



Estudios de Vertex iniciados por investigador Resumen del programa

Nuestra meta

Nuestro estudio iniciado por investigador (Investigator Initiated Studies, IIS) garantiza el apoyo a investigaciones independientes, iniciadas por el investigador, diseñadas para el avance del conocimiento científico de estados patológicos, poblaciones de pacientes y tratamientos médicos, en línea con nuestras áreas de interés clínicas y no clínicas. Trabajamos con destacados investigadores, médicos, expertos en salud pública y otros colaboradores que comparten nuestra visión para transformar las vidas de personas que sufren enfermedades graves, así como las de sus familiares y la sociedad.

Tipos de investigación que puede apoyar

La financiación y/o el apoyo con fármacos pueden estar disponibles para las siguientes categorías de investigación:

- Estudios clínicos con KALYDECO® (ivacaftor), ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor) y tezacaftor/ivacaftor
- Estudios observacionales que apoyen la investigación en la fibrosis quística, p. ej., estudios epidemiológicos y de resultados
- Estudios no clínicos que utilicen compuestos de Vertex para ensayos *in vitro* o modelos *in vivo**

*Las peticiones solo de compuestos para estudios no clínicos deben dirigirse directamente a compoundrequests@vrtx.com (envíe a: compoundrequests@vrtx.com)

Programas de investigación de interés

- Fibrosis quística

Criterios de revisión

Se tendrán en consideración las siguientes áreas durante la revisión de propuestas:

- Disponibilidad del apoyo
- Innovación
- Justificación y rigor científico
- Consideraciones éticas
- Cualificaciones de la Institución y el IP
- Razonabilidad del apoyo
- Posicionamiento respecto a las estrategias de investigación global y desarrollo de Vertex

Para poder ser apto para el apoyo, debe aceptar la total responsabilidad del diseño, la realización y la supervisión de sus propios estudios.

Proceso de envío de propuestas

Puede solicitar el programa IIS utilizando el sistema de solicitudes de Vertex, localizado en:

www.vrtxiisgrants.com

Para la investigación clínica, la solicitud es un proceso de 2 pasos que incluye el envío de una propuesta preliminar del concepto la cual, si es aceptada, irá seguida de un envío de un protocolo más detallado. Las solicitudes no clínicas suelen requerir un envío sencillo.

Proposición de concepto

Una propuesta de concepto es un resumen breve, de alto nivel, de su estudio. No debe pretender ser un extracto o un protocolo completo.

Las solicitudes para investigaciones no clínicas solo necesitan un envío simple de propuesta de concepto. Para investigaciones clínicas, las propuestas de concepto aprobadas requieren posteriormente el envío de un protocolo detallado, el cual será sometido a una segunda ronda de revisiones.

Las revisiones de los conceptos se completan por lo general en 8-12 semanas. Se le notificará la decisión tras la revisión mediante correo electrónico. Una vez aprobado el protocolo, el estudio no podrá comenzar hasta que se haya ejecutado un contrato de subvención aceptable para ambas partes.

Protocolo detallado

Para estudios clínicos, si una propuesta de concepto es aprobada, el siguiente paso es enviar un protocolo completo. Un protocolo es significativamente más detallado y bien desarrollado, y es necesario solo para solicitudes para investigación clínica.

Tenga presente que el envío de una propuesta de protocolo no garantiza eventualmente la financiación o el material.

Las revisiones de los protocolos se completan por lo general en unos 60 días. Se le notificará la decisión tras la revisión mediante correo electrónico. El estudio no podrá comenzar hasta que se haya ejecutado un contrato de subvención aceptable para ambas partes.

Presupuestos de los estudios

Deben enviarse los presupuestos de los estudios a la vez que el concepto y deben incluir todos los gastos esperados del estudio. Se revisará la exactitud de todos los presupuestos, así como su ajuste con el verdadero valor de mercado.

Los solicitantes para estudios no clínicos deben enviar un presupuesto completo del estudio junto con el concepto. Estos presupuestos deben incluir suministros del estudio, análisis estadísticos, gastos de animales y cualquier otro gasto único. Deben incluirse los gastos generales de la Institución.

Los solicitantes de estudios clínicos deben enviar una estimación detallada del presupuesto del estudio junto con el concepto. Si se aprueba su propuesta de concepto clínico, deberá enviar entonces un presupuesto completo con partida(s) presupuestaria(s). Asegúrese de incluir cualquier gasto de puesta en marcha, salario del personal de apoyo, gastos de los pacientes, tasas de laboratorio, y cualquier otro requisito. En un esfuerzo por garantizar que esto se lleva a cabo de manera eficiente, le recomendamos que comience con la plantilla de presupuestos que se proporciona en la parte izquierda de la página web de envío de protocolos y la modifique para reflejar sus actividades relacionadas con el protocolo y costes institucionales.

Al enviar su presupuesto, usted certifica que cualquier porcentaje de gasto general indicado es consistente con sus directrices institucionales. Tenga en cuenta que algunos gastos, p. ej., tasas del Comité de Ética de Investigación Clínica (CEIC), gastos de animales, etc., se consideran como gastos indirectos del estudio y no están sujetos a los gastos generales institucionales.

Está disponible información adicional sobre presupuestos para IIS en el documento Directrices para presupuestos de IIS (IIS Budget Guidelines) en el portal de IIS (vrtxiisgrants.com).

Proceso de revisión y contratación

Si se aprueba una propuesta de concepto no clínico, Vertex se pondrá en contacto con el departamento legal o la oficina de contratación que haya incluido en su solicitud para comenzar a negociar un contrato de subvención. Tenga en cuenta que el estudio no podrá comenzar hasta que se haya ejecutado un contrato de subvención aceptable para ambas partes.

Si se aprueba una propuesta de concepto clínico, se le indicará mediante correo electrónico que acceda al sitio web de Vertex IIS y envíe un protocolo completo. El protocolo será sometido entonces a un segundo ciclo de revisiones. Si el protocolo es finalmente aprobado por el comité de revisiones del IIS, Vertex se pondrá en contacto con el departamento legal o la oficina de contratación que ha incluido en su solicitud para comenzar a negociar un contrato de subvención. Tenga en cuenta que el estudio no podrá comenzar hasta que se haya ejecutado un contrato de subvención aceptable para ambas partes.

El contrato de la investigación cubrirá aspectos tales como responsabilidades reguladoras, requisitos de notificación de seguridad, indemnizaciones, propiedad intelectual y publicaciones.

Requisitos para el inicio

Si se aprueba su concepto no clínico, Vertex solicitará un contrato de investigación de ejecución completa y documentación de la aprobación de los

Comités institucionales de cuidado y uso de animales (IUCAC, Institutional Animal Care and Use), si corresponde, antes del inicio del estudio.

Si se aprueba su protocolo clínico, Vertex solicitará documentación de la aprobación del CEIC, una copia del protocolo final aprobado por el CEIC, confirmación de la aprobación por las autoridades reguladoras (si procede), y un contrato de subvención totalmente ejecutado antes de iniciar el estudio.

Responsabilidades reguladoras (Investigación clínica)

Como promotor del estudio, debe garantizar que el estudio se lleva a cabo de acuerdo con todos los requisitos reguladores aplicables, incluyendo el cumplimiento con las directrices de la Conferencia Internacional sobre Armonización (International Conference on Harmonization, ICH) y de Buena Práctica Clínica (BPC). Debe asumir todas las responsabilidades reguladoras incluyendo, entre otras, las aprobaciones del CEIC, las aprobaciones de las autoridades reguladoras y cualquiera obligación de notificación a las autoridades reguladoras.

Si un estudio usa un producto de una manera no conforme a la aprobada en la ficha técnica del producto, usted, como promotor del estudio, debe presentar una solicitud ante la autoridad reguladora relevante, p. ej., una solicitud de producto en fase de investigación clínica (PEI) a la FDA o una solicitud de ensayo clínico (SEC) a Health Canada. Vertex proporcionará la documentación de apoyo necesaria para la solicitud de PEI/SEC en forma de carta de referencia cruzada.

Actualizaciones del estudio

Se requerirá mediante contrato a todos los investigadores el envío de actualizaciones trimestrales de sus progresos. Para ello será necesario que el investigador describa, de modo específico y cuantificable, el estado actual del protocolo y notifique cualquier publicación programada, aprobaciones actualizadas del estudio o enmiendas propuestas del estudio.

Enmiendas del protocolo

Todas las enmiendas de protocolos de estudios deben enviarse y ser aprobadas por Vertex antes de su envío al CEIC o a las autoridades reguladoras competentes. La documentación del CEIC y de las aprobaciones reguladoras debe ser enviada a Vertex.

Requisitos de las notificaciones de seguridad (Investigaciones clínicas)

Si su estudio implica el uso de un producto de Vertex, se le pedirá que cumpla los requisitos de Vertex para las notificaciones de seguridad.

Debe notificar cualquier acontecimiento adverso grave (AAG) a Vertex dentro de las 24 horas siguientes a tener conocimiento del mismo. Los AAG pueden notificarse utilizando un formulario de notificación de AAG proporcionado por Vertex u otro formato de notificación aprobado por Vertex.

Los informes de AAG se enviarán al departamento de seguridad del paciente de Vertex Global (Vertex Global Patient Safety) a:

globalpatientsafety@vrtx.com

Además, debe notificarse a Vertex Global Patient Safety simultáneamente sobre cualquier informe agregado de seguridad, p. ej., un informe anual enviado a cualquier autoridad sanitaria o reguladora.

Asimismo, se expondrán todos los requisitos de las notificaciones de seguridad en el contrato entre Vertex y su institución. La notificación a Vertex no le exime de sus obligaciones de notificación a su CEIC o a autoridades reguladoras. Vertex no notificará AA/AAG a su autoridad reguladora competente en nombre de usted.

Información sobre pagos

Los pagos están vinculados a la consecución de hitos en el estudio, que se detallan en el contrato de subvención. Con el fin de recibir un pago asociado con un hito en particular, debe enviar una factura a nuestro departamento de tramitación de pagos pendientes. Las facturas pueden enviarse por correo electrónico a:

Accounts_Payable@vrtx.com
y cc: vrtx_iisgrants@vrtx.com

Suministro de fármacos

Vertex suministrará el fármaco del estudio de acuerdo con los términos del contrato de subvención. El fármaco del estudio se usará únicamente en el estudio y no podrá ser puesto a disposición de otras partes. El fármaco sobrante en el momento en que el estudio se haya completado deberá ser destruido de acuerdo con la política de la institución y deberá proporcionarse a Vertex la documentación de su destrucción.

Los envíos de material no clínico se harán tras la recepción de un contrato de subvención ejecutado por completo y de acuerdo con el calendario acordado.

Para estudios clínicos, a no ser que se especifique de otra manera, el fármaco del estudio será suministrado en envases comerciales aprobados. Cualquier etiquetado específico del estudio es responsabilidad de usted, como promotor del estudio. El almacenamiento seguro, el recuento del fármaco, etc., son también responsabilidad de usted como promotor del estudio.

El envío inicial del fármaco clínico se hará tras la recepción de un Contrato de subvención completamente ejecutado, la aprobación del CEIC, una copia del protocolo aprobado por el CEIC, documentación de la recepción de PEI/SEC (si procede) y la verificación de la licencia de farmacia.

Se realizarán envíos adicionales del fármaco clínico dependiendo de la inclusión de los sujetos. Podrá solicitar envíos adicionales mediante solicitud on line y el sitio web de gestión del estudio.

Requisitos de liquidación

Vertex requiere un informe escrito final documentando los resultados del estudio a la conclusión de cada estudio iniciado por investigador. Los detalles de este requisito se describirán en el contrato de subvención. A la finalización del estudio, será también necesario proporcionar a Vertex una reconciliación financiera de los fondos proporcionados y la documentación de la destrucción de cualquier fármaco del estudio que haya sobrado.

Publicaciones

Vertex se compromete a la transparencia de los datos del estudio y promoverá la publicación de todos los resultados del estudio. Por ello, esperamos que todos los investigadores revisen las recomendaciones descritas por el Comité Internacional de Directores de Revistas Médicas y cumplan con sus requisitos de registro y publicación, los cuales pueden encontrarse en: <http://www.icmje.org> (<http://www.icmje.org/>) / (<http://www.icmje.org/>)

Como se comentó antes, pedimos en nuestros contratos que los manuscritos, extractos y presentaciones sean enviadas en primer lugar a Vertex, antes de su envío para presentación, para una revisión de cortesía y para permitir la protección de los derechos de propiedad intelectual.

Registro de los estudios en sitios web públicos

Vertex anima a los investigadores, o a su institución, a publicar los estudios pertinentes en la base de datos de la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (Food and Drug Administration, FDA), ClinicalTrials.gov (www.ClinicalTrials.gov) o en el sitio web de registro de ensayos de su país.

Información financiera

Vertex puede divulgar públicamente la financiación asociada al apoyo de IIS.

Ayuda con la solicitud

Para preguntas relacionadas con el programa Vertex IIS, póngase en contacto con: vrtx_iisgrants@vrtx.com.