planificación que tenga como objetivo garantizar la calidad técnica, la equidad en el

7 Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

8 IM Médico, "La Biotecnología acapara el 69% del pipeline farmacéutico actual", nº 28, 2018

https://www.immedicohospitalario.es/uploads/2018/10/biotecnologia_acapara_15087_20181023064657.pdf

(consultado el 3 de diciembre de 2018),7.

⁹ Íbidem.

acceso y la provisión de unos servicios sanitarios que den la atención necesaria a cada paciente en cada momento contribuyendo a la sostenibilidad del SNS¹⁰.

4. Medicina genómica y de precisión: una oportunidad para España

Convertir a España en el país referente de la medicina genómica y de precisión en Europa sería una oportunidad sin precedentes para nuestro país a nivel económico e industrial.

Desde un punto de vista económico, la Medicina de Precisión es una oportunidad para desarrollar un sector industrial de alto valor estratégico, sanitario, científico y económico. La incorporación de nuestro país en una etapa temprana nos brindaría la oportunidad de ser tecnológicamente independientes en un sector cada vez más necesario, y también nos permitiría exportar conocimiento y tecnología a un nuevo sector industrial.

Abriríamos la posibilidad de crear un nuevo modelo productivo en nuestro país, que permitiría atraer mayor inversión al sector científico y de la salud. Más inversión supondría, asimismo, mayor crecimiento económico, nuevos puestos de trabajo cualificados, y una importante mejora de los tratamientos que reciben nuestros pacientes.

Todo esto representa una oportunidad económica sin precedentes en nuestro país, que requeriría de una inversión y movilización de todas las partes involucradas para lograr soluciones tecnológicas innovadoras (que incluyen los campos de la industria y la tecnología de la información) y una nueva forma de desarrollo económico. En previsión de este escenario, es necesario fomentar la Medicina de Precisión como un motor de cambio y desarrollo científico, económico, tecnológico e industrial¹¹.

5. Necesidad de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión.

Si la medicina de precisión es importante para nuestro modelo económico, aún lo es más para nuestros pacientes.

Hay evidencia científica que apoya la afirmación de que a medida que avancen los años y la Medicina de Precisión aporte datos relevantes sobre su impacto en la mejora de la vida del paciente, supervivencia y ahorro de costes asociados; ésta terminará por imponerse como estándar de tratamiento.

Para garantizar la gobernanza de este cambio de modelo, resulta indispensable contar con una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión integrada en las estrategias internacionales, que sea consensuada entre todos los actores implicados. La implantación exitosa de la Medicina de Precisión depende necesariamente del trabajo conjunto y del consenso de todos los agentes promotores de este cambio: autoridades sanitarias, administraciones, asociaciones de pacientes, asociaciones empresariales, universidades, sociedades científicas, etc.

La elaboración de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión, que sirva de marco para la implantación de la Medicina de Precisión, permitiría¹²:

10 Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 691.

11 CAMPS, C., "La Medicina de Precisión como estrategia económica, sanitaria y social", en Revista Española de Economía de la Salud, V. 13, nº 3, julio 2018, p. 418.

12 Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 11.

- Contribuir a mejorar los resultados clínicos en los pacientes, con la consiguiente mejoría en la calidad y esperanza de vida.
- Contribuir a la equidad y acceso a una asistencia de precisión, personalizada y de la máxima calidad.
- Contribuir a la racionalización del gasto sanitario y a la sostenibilidad de nuestro Sistema Nacional de Salud, avanzando en la generación de datos que permitan generalizar las iniciativas que demuestren su coste-efectividad.
- Posicionar a España en la vanguardia de la aplicación de estrategias de Medicina de Precisión.
- Anticiparnos a los continuos avances científicos en este ámbito, apuntando líneas de trabajo y sentando las bases para su implantación.
- Impulsar a España como referente en innovación, atrayendo inversión y talento, esenciales para el desarrollo y crecimiento económico.

6. Iniciativas relevantes en Medicina de Precisión.

a. Experiencias Internacionales: Europa, Alemania, Francia, Finlandia, Reino Unido. Estados Unidos. Japón.

Varios países de nuestro entorno están implantando estrategias e iniciativas de Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica a nivel nacional. Muchas de ellas cuentan con el compromiso expreso de sus gobiernos, un presupuesto específico y un marco de financiación adecuado para su incorporación en los sistemas de salud.

El objetivo de estas estrategias es impulsar investigaciones e innovaciones que permitan generar nuevos avances y, fundamentalmente, su aplicación en la práctica clínica habitual, mejorando los resultados en salud, estableciendo un marco de confianza y transparencia que garantice la equidad y el acceso.

Estas estrategias abordan la aplicación de la Medicina Personalizada a la prevención, diagnóstico y tratamiento de la enfermedad; y reconocen su valor a la hora de garantizar la sostenibilidad de los sistemas sanitarios.

Además, todas estas estrategias coinciden en una serie de elementos comunes¹³:

- Son estrategias integradas en el Sistema Nacional de Salud.
- Se imbrican en un marco normativo que aporta seguridad jurídica y facilita su gobernanza.
- Reciben apoyo gubernamental.
- Cuentan con financiación específica.
- Colaboran con el mundo empresarial y constituyen un elemento de crecimiento económico.
- Integran su información en la práctica clínica, como soporte a la toma de decisiones terapéuticas.

En el marco de las iniciativas europeas de impulso a la Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica, diferentes grupos están trabajando en la emisión de recomendaciones para

¹³ Op. cit., 18.

la armonización de políticas, la introducción de estándares de calidad y la generalización de buenas prácticas en relación a las condiciones éticas y el acceso seguro a información compartida.

A nivel internacional, el Consorcio Internacional de Medicina Personalizada (ICPerMed en sus siglas en inglés), constituye el proyecto más relevante en Europa. Comprende la Comisión Europea y más de 30 socios y agencias de financiación europeos y extraeuropeos. Su principal objetivo es estimular la investigación y la implementación de la Medicina de Precisión mediante reuniones, talleres, conferencias, encuestas, publicaciones estratégicas e iniciativas conjuntas¹⁴.

Como iniciativas conjuntas europeas también destaca la Alianza Europea para la Medicina Personalizada (EAPM en sus siglas en inglés), que reúne a expertos sanitarios europeos y a representantes de pacientes crónicos. Su trabajo redunda en la elaboración de recomendaciones para el diseño de políticas para un aprovechamiento máximo del potencial de la Medicina Personalizada¹⁵.

En Alemania, a comienzos de 2013 fue presentado el Plan de Acción de Medicina Personalizada, que contempla tres necesidades: 1) el desarrollo de recursos sanitarios específicos, 2) la relación con la industria y otros agentes del sector y 3) la comunicación permanente con todos los actores del entorno. El Plan de Acción establece como objetivos a corto plazo para los 5 primeros años, entre otros, el aumento de la inversión en desarrollos en Medicina Personalizada y la mejora del entendimiento del público general sobre Medicina Genómica¹⁶.

En Francia, el Plan de Medicina Genómica 2025 se publicó en 2016, con un horizonte temporal de diez años. El modelo se basa en el acceso compartido a los datos de pacientes recogidos a nivel nacional. Entre sus objetivos destaca el de realizar cerca de 235.000 secuencias completas de genoma por año, correspondientes a pacientes con enfermedades raras y a sus familiares; así como a pacientes con cánceres metastásicos o refractarios al tratamiento. El Plan tiene como objetivo situar a Francia como líder en generación de conocimiento y reforzar la industria nacional de Medicina Genómica para generar sucesivas innovaciones¹⁷.

En Finlandia, la Estrategia Finlandesa del Genoma define objetivos y medidas incluidas en una hoja de ruta con un horizonte temporal hasta 2020, y cuenta con un presupuesto de 50 millones de euros. Los objetivos de esta estrategia son 1) generar datos genómicos ampliamente utilizados en la asistencia sanitaria, 2) formar a ciudadanos capaces de hacer uso de sus datos genómicos y 3) convertir a Finlandia en un país atractivo y de referencia para la investigación genómica¹⁸.

En Reino Unido, el Primer Ministro David Cameron anunció en 2012 el Proyecto 100.000 Genomas, que tiene como objetivo secuenciar 100.000 genomas de pacientes del Servicio Nacional de Salud e integrar la información generada con datos clínicos, para desarrollar terapias personalizadas para el cáncer y enfermedades raras. A nivel interno, tanto Inglaterra como Escocia cuentan asimismo con sus propias Estrategias de Medicina de Precisión¹⁹.

Fuera de Europa, en Estados Unidos, el presidente Barack Obama lanzó en 2015 la Iniciativa de Medicina de Precisión (PMI en sus siglas en inglés), con el fin de establecer una atención individualizada a los pacientes, en base a los avances en investigación y tecnología. El presupuesto

¹⁴ Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

¹⁵ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 49.

¹⁶ Op. cit., 44.

¹⁷ Op. cit., 45.

¹⁸ Op. cit., 47.

¹⁹ Op. cit., 41.

de esta iniciativa para el año fiscal de 2016 fue de 215 millones de dólares. Esta iniciativa estaba focalizada en oncología y tiene como objetivo generar una cohorte de un millón de personas con sus datos biomédicos a finales de 2019²⁰.

La también estadounidense PMC (Personalized Medicine Coalition) es una organización de carácter académico, enfocada en la generación de opinión y posicionamiento en temas relativos a la Medicina Personalizada. Fue creada en 2004 y está constituida por más de 250 instituciones, incluyendo organizaciones académicas, asociaciones de pacientes, compañías de seguros de salud, informáticas, farmacéuticas, compañías de diagnóstico, compañías biotecnológicas, etc²¹.

Por último, en Japón, los ministerios japoneses de Ciencia, Salud y Tecnología han establecido indicadores clave de rendimiento (KPIs) y han trabajado en políticas relacionadas con la Medicina de Precisión. De acuerdo con los datos biológicos acumulados, Japón tiene previsto centrarse inicialmente en las enfermedades raras, enfermedades asegurables, cáncer, enfermedades infecciosas y enfermedades no diagnosticadas. En un segundo estadio de prioridad se encuentran las enfermedades relacionadas con el estilo de vida, como la diabetes y las enfermedades circulatorias. Por último, el gobierno japonés tiene también la intención de fomentar la terapia genómica para la depresión y la demencia.

b. Experiencias a nivel estatal y autonómico.

Aunque hasta la fecha no se ha desarrollado en nuestro país una estrategia transversal sobre Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica, son múltiples las estrategias e iniciativas que desarrollan diferentes aspectos sobre su implantación a nivel estatal y autonómico.

A nivel estatal diferentes Estrategias Nacionales recogen objetivos y recomendaciones para el desarrollo de la Medicina de Precisión. En especial, las últimas actualizaciones de las Estrategias en Cáncer y en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud incluyen aspectos relacionados con la aplicación de la Medicina Personalizada en este tipo de enfermedades²².

El Instituto de Salud Carlos III lanzó en 2013 la primera convocatoria de proyectos de vanguardia dirigidos al campo de la Medicina Personalizada. Por otro lado, las diferentes estructuras de investigación colaborativa en red (CIBER y RETICS) financiadas por el ISCIII y los Institutos de Investigación Sanitaria, están desarrollando proyectos en este ámbito²³.

En Cataluña, la Consejería de Sanidad de la Generalitat de Cataluña definió en diciembre de 2015 los objetivos en el ámbito de la Medicina Personalizada: 1) creación de un libro blanco de la Medicina Genómica en España, 2) el diseño de un Plan Integral sobre Medicina Genómica y 3) el desarrollo de pruebas piloto para evaluar eficacia de estrategias basadas en datos genómicos²⁴.

En Andalucía, la Medicina de Precisión está presente como prioridad en las principales estrategias de salud e investigación de la Comunidad, incluyendo el Plan de Genética de Andalucía, el Plan de Terapias Avanzadas y Plan Andaluz de Investigación, Desarrollo e Innovación (PAIDI 2020). Este último proyecto está abordando la secuenciación de cientos de genomas humanos de pacientes

²⁰ Op. cit., 37.

²¹ Op. cit., 39.

²² Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

²³ Íbid.

²⁴ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 52.

e individuos de control fenotipados. El proyecto es una apuesta de la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía y ha contado con el respaldo del Ministerio de Ciencia e Innovación²⁵.

Por último, en la Comunidad Valenciana, la aplicación de la Medicina de Precisión ha sido señalada como una prioridad para el futuro sistema sanitario valenciano. La Consejería está apostando por la inversión en I+D en Medicina Genómica, así como en la generación de bases de datos sobre pacientes. El objetivo es convertir a la Comunidad Valenciana en un referente en implantación del diagnóstico y tratamiento personalizados del cáncer²⁶.

7. Consideraciones de ASEBIO para la elaboración y desarrollo de una Estrategia de Medicina de Precisión en España²⁷

Teniendo en cuenta los beneficios, así como los desafíos derivados de esta área de la medicina, desde ASEBIO recomendamos:

- **Elaborar una Estrategia Estatal consensuada**, que sirva de marco general al desarrollo de la Medicina de Precisión en nuestro Sistema Nacional de Salud, orientada a facilitar su aplicación en la práctica clínica, con un marco regulatorio apropiado, de manera equitativa, con garantías de calidad, eficiencia y de cumplimiento de estándares éticos, contribuyendo a la sostenibilidad del sistema y promoviendo la investigación e innovación.
- Dotar dicha Estrategia Estatal de un **presupuesto específico**.
- **Enmarcar la gobernanza y el debate sobre la definición y desarrollo de la Estrategia en el Consejo Interterritorial**, con el apoyo del Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Involucrar en su desarrollo al Ministerio de Economía y Empresa, al Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades y al Instituto de Salud Carlos III (ISCIII).
- **Fomentar la coordinación entre las acciones recogidas en la Estrategia Estatal de Medicina de Precisión y en el resto de estrategias nacionales** existentes en el ámbito de diferentes patologías; dando especial importancia a la innovación y a la uniformidad en el conjunto del territorio. Debemos tener presentes las estrategias presentadas con anterioridad, tanto a nivel internacional como dentro de las diversas CCAA, para incorporarlas a la Estrategia Nacional.
- **Impulsar el papel del ISCIII** en el desarrollo de acciones de fomento de la investigación, innovación y formación en Medicina de Precisión **y el apoyo de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)**, en la ejecución de la Estrategia.

Del mismo modo, consideramos que la elaboración de la Estrategia debe pivotar en torno a los siguientes principios:

- **Desarrollar un marco legal nacional** para diseñar una regulación armonizada y que facilite el acceso a la Medicina de Precisión en todo el territorio nacional.

²⁵ Op. cit., p. 53.

²⁶ Op. cit., p. 54.

²⁷ Las propuestas de ASEBIO en este sentido recogen y se inspiran en las detalladas en el documento *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017).

- **Garantizar la equidad y facilitar el acceso a los pacientes.** El acceso a los medicamentos está reconocido como derecho fundamental de todo ser humano por la Organización Mundial de la Salud (OMS). Sin embargo, en la actualidad existen una serie de factores que dificultan que los pacientes tengan acceso a medicamentos innovadores que nacen de la investigación biotecnológica.
 - Un ejemplo son los test de diagnóstico in vitro. Su característica diferencial con respecto a otras tecnologías médicas es que, sin estar en contacto directo con el paciente, son capaces de proporcionar información que permite confirmar o descartar la presencia de una patología, y orientar a los especialistas médicos en la selección de la terapia más adecuada para cada paciente. Estos Los test de diagnóstico in vitro permiten, por tanto, la prevención de enfermedades y su tratamiento temprano y personalizado. Como consecuencia, ayudan a reducir la incidencia de algunas patologías o la duración de las estancias hospitalarias, lo que asimismo contribuye a disminuir los costes de los sistemas nacionales de salud²⁸.
 - El procedimiento necesario para acceder al mercado español para test de diagnóstico in vitro es uno de los más complejos a nivel europeo, debido a la falta de información pública y al hecho de que cada Comunidad Autónoma tenga una normativa y capacidad decisoria particular. En otros mercados europeos el acceso es más centralizado y cuenta con una normativa pública más transparente; por lo que desde ASEBIO hemos elaborado una serie de recomendaciones al respecto que estamos haciendo llegar a las Consejerías de Salud de las diferentes CC.AA. Entre ellas: mayor transparencia y claridad en cuanto a los procedimientos de acceso al mercado. Creemos que la creación de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión ayudaría a materializar estas recomendaciones.

- **Contribución al tratamiento personalizado de los pacientes y a la sostenibilidad y eficiencia del Sistema Nacional de Salud, sobre la base de la innovación científica, médica y farmacéutica.**
 - La medicina de precisión y los medicamentos innovadores son una apuesta necesaria de futuro de cara a proporcionar los tratamientos más eficaces para facilitar una atención sanitaria excelente y un sistema sanitario sostenible.
 - Como decíamos anteriormente, diversas sociedades científicas de nuestro país consideran que la implementación de la Medicina de Precisión y el uso de medicamentos innovadores es una obligación ética y política, en la medida en que constituyen un avance indiscutible en la prevención y en el tratamiento de enfermedades. Del mismo modo, las opiniones expertas en la materia también valoran la contribución de esta innovación a la sostenibilidad a largo plazo del Sistema Nacional de Salud en términos de coste-efectividad, al aplicar a cada paciente los tratamientos con mayor probabilidad de éxito.

²⁸ Natàlia Arrabal, Itziar Escudero, Azucena Castro, Arturo López, Marc Masa, María Moreno, Leticia Olavarrieta, Cristina Pérez, Anne Perron, Carlos Rubió, Miquel Tarón, ASEBIO, *La situación actual del acceso al mercado para test de diagnóstico in vitro en España*, ASEBIO, 2017, 5.


- **Poner a nuestro país entre las naciones que tienen la capacidad de desarrollar y aplicar Medicina de Precisión y, por lo tanto, exportar conocimiento y tecnología;** con el objetivo de fomentar un modelo económico a largo plazo, capaz de integrar y desarrollar el tejido industrial necesario para mantener la incorporación de la medicina de precisión a la salud en gran escala.
- **Crear un marco de gobernanza y funcionamiento que involucre a los diferentes agentes del sistema** en torno a un modelo de colaboración, coordinación e integración.
 - Consideramos que todos los actores implicados tienen que estar involucrados y cooperando para la creación de la Estrategia y el desarrollo de la Medicina de Precisión: asociaciones empresariales, sociedades científicas, universidades, asociaciones de pacientes y agentes de la administración (nacional y autonómica).
 - Recientemente, el Consejo Interterritorial de Salud ha aprobado el Plan de Terapias Avanzadas. Es una iniciativa positiva para seguir avanzando en garantizar la equidad y uniformidad de los tratamientos a nivel nacional.
- **La generación de datos y el Big Data.**
 - El Big data y la digitalización pueden ayudar a la prevención de enfermedades, la mejora del diagnóstico y la terapia, la mejora de los resultados de los pacientes, la mejor satisfacción de los pacientes, optimización del uso de los recursos en salud y la reducción de costes.
 - En este contexto, es imperativo que la regulación, tanto legal como ética, de un tema tan complejo como es la confidencialidad de los datos personales, esté garantizada, sin entorpecer la investigación, especialmente en estudios o proyectos que requieren el uso compartido de datos o por investigaciones posteriores que se puedan realizar.
- **Facilitar la información y formación a los pacientes e incorporarlos en la creación de la Estrategia.**
 - Sensibilizar a la población y a los responsables de la toma de decisiones sobre la importancia de la medicina de precisión, en concreto sobre las innovaciones que aportan ventajas terapéuticas para los pacientes, en la actualidad médica y sanitaria.
- **Involucrar a las Sociedades Científicas y a los profesionales sanitarios en la elaboración de la Estrategia,** fomentando su papel de actores de referencia y consenso en la comunidad científica y médica.
- **Fomentar los acuerdos de partenariado público-privados en genómica y medicina de precisión que faciliten el desarrollo de la estructura y marco necesarios para avanzar el conocimiento, generar innovaciones y movilizar recursos que mejoren los resultados en salud de la población.**

Aunque el objetivo prioritario de toda esta generación de conocimiento es su aplicación médica, no se pueden dejar de mencionar otras aplicaciones secundarias pero de trascendencia social y sanitaria, como es la nutrición personalizada, por la que también se está apostando desde las empresas/centros de investigación españoles, y que también podría considerarse dentro de la Estrategia.

Desde ASEBIO consideramos que estos principios y la colaboración de todos los agentes implicados es la llave para desarrollar con éxito la gobernanza, desarrollo y aplicación de la Medicina de Precisión, un enfoque médico, terapéutico y de investigación muy prometedor para el conjunto de la sociedad.

Agradecemos de nuevo a la Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social la oportunidad de participar en esta ponencia, y quedamos a la entera disposición de los Sres. Senadores para cualquier consideración adicional que pudieran requerir.

Madrid, 3 de diciembre de 2018



Ion Arocena Vélez

Director General
ASEBIO



Ana Polanco
Vocal Junta Directiva ASEBIO
Coordinadora Comisión Salud
ASEBIO

BIBLIOGRAFÍA

Academia Europea de Pacientes, “Medicina estratificada y medicina genómica personalizada”, <https://www.eupati.eu/es/medicina-genomica-personalizada/medicina-estratificada-y-medicina-genomica-personalizada-lioxdraft/>.

Asociación Española de Bioempresas, *Informe Asebio 2017* (Asociación Española de Bioempresas, 2018).

Carles Camps, “La Medicina de Precisión como estrategia económica, sanitaria y social”, *Revista Española de Economía de la Salud*, V. 13, nº 3, (julio 2018).

Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017).

IM Médico, "La Biotecnología acapara el 69% del pipeline farmacéutico actual", nº 28 (2018) https://www.immedicohospitalario.es/uploads/2018/10/biotecnologia_acapara_15087_201810_23064657.pdf.

Natàlia Arrabal, Itziar Escudero, Azucena Castro, Arturo López, Marc Masa, María Moreno, Leticia Olavarrieta, Cristina Pérez, Anne Perron, Carlos Rubió, Miquel Tarón, ASEBIO, *La situación actual del acceso al mercado para test de diagnóstico in vitro en España*, (ASEBIO, 2017).

Pilar Garrido, Azucena Aldaz, Miguel Ángel Calleja, Enrique de Álava, María Jesús Lamas, Miguel Martín, Xavier Matías-Guiu, José Palacios, Ruth Vera, "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine in Cancer: a position statement of SEOM, SEAP and SEFH", *Farmacia Hospitalaria* vol. 41, nº 6 (2017).

**Ponencia de estudio sobre Genómica y Medicina de Precisión
Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social
Senado de España**

Participación de la Asociación Española de Bioempresas (ASEBIO)

Desde la Asociación Española de Bioempresas (ASEBIO) agradecemos a la Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social del Senado la oportunidad de participar en la Ponencia de Estudio sobre Genómica y Medicina de Precisión.

A través de esta participación escrita, pretendemos presentar ASEBIO y nuestra labor como asociación; ofrecer algunos datos representativos que ayuden a contextualizar el peso del sector biotecnológico en España; y por último aportar una serie de consideraciones que nos parecen necesarias de cara a elaborar una Estrategia de Medicina de Precisión comprehensiva, sostenible y beneficiosa para el conjunto de la sociedad.

A continuación, detallamos un pequeño índice que estructura nuestra intervención:

1. Presentación de ASEBIO
2. Datos representativos del sector biotecnológico en España
3. La Biotecnología y la Medicina Genómica y de Precisión. Avances científicos y retos actuales
4. Medicina Genómica y de Precisión. Una oportunidad para España
5. Necesidad de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión
6. Iniciativas relevantes en Medicina de Precisión
 - a. Experiencias Internacionales: Europa, Alemania, Francia, Finlandia, Reino Unido. Estados Unidos. Japón
 - b. Experiencias a nivel estatal y autonómico
7. Consideraciones de ASEBIO para la elaboración y desarrollo de una Estrategia de Medicina de Precisión en España

1. Presentación de ASEBIO

ASEBIO agrupa a empresas, asociaciones, fundaciones, universidades, centros tecnológicos y de investigación que desarrollan sus actividades de manera directa o indirecta en relación con la biotecnología en España.

Desde su fundación en 1999, ASEBIO trabaja para representar los intereses del sector y lograr cambios positivos en la política y la economía que favorezcan e impulsen el desarrollo del sector biotecnológico español.

Para ello, ASEBIO colabora estrechamente con las administraciones nacionales, autonómicas y europeas, así como con todas aquellas organizaciones sociales comprometidas con el uso de la biotecnología para la mejora de la calidad de vida de los ciudadanos, la sostenibilidad medioambiental, el desarrollo económico y la generación de empleo cualificado.

Adicionalmente, es interesante mencionar que ASEBIO es una asociación definida por la tecnología: la innovación biotecnológica es la seña de identidad de su actividad y de la de sus asociados. Ello hace que, paralelamente, la asociación se vertebre en torno a tres ejes de diversidad:

- Diversidad público-privada: en ASEBIO están presentes empresas biotecnológicas, pero también Organismos Públicos de Investigación, Universidades, Fundaciones Hospitalarias, Sociedades Científicas, Asociaciones de Pacientes, etc.
- Diversidad sectorial: ASEBIO agrupa empresas e instituciones del sector biosanitario, agroalimentario e industrial.
- Diversidad de tamaño: el 85% de la base asociativa de ASEBIO son PYMEs, mientras que el 15% son grandes empresas. Ese 15% de grandes empresas se divide, a su vez, en un 3% de empresas nacionales y un 12% de filiales de multinacionales.

Para ASEBIO la cooperación y el trabajo en red son una prioridad. Por ello, forma parte de la Asociación Europea para la Bioindustria (EuropaBio), en la que junto a casi un centenar de organizaciones empresariales representa los intereses de más de 1.800 empresas europeas.

ASEBIO es también miembro de la Confederación Española de Organizaciones Empresariales (CEOE) y colabora con varias sociedades científicas y médicas, como la Sociedad Española de Biotecnología (SEBiot), la Sociedad Española de Bioquímica y Biología Molecular (SEBBM), la Federación Española de Enfermedades Neuromusculares–ASEM, la Fundación Española de Hematología y Hemoterapia (FEHH), la Sociedad Española de Oncología Médica (SEOM) o la Sociedad Española de Neurociencia (SENC).

Esta amplia base de asociados y su extensa red de colaboraciones nacionales e internacionales hacen de ASEBIO un interlocutor clave a la hora de diseñar políticas y programas para el fomento de la innovación, el emprendimiento y el desarrollo empresarial en el sector biotecnológico, vector indiscutible de crecimiento económico y social en España. Dentro de esa voluntad de colaboración se enmarca, también, la participación de ASEBIO en esta Ponencia de Estudio de Genómica y Medicina Personalizada del Senado de España.

2. Datos representativos del sector biotecnológico en España¹

El sector biotecnológico es un sector en alza que cuenta con un peso cada vez mayor en el crecimiento económico y el progreso social de nuestro país.

La contribución específica de las empresas con dedicación principal a la biotecnología (empresas *biotech*) en el año 2016 superó los 7.300 millones de euros de PIB (un 0,7% del total nacional) y generó más de 108.000 empleos, de los cuales más de 22.000 fueron empleos directos. Todo ello generó unos ingresos para las Administraciones Públicas de en torno a los 2.600 millones de euros.

El impacto económico total que generan las empresas que realizan actividades biotecnológicas sobre el conjunto de la economía española se situó en 2016 en el 7,8% del PIB, generando en

¹ Asociación Española de Bioempresas, *Informe Asebio 2017* (Asociación Española de Bioempresas, 2018).

torno a 90.000 millones de euros de renta. En el mismo sentido, aproximadamente 850.000 puestos de trabajo (el 4,9% del total) dependen de forma directa, indirecta e inducida de la actividad desarrollada por estas empresas.

Toda esta actividad generó unos ingresos fiscales para el conjunto de las Administraciones Públicas de más de 25.000 millones de euros en 2016, es decir, en torno al 2,3% del PIB. Cabe destacar que, de esos 25.000 millones, 11.000 corresponden directamente al sector biotecnológico.

Globalmente, el sector biotecnológico emplea a más de 177.000 personas, de las cuales un 13% se localiza en empresas estrictamente *biotech*, un 31% en las empresas de dedicación secundaria, y el 56% restante en las empresas usuarias de biotecnología como herramienta de producción. En términos relativos, durante el año 2016 se generaron algo más de 3.600 nuevos puestos de trabajo netos, lo que supone un crecimiento de en torno al 2,3% con respecto a 2015.

En la misma línea, durante 2016 el sector biotecnológico presentó unos niveles de productividad media (producción por empleado) significativamente más altos que el conjunto de la economía. Los salarios medios en las actividades biotecnológicas son también ligeramente más elevados que la media nacional, destacando el colectivo de empresas *biotech*.

Además, consideramos que las empresas biotecnológicas son un fiel ejemplo de la realidad de nuestro tejido productivo, empresarial e industrial. La empresa *biotech* tipo es una empresa pequeña, con una media de unos 35 trabajadores que perciben un salario medio en torno a los 59.000€ anuales, y que factura anualmente unos 13,5 millones de euros, de los que algo más de un 5% se destina anualmente a la realización de inversiones.

Dentro de esa “imagen tipo”, se observa una mayor concentración en el segmento de micropymes; es decir, empresas con menos de 10 asalariados, que suponen casi el 60% del total y alcanzan una facturación media de unos 400.000€ anuales.

Del mismo modo, la internacionalización es uno de los factores más importantes para el desarrollo de la industria biotecnológica en España; y en los últimos años, el esfuerzo realizado por la biotecnología española ha recibido el reconocimiento de los mercados internacionales. Las empresas del sector biotecnológico han sido objeto de interés de grandes multinacionales farmacéuticas, de inversores internacionales y de los mercados de capitales, dando lugar a acuerdos y rondas de financiación sin precedentes en nuestro país. Las empresas biotecnológicas españolas captaron en 2017 un volumen de financiación internacional que ascendió a 68,8 millones de euros.

Como se puede imaginar, la distribución del peso del sector biotecnológico no es similar en todo el territorio del Estado. De acuerdo con los datos recogidos por el INE, las Comunidades Autónomas con mayores porcentajes de empresas *biotech* son Cataluña (23,3%), Madrid (18,7%), Andalucía (16%) y la Comunidad Valenciana (10%). Por el contrario, aquellas que cuentan con menor presencia de empresas asociadas al sector biotecnológico son Extremadura (0,3%), Castilla la Mancha (0,8%), Asturias (0,8%) y La Rioja (0,8%).

Por último, es necesario remarcar la estrecha relación que existe entre el sector biotecnológico y el de la salud. El 66,8% de las empresas *biotech* tienen al ámbito sanitario y de la salud humana como área de aplicación final de sus desarrollos biotecnológicos. Es de entender, por tanto, que ASEBIO asuma el futuro de la salud humana, la mejora progresiva de los productos y tecnologías sanitarias y la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud como intereses fundamentales.

3. La Biotecnología y la Medicina Genómica y de Precisión. Avances científicos y retos actuales.

En primer lugar, consideramos esencial tener claro de qué hablamos cuando hablamos de Medicina Personalizada. El *National Research Council* de Estados Unidos publicó en 2011 la siguiente definición: “Adaptación del tratamiento médico a las características individuales de cada paciente”². El Instituto Nacional de Salud de Estados Unidos acuñó otra de las definiciones más populares hasta la fecha: “un enfoque emergente para el tratamiento y la prevención de enfermedades, que tiene en cuenta la variabilidad individual en los genes, el entorno y el estilo de vida de cada persona”³.

En la práctica, hablamos de la capacidad de clasificar a los pacientes en subpoblaciones que difieren en su susceptibilidad a experimentar una determinada enfermedad, en la biología y/o el pronóstico de esta enfermedad, o en su respuesta a un determinado tratamiento. Esta identificación se realiza a través del análisis e integración de datos genómicos y otras ciencias ómicas, técnicas de imagen con datos clínicos y del entorno del paciente. De esta forma, es posible aplicar intervenciones preventivas o terapéuticas en aquellos grupos de pacientes más susceptibles de obtener un beneficio de las mismas, evitando el gasto innecesario y posibles efectos secundarios en aquellos menos susceptibles de responder favorablemente. Precisamente, este enfoque también permite que los pacientes menos adecuados para un tratamiento concreto puedan acceder de antemano a otro mejor, en el momento más oportuno⁴.

Desde que se empezó a investigar en fármacos, se hizo evidente que ante el mismo tratamiento algunos individuos respondían mejor o peor, incluso a las mismas dosis. Con el avance de las tecnologías basadas en ADN se logró la secuenciación completa del genoma humano, y con ella la llegada de las ciencias genómicas. Así, la Medicina Genómica nace como un “enfoque dirigido a la prevención, el diagnóstico y el tratamiento de la enfermedad basándose en el perfil específico del sujeto”⁵, tal y como recoge la Alianza Europea para la Medicina Personalizada (*European Alliance for Personalised Medicine*, EAPM).

La Medicina Genómica y la Medicina de Precisión suponen, por tanto, un cambio de paradigma en la forma de prestar la asistencia sanitaria, incorporando estrategias de diagnóstico y tratamiento más eficaces y seguras, y aportando soluciones para garantizar la sostenibilidad de los sistemas sanitarios⁶.

Tal y como han reconocido recientemente de forma conjunta la SEOM, SEAP y SEFH, su implementación no solo es un mandato ético y una obligación de la política en la medida en que representa una mejora indiscutible en el tratamiento de los pacientes y la prevención de enfermedades; sino que también se ha demostrado que promueve la sostenibilidad del sistema

² Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 9.

³ Pilar Garrido, Azucena Aldaz, Miguel Ángel Calleja, Enrique de Álava, María Jesús Lamas, Miguel Martín, Xavier Matías-Guiu, José Palacios, Ruth Vera, “Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine in Cancer: a position statement of SEOM, SEAP and SEFH”, *Farmacia Hospitalaria* vol. 41, nº 6 (2017): 689.

⁴ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 5.

⁵ Academia Europea de Pacientes, “Medicina estratificada y medicina genómica personalizada”, <https://www.eupati.eu/es/medicina-genomica-personalizada/medicina-estratificada-y-medicina-genomica-personalizada-lioxdraft/> (consultada el 3 de diciembre de 2018).

⁶ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 10.

de atención médica en ciertos casos, al seleccionar pacientes con una mayor probabilidad de respuesta, evitando que los pacientes estén expuestos a tratamientos costosos e innecesarios, mientras minimizan las complicaciones derivadas de terapias con poca o ninguna posibilidad de respuesta, y permite seleccionar las acciones preventivas más eficaces para cada individuo⁷.

El papel de la Biotecnología, y en concreto de la investigación biotecnológica, en los avances que hacen posible la Medicina de Precisión es clave, y está ampliamente documentado. Según expertos internacionales de la firma IQVIA, la biotecnología aplicada a la salud permite realizar ensayos clínicos cada vez más inteligentes y predictivos de éxito, a partir de un modelo de desarrollo de fármacos que favorece el desarrollo clínico en el marco biofarmacéutico emergente⁸.

- Algunos ejemplos concretos del papel de la investigación biotecnológica en el desarrollo de la Medicina de Precisión los encontramos en el área de las inmunoterapias, donde las técnicas de edición genética como CRISPR se han empleado para mejorar la respuesta del sistema inmune contra el cáncer. Estas terapias, apoyadas en procesos biotecnológicos, suponen un avance significativo hacia objetivos tan ambiciosos como la cura del cáncer.
- Otro ejemplo paradigmático lo constituyen los biomarcadores, que están desempeñando un papel clave en el diagnóstico de enfermedades. En el caso del Alzheimer, donde actualmente el mejor tratamiento de la enfermedad consiste en prevenirla, estas técnicas podrían reducir y/o retrasar hasta un tercio de los casos de demencia por Alzheimer; ya que la identificación de población en riesgo es clave para la eficacia de estrategias preventivas.

Estos ejemplos, que forman parte de una realidad mucho mayor, nos ayudan a entender que actualmente el 69% del pipeline farmacéutico mundial sea biotecnológico. Abundando en esta dinámica, Sheridan y Marquis confirmaron que, entre los años 2003 y 2012, el 40% de los medicamentos a nivel mundial fueron licenciados o comprados a empresas biotecnológicas de pequeño tamaño. De igual forma, se ha observado desde 1995 un aumento anual de patentes biotecnológicas del 25%; lo que supone una tasa de éxito investigador dos veces superior a la investigación química de moléculas pequeñas, típica de la industria farmacéutica no biotecnológica⁹.

Cada avance científico y médico impacta directamente en los pacientes, y por ello se debe seguir avanzando en la formación e información de nuestros profesionales sanitarios. Los beneficios de la Medicina de Precisión son numerosos, pero somos conscientes de que su aplicación de manera generalizada plantea importantes retos relacionados con la demostración de su eficacia, efectividad, seguridad y coste-efectividad.

Precisamente por ello, la elaboración de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión es muy necesaria. Sin una estrategia nacional, la medicina de precisión se irá implantando sin una adecuada planificación que tenga como objetivo garantizar la calidad técnica, la equidad en el

7 Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

8 IM Médico, "La Biotecnología acapara el 69% del pipeline farmacéutico actual", nº 28, 2018 https://www.immedicohospitalario.es/uploads/2018/10/biotecnologia_acapara_15087_20181023064657.pdf (consultado el 3 de diciembre de 2018),7.

⁹ Íbidem.

acceso y la provisión de unos servicios sanitarios que den la atención necesaria a cada paciente en cada momento contribuyendo a la sostenibilidad del SNS¹⁰.

4. Medicina genómica y de precisión: una oportunidad para España

Convertir a España en el país referente de la medicina genómica y de precisión en Europa sería una oportunidad sin precedentes para nuestro país a nivel económico e industrial.

Desde un punto de vista económico, la Medicina de Precisión es una oportunidad para desarrollar un sector industrial de alto valor estratégico, sanitario, científico y económico. La incorporación de nuestro país en una etapa temprana nos brindaría la oportunidad de ser tecnológicamente independientes en un sector cada vez más necesario, y también nos permitiría exportar conocimiento y tecnología a un nuevo sector industrial.

Abriríamos la posibilidad de crear un nuevo modelo productivo en nuestro país, que permitiría atraer mayor inversión al sector científico y de la salud. Más inversión supondría, asimismo, mayor crecimiento económico, nuevos puestos de trabajo cualificados, y una importante mejora de los tratamientos que reciben nuestros pacientes.

Todo esto representa una oportunidad económica sin precedentes en nuestro país, que requeriría de una inversión y movilización de todas las partes involucradas para lograr soluciones tecnológicas innovadoras (que incluyen los campos de la industria y la tecnología de la información) y una nueva forma de desarrollo económico. En previsión de este escenario, es necesario fomentar la Medicina de Precisión como un motor de cambio y desarrollo científico, económico, tecnológico e industrial¹¹.

5. Necesidad de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión.

Si la medicina de precisión es importante para nuestro modelo económico, aún lo es más para nuestros pacientes.

Hay evidencia científica que apoya la afirmación de que a medida que avancen los años y la Medicina de Precisión aporte datos relevantes sobre su impacto en la mejora de la vida del paciente, supervivencia y ahorro de costes asociados; ésta terminará por imponerse como estándar de tratamiento.

Para garantizar la gobernanza de este cambio de modelo, resulta indispensable contar con una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión integrada en las estrategias internacionales, que sea consensuada entre todos los actores implicados. La implantación exitosa de la Medicina de Precisión depende necesariamente del trabajo conjunto y del consenso de todos los agentes promotores de este cambio: autoridades sanitarias, administraciones, asociaciones de pacientes, asociaciones empresariales, universidades, sociedades científicas, etc.

La elaboración de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión, que sirva de marco para la implantación de la Medicina de Precisión, permitiría¹²:

10 Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 691.

11 CAMPS, C., "La Medicina de Precisión como estrategia económica, sanitaria y social", en Revista Española de Economía de la Salud, V. 13, nº 3, julio 2018, p. 418.

12 Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 11.

- Contribuir a mejorar los resultados clínicos en los pacientes, con la consiguiente mejoría en la calidad y esperanza de vida.
- Contribuir a la equidad y acceso a una asistencia de precisión, personalizada y de la máxima calidad.
- Contribuir a la racionalización del gasto sanitario y a la sostenibilidad de nuestro Sistema Nacional de Salud, avanzando en la generación de datos que permitan generalizar las iniciativas que demuestren su coste-efectividad.
- Posicionar a España en la vanguardia de la aplicación de estrategias de Medicina de Precisión.
- Anticiparnos a los continuos avances científicos en este ámbito, apuntando líneas de trabajo y sentando las bases para su implantación.
- Impulsar a España como referente en innovación, atrayendo inversión y talento, esenciales para el desarrollo y crecimiento económico.

6. Iniciativas relevantes en Medicina de Precisión.

a. Experiencias Internacionales: Europa, Alemania, Francia, Finlandia, Reino Unido. Estados Unidos. Japón.

Varios países de nuestro entorno están implantando estrategias e iniciativas de Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica a nivel nacional. Muchas de ellas cuentan con el compromiso expreso de sus gobiernos, un presupuesto específico y un marco de financiación adecuado para su incorporación en los sistemas de salud.

El objetivo de estas estrategias es impulsar investigaciones e innovaciones que permitan generar nuevos avances y, fundamentalmente, su aplicación en la práctica clínica habitual, mejorando los resultados en salud, estableciendo un marco de confianza y transparencia que garantice la equidad y el acceso.

Estas estrategias abordan la aplicación de la Medicina Personalizada a la prevención, diagnóstico y tratamiento de la enfermedad; y reconocen su valor a la hora de garantizar la sostenibilidad de los sistemas sanitarios.

Además, todas estas estrategias coinciden en una serie de elementos comunes¹³:

- Son estrategias integradas en el Sistema Nacional de Salud.
- Se imbrican en un marco normativo que aporta seguridad jurídica y facilita su gobernanza.
- Reciben apoyo gubernamental.
- Cuentan con financiación específica.
- Colaboran con el mundo empresarial y constituyen un elemento de crecimiento económico.
- Integran su información en la práctica clínica, como soporte a la toma de decisiones terapéuticas.

En el marco de las iniciativas europeas de impulso a la Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica, diferentes grupos están trabajando en la emisión de recomendaciones para

¹³ Op. cit., 18.

la armonización de políticas, la introducción de estándares de calidad y la generalización de buenas prácticas en relación a las condiciones éticas y el acceso seguro a información compartida.

A nivel internacional, el Consorcio Internacional de Medicina Personalizada (ICPerMed en sus siglas en inglés), constituye el proyecto más relevante en Europa. Comprende la Comisión Europea y más de 30 socios y agencias de financiación europeos y extraeuropeos. Su principal objetivo es estimular la investigación y la implementación de la Medicina de Precisión mediante reuniones, talleres, conferencias, encuestas, publicaciones estratégicas e iniciativas conjuntas¹⁴.

Como iniciativas conjuntas europeas también destaca la Alianza Europea para la Medicina Personalizada (EAPM en sus siglas en inglés), que reúne a expertos sanitarios europeos y a representantes de pacientes crónicos. Su trabajo redunda en la elaboración de recomendaciones para el diseño de políticas para un aprovechamiento máximo del potencial de la Medicina Personalizada¹⁵.

En Alemania, a comienzos de 2013 fue presentado el Plan de Acción de Medicina Personalizada, que contempla tres necesidades: 1) el desarrollo de recursos sanitarios específicos, 2) la relación con la industria y otros agentes del sector y 3) la comunicación permanente con todos los actores del entorno. El Plan de Acción establece como objetivos a corto plazo para los 5 primeros años, entre otros, el aumento de la inversión en desarrollos en Medicina Personalizada y la mejora del entendimiento del público general sobre Medicina Genómica¹⁶.

En Francia, el Plan de Medicina Genómica 2025 se publicó en 2016, con un horizonte temporal de diez años. El modelo se basa en el acceso compartido a los datos de pacientes recogidos a nivel nacional. Entre sus objetivos destaca el de realizar cerca de 235.000 secuencias completas de genoma por año, correspondientes a pacientes con enfermedades raras y a sus familiares; así como a pacientes con cánceres metastásicos o refractarios al tratamiento. El Plan tiene como objetivo situar a Francia como líder en generación de conocimiento y reforzar la industria nacional de Medicina Genómica para generar sucesivas innovaciones¹⁷.

En Finlandia, la Estrategia Finlandesa del Genoma define objetivos y medidas incluidas en una hoja de ruta con un horizonte temporal hasta 2020, y cuenta con un presupuesto de 50 millones de euros. Los objetivos de esta estrategia son 1) generar datos genómicos ampliamente utilizados en la asistencia sanitaria, 2) formar a ciudadanos capaces de hacer uso de sus datos genómicos y 3) convertir a Finlandia en un país atractivo y de referencia para la investigación genómica¹⁸.

En Reino Unido, el Primer Ministro David Cameron anunció en 2012 el Proyecto 100.000 Genomas, que tiene como objetivo secuenciar 100.000 genomas de pacientes del Servicio Nacional de Salud e integrar la información generada con datos clínicos, para desarrollar terapias personalizadas para el cáncer y enfermedades raras. A nivel interno, tanto Inglaterra como Escocia cuentan asimismo con sus propias Estrategias de Medicina de Precisión¹⁹.

Fuera de Europa, en Estados Unidos, el presidente Barack Obama lanzó en 2015 la Iniciativa de Medicina de Precisión (PMI en sus siglas en inglés), con el fin de establecer una atención individualizada a los pacientes, en base a los avances en investigación y tecnología. El presupuesto

¹⁴ Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

¹⁵ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 49.

¹⁶ Op. cit., 44.

¹⁷ Op. cit., 45.

¹⁸ Op. cit., 47.

¹⁹ Op. cit., 41.

de esta iniciativa para el año fiscal de 2016 fue de 215 millones de dólares. Esta iniciativa estaba focalizada en oncología y tiene como objetivo generar una cohorte de un millón de personas con sus datos biomédicos a finales de 2019²⁰.

La también estadounidense PMC (Personalized Medicine Coalition) es una organización de carácter académico, enfocada en la generación de opinión y posicionamiento en temas relativos a la Medicina Personalizada. Fue creada en 2004 y está constituida por más de 250 instituciones, incluyendo organizaciones académicas, asociaciones de pacientes, compañías de seguros de salud, informáticas, farmacéuticas, compañías de diagnóstico, compañías biotecnológicas, etc²¹.

Por último, en Japón, los ministerios japoneses de Ciencia, Salud y Tecnología han establecido indicadores clave de rendimiento (KPIs) y han trabajado en políticas relacionadas con la Medicina de Precisión. De acuerdo con los datos biológicos acumulados, Japón tiene previsto centrarse inicialmente en las enfermedades raras, enfermedades asegurables, cáncer, enfermedades infecciosas y enfermedades no diagnosticadas. En un segundo estadio de prioridad se encuentran las enfermedades relacionadas con el estilo de vida, como la diabetes y las enfermedades circulatorias. Por último, el gobierno japonés tiene también la intención de fomentar la terapia genómica para la depresión y la demencia.

b. Experiencias a nivel estatal y autonómico.

Aunque hasta la fecha no se ha desarrollado en nuestro país una estrategia transversal sobre Medicina Personalizada, de Precisión o Medicina Genómica, son múltiples las estrategias e iniciativas que desarrollan diferentes aspectos sobre su implantación a nivel estatal y autonómico.

A nivel estatal diferentes Estrategias Nacionales recogen objetivos y recomendaciones para el desarrollo de la Medicina de Precisión. En especial, las últimas actualizaciones de las Estrategias en Cáncer y en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud incluyen aspectos relacionados con la aplicación de la Medicina Personalizada en este tipo de enfermedades²².

El Instituto de Salud Carlos III lanzó en 2013 la primera convocatoria de proyectos de vanguardia dirigidos al campo de la Medicina Personalizada. Por otro lado, las diferentes estructuras de investigación colaborativa en red (CIBER y RETICS) financiadas por el ISCIII y los Institutos de Investigación Sanitaria, están desarrollando proyectos en este ámbito²³.

En Cataluña, la Consejería de Sanidad de la Generalitat de Cataluña definió en diciembre de 2015 los objetivos en el ámbito de la Medicina Personalizada: 1) creación de un libro blanco de la Medicina Genómica en España, 2) el diseño de un Plan Integral sobre Medicina Genómica y 3) el desarrollo de pruebas piloto para evaluar eficacia de estrategias basadas en datos genómicos²⁴.

En Andalucía, la Medicina de Precisión está presente como prioridad en las principales estrategias de salud e investigación de la Comunidad, incluyendo el Plan de Genética de Andalucía, el Plan de Terapias Avanzadas y Plan Andaluz de Investigación, Desarrollo e Innovación (PAIDI 2020). Este último proyecto está abordando la secuenciación de cientos de genomas humanos de pacientes

²⁰ Op. cit., 37.

²¹ Op. cit., 39.

²² Pilar Garrido et al., "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine": 689.

²³ Íbid.

²⁴ Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017), 52.

e individuos de control fenotipados. El proyecto es una apuesta de la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía y ha contado con el respaldo del Ministerio de Ciencia e Innovación²⁵.

Por último, en la Comunidad Valenciana, la aplicación de la Medicina de Precisión ha sido señalada como una prioridad para el futuro sistema sanitario valenciano. La Consejería está apostando por la inversión en I+D en Medicina Genómica, así como en la generación de bases de datos sobre pacientes. El objetivo es convertir a la Comunidad Valenciana en un referente en implantación del diagnóstico y tratamiento personalizados del cáncer²⁶.

7. Consideraciones de ASEBIO para la elaboración y desarrollo de una Estrategia de Medicina de Precisión en España²⁷

Teniendo en cuenta los beneficios, así como los desafíos derivados de esta área de la medicina, desde ASEBIO recomendamos:

- **Elaborar una Estrategia Estatal consensuada**, que sirva de marco general al desarrollo de la Medicina de Precisión en nuestro Sistema Nacional de Salud, orientada a facilitar su aplicación en la práctica clínica, con un marco regulatorio apropiado, de manera equitativa, con garantías de calidad, eficiencia y de cumplimiento de estándares éticos, contribuyendo a la sostenibilidad del sistema y promoviendo la investigación e innovación.
- Dotar dicha Estrategia Estatal de un **presupuesto específico**.
- **Enmarcar la gobernanza y el debate sobre la definición y desarrollo de la Estrategia en el Consejo Interterritorial**, con el apoyo del Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Involucrar en su desarrollo al Ministerio de Economía y Empresa, al Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades y al Instituto de Salud Carlos III (ISCIII).
- **Fomentar la coordinación entre las acciones recogidas en la Estrategia Estatal de Medicina de Precisión y en el resto de estrategias nacionales** existentes en el ámbito de diferentes patologías; dando especial importancia a la innovación y a la uniformidad en el conjunto del territorio. Debemos tener presentes las estrategias presentadas con anterioridad, tanto a nivel internacional como dentro de las diversas CCAA, para incorporarlas a la Estrategia Nacional.
- **Impulsar el papel del ISCIII** en el desarrollo de acciones de fomento de la investigación, innovación y formación en Medicina de Precisión **y el apoyo de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)**, en la ejecución de la Estrategia.

Del mismo modo, consideramos que la elaboración de la Estrategia debe pivotar en torno a los siguientes principios:

- **Desarrollar un marco legal nacional** para diseñar una regulación armonizada y que facilite el acceso a la Medicina de Precisión en todo el territorio nacional.

25 Op. cit., p. 53.

26 Op. cit., p. 54.

27 Las propuestas de ASEBIO en este sentido recogen y se inspiran en las detalladas en el documento *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017).

- **Garantizar la equidad y facilitar el acceso a los pacientes.** El acceso a los medicamentos está reconocido como derecho fundamental de todo ser humano por la Organización Mundial de la Salud (OMS). Sin embargo, en la actualidad existen una serie de factores que dificultan que los pacientes tengan acceso a medicamentos innovadores que nacen de la investigación biotecnológica.
 - Un ejemplo son los test de diagnóstico in vitro. Su característica diferencial con respecto a otras tecnologías médicas es que, sin estar en contacto directo con el paciente, son capaces de proporcionar información que permite confirmar o descartar la presencia de una patología, y orientar a los especialistas médicos en la selección de la terapia más adecuada para cada paciente. Estos Los test de diagnóstico in vitro permiten, por tanto, la prevención de enfermedades y su tratamiento temprano y personalizado. Como consecuencia, ayudan a reducir la incidencia de algunas patologías o la duración de las estancias hospitalarias, lo que asimismo contribuye a disminuir los costes de los sistemas nacionales de salud²⁸.
 - El procedimiento necesario para acceder al mercado español para test de diagnóstico in vitro es uno de los más complejos a nivel europeo, debido a la falta de información pública y al hecho de que cada Comunidad Autónoma tenga una normativa y capacidad decisoria particular. En otros mercados europeos el acceso es más centralizado y cuenta con una normativa pública más transparente; por lo que desde ASEBIO hemos elaborado una serie de recomendaciones al respecto que estamos haciendo llegar a las Consejerías de Salud de las diferentes CC.AA. Entre ellas: mayor transparencia y claridad en cuanto a los procedimientos de acceso al mercado. Creemos que la creación de una Estrategia Nacional de Medicina de Precisión ayudaría a materializar estas recomendaciones.

- **Contribución al tratamiento personalizado de los pacientes y a la sostenibilidad y eficiencia del Sistema Nacional de Salud, sobre la base de la innovación científica, médica y farmacéutica.**
 - La medicina de precisión y los medicamentos innovadores son una apuesta necesaria de futuro de cara a proporcionar los tratamientos más eficaces para facilitar una atención sanitaria excelente y un sistema sanitario sostenible.
 - Como decíamos anteriormente, diversas sociedades científicas de nuestro país consideran que la implementación de la Medicina de Precisión y el uso de medicamentos innovadores es una obligación ética y política, en la medida en que constituyen un avance indiscutible en la prevención y en el tratamiento de enfermedades. Del mismo modo, las opiniones expertas en la materia también valoran la contribución de esta innovación a la sostenibilidad a largo plazo del Sistema Nacional de Salud en términos de coste-efectividad, al aplicar a cada paciente los tratamientos con mayor probabilidad de éxito.

²⁸ Natàlia Arrabal, Itziar Escudero, Azucena Castro, Arturo López, Marc Masa, María Moreno, Leticia Olavarrieta, Cristina Pérez, Anne Perron, Carlos Rubió, Miquel Tarón, ASEBIO, *La situación actual del acceso al mercado para test de diagnóstico in vitro en España*, ASEBIO, 2017, 5.

- **Poner a nuestro país entre las naciones que tienen la capacidad de desarrollar y aplicar Medicina de Precisión y, por lo tanto, exportar conocimiento y tecnología;** con el objetivo de fomentar un modelo económico a largo plazo, capaz de integrar y desarrollar el tejido industrial necesario para mantener la incorporación de la medicina de precisión a la salud en gran escala.
- **Crear un marco de gobernanza y funcionamiento que involucre a los diferentes agentes del sistema** en torno a un modelo de colaboración, coordinación e integración.
 - Consideramos que todos los actores implicados tienen que estar involucrados y cooperando para la creación de la Estrategia y el desarrollo de la Medicina de Precisión: asociaciones empresariales, sociedades científicas, universidades, asociaciones de pacientes y agentes de la administración (nacional y autonómica).
 - Recientemente, el Consejo Interterritorial de Salud ha aprobado el Plan de Terapias Avanzadas. Es una iniciativa positiva para seguir avanzando en garantizar la equidad y uniformidad de los tratamientos a nivel nacional.
- **La generación de datos y el Big Data.**
 - El Big data y la digitalización pueden ayudar a la prevención de enfermedades, la mejora del diagnóstico y la terapia, la mejora de los resultados de los pacientes, la mejor satisfacción de los pacientes, optimización del uso de los recursos en salud y la reducción de costes.
 - En este contexto, es imperativo que la regulación, tanto legal como ética, de un tema tan complejo como es la confidencialidad de los datos personales, esté garantizada, sin entorpecer la investigación, especialmente en estudios o proyectos que requieren el uso compartido de datos o por investigaciones posteriores que se puedan realizar.
- **Facilitar la información y formación a los pacientes e incorporarlos en la creación de la Estrategia.**
 - Sensibilizar a la población y a los responsables de la toma de decisiones sobre la importancia de la medicina de precisión, en concreto sobre las innovaciones que aportan ventajas terapéuticas para los pacientes, en la actualidad médica y sanitaria.
- **Involucrar a las Sociedades Científicas y a los profesionales sanitarios en la elaboración de la Estrategia,** fomentando su papel de actores de referencia y consenso en la comunidad científica y médica.
- **Fomentar los acuerdos de partenariado público-privados en genómica y medicina de precisión que faciliten el desarrollo de la estructura y marco necesarios para avanzar el conocimiento, generar innovaciones y movilizar recursos que mejoren los resultados en salud de la población.**

Aunque el objetivo prioritario de toda esta generación de conocimiento es su aplicación médica, no se pueden dejar de mencionar otras aplicaciones secundarias pero de trascendencia social y sanitaria, como es la nutrición personalizada, por la que también se está apostando desde las empresas/centros de investigación españoles, y que también podría considerarse dentro de la Estrategia.

Desde ASEBIO consideramos que estos principios y la colaboración de todos los agentes implicados es la llave para desarrollar con éxito la gobernanza, desarrollo y aplicación de la Medicina de Precisión, un enfoque médico, terapéutico y de investigación muy prometedor para el conjunto de la sociedad.

Agradecemos de nuevo a la Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social la oportunidad de participar en esta ponencia, y quedamos a la entera disposición de los Sres. Senadores para cualquier consideración adicional que pudieran requerir.

Madrid, 3 de diciembre de 2018



Ion Arocena Vélez

Director General
ASEBIO



Ana Polanco
Vocal Junta Directiva ASEBIO
Coordinadora Comisión Salud
ASEBIO

BIBLIOGRAFÍA

Academia Europea de Pacientes, “Medicina estratificada y medicina genómica personalizada”, <https://www.eupati.eu/es/medicina-genomica-personalizada/medicina-estratificada-y-medicina-genomica-personalizada-lioxdraft/>.

Asociación Española de Bioempresas, *Informe Asebio 2017* (Asociación Española de Bioempresas, 2018).

Carles Camps, “La Medicina de Precisión como estrategia económica, sanitaria y social”, *Revista Española de Economía de la Salud*, V. 13, nº 3, (julio 2018).

Fundación Instituto Roche, *Propuesta de Recomendaciones para una Estrategia Estatal de Medicina Personalizada de Precisión* (Fundación Instituto Roche, 2017).

IM Médico, "La Biotecnología acapara el 69% del pipeline farmacéutico actual", nº 28 (2018) https://www.immedicohospitalario.es/uploads/2018/10/biotecnologia_acapara_15087_201810_23064657.pdf.

Natàlia Arrabal, Itziar Escudero, Azucena Castro, Arturo López, Marc Masa, María Moreno, Leticia Olavarrieta, Cristina Pérez, Anne Perron, Carlos Rubió, Miquel Tarón, ASEBIO, *La situación actual del acceso al mercado para test de diagnóstico in vitro en España*, (ASEBIO, 2017).

Pilar Garrido, Azucena Aldaz, Miguel Ángel Calleja, Enrique de Álava, María Jesús Lamas, Miguel Martín, Xavier Matías-Guiu, José Palacios, Ruth Vera, "Proposal for the Creation of a National Strategy for Precision Medicine in Cancer: a position statement of SEOM, SEAP and SEFH", *Farmacia Hospitalaria* vol. 41, nº 6 (2017).