



Copatrocine la Ley del Proceso Externo Científico para la Revisión Informada de Terapias (Ley EXPERT) (H.R.1532/S.822)

La Ley Scientific EXPERT formaliza la iniciativa de reuniones sobre el desarrollo de fármacos con enfoque científico liderado externamente (EL-SFDD) en la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA).

Desafíos actuales para la evaluación de terapias para enfermedades poco frecuentes:

- Más del 90% de las enfermedades poco frecuentes no cuentan con un tratamiento aprobado por la FDA, y existen numerosos desafíos y obstáculos en el proceso de aprobación de los tratamientos para estas enfermedades.
- La evaluación de terapias para tratar poblaciones pequeñas y, en algunos casos, muy pequeñas, incluso de un solo paciente, requiere conocimientos altamente especializados combinados con un enfoque coherente en la aplicación de las herramientas de flexibilidad regulatoria autorizadas por el Congreso.
- Las terapias en desarrollo para enfermedades poco frecuentes presentan complejidades únicas, que requieren una asesoría y un apoyo científico excepcionales.
- Los revisores de la FDA a menudo carecen de experiencia en enfermedades poco frecuentes específicas, mientras que los expertos en enfermedades poco frecuentes a menudo tienen conflictos de interés debido a su investigación y participación en ensayos clínicos que les evitan participar en comités asesores de la FDA.

Cómo la Ley Scientific EXPERT aborda los desafíos:

- Este sistema subsana las deficiencias al permitir que científicos y revisores de la FDA compartan su experiencia y conocimientos en un entorno independiente del producto, sin comprometer la integridad del proceso de revisión.
- Proporciona conocimientos especializados adicionales sobre enfermedades poco frecuentes a los expertos en regulación a través de EL-SFDD.
- Permite a los científicos y a los revisores de la FDA compartir su experiencia y conocimientos en un entorno independiente del producto, sin comprometer la integridad del proceso de revisión.
- Establece una estructura de reuniones formalizada para mejorar la colaboración entre expertos médicos, patrocinadores de medicamentos, organizaciones científicas y defensores de los pacientes.
- Las reuniones de EL-SFDD se centrarán en los distintos desafíos que afectan al desarrollo del tratamiento de las enfermedades poco frecuentes, identificar oportunidades científicas para facilitar el desarrollo, debatir nuevos diseños de ensayos clínicos y alinear los criterios de valoración para abordar las necesidades médicas no satisfechas de los pacientes con enfermedades poco frecuentes.

Para copatrocinar la Ley Scientific EXPERT o para cualquier consulta, póngase en contacto con:

Emma Sheffert (Rep. Matsui) en Emma.Sheffert@mail.house.gov, Huntley Campbell (Rep. Bilirakis) en Huntley.Campbell@mail.house.gov, Ruth McDonald (Sen. Klobuchar) en Ruth_Mcdonald@klobuchar.senate.gov, o Seth McCaughan (Sen. Wicker) en Seth_McCaughan@wicker.senate.gov.