

Inteligencia Artificial en el desarrollo de fármacos: retos y oportunidades para su uso responsable

Dr. Jorge Arturo Hernández Valencia
Dr. Martiniano Bello Ramírez

Laboratorio de Diseño y Desarrollo de Nuevos Fármacos e Innovación Biotecnológica
Escuela Superior de Medicina del Instituto Politécnico Nacional

Abstract

Drug development is a lengthy process involving high costs and a high failure rate. Currently, the most widely used method is one based on experience and scientific literature. However, there is a large amount of healthcare data, but most of it is fragmented or isolated, and incorporating it could increase the success rates of clinical trials. Artificial Intelligence (AI) can accelerate this process with its ability to quickly analyze and integrate large amounts of data, delivering more accurate results. Furthermore, it is essential to address ethical and legal considerations when incorporating AI technologies into clinical trials. To this end, policies and safety measures are emerging for their responsible use in medical attention and to ensure safe and effective implementation.

Keywords: Artificial Intelligence, Drug development, ethics, data analysis

Resumen

El desarrollo de fármacos es un proceso largo que implica altos costos y una elevada tasa de fracaso. Actualmente, el método más utilizado se basa en la experiencia y la literatura científica. Sin embargo, existe una gran cantidad de datos sanitarios, pero la mayoría están fragmentados o aislados, y su integración podría aumentar las tasas de éxito de los ensayos clínicos. La Inteligencia Artificial (IA) puede acelerar este proceso gracias a su capacidad para analizar e integrar rápidamente grandes cantidades de datos, lo que permite obtener resultados más precisos. Además, es fundamental abordar las consideraciones éticas y legales al incorporar tecnologías de IA en los ensayos clínicos. Con este fin, están surgiendo políticas y medidas de seguridad para su uso responsable en la

atención médica y para garantizar una implementación segura y eficaz.

Palabras clave: Inteligencia Artificial, Desarrollo de fármacos, Ética, Análisis de datos

Introducción

En estos tiempos en que la Inteligencia Artificial (IA) está impactando de manera profunda en nuestra sociedad, en cómo vemos y percibimos el mundo, ya que nos beneficia en la optimización de tareas y procesos complejos y en el avance en áreas como la educación, la investigación científica y la medicina es imperante conocer las oportunidades, desafíos y los riesgos éticos y sociales de su uso.

Ante toda esta fuerza transformadora e innovadora de la IA y además de su uso en la edición de fotos y videos que vemos a diario en nuestras redes sociales, alguna vez te has preguntado, ¿Cómo puede ayudar la IA en la medicina con el desarrollo de fármacos que son utilizados para el tratamiento de diversas enfermedades humanas y cómo usarla de manera responsable? En este breve artículo lo exploraremos, pero antes es necesario saber que, actualmente, el desarrollo de fármacos sigue siendo arriesgado, con un coste medio de comercialización de hasta 1.300 millones de dólares y una baja probabilidad de éxito (Mullard, 2020). El método que más se usa es el basado en la experiencia de científicos, médicos y farmacólogos, apoyado en gran medida en la literatura científica existente y en las vías biológicas conocidas. Si bien este enfoque sigue desempeñando un papel fundamental, se hace cada vez más hincapié en aprovechar la enorme cantidad de datos sanitarios existentes en el mundo.

Incorporar datos del mundo real (DMR) procedentes de historiales clínicos electrónicos, registros de pacientes y dispositivos portátiles en la investigación clínica y en el desarrollo de fármacos tiene el potencial de reducir el riesgo de fracaso al optimizar la toma de decisiones, mejorar los resultados de los pacientes y aumentar las tasas de éxito de los ensayos clínicos. Para el lanzamiento exitoso de nuevos fármacos, los investigadores deben poder acceder y agregar estos datos, y la realidad es que gran parte de ellos permanece fragmentado y aislado en sistemas dispares (Zhao, 2022).

Aquí es donde entra la Inteligencia Artificial

A medida que aumenta la expectativa de vida y las enfermedades crónicas se vuelven más comunes, encontrar tratamientos eficaces y seguros es un desafío global. La IA puede acelerar este proceso. Con su capacidad para analizar e integrar grandes cantidades de datos dispares con rapidez y precisión, identificar patrones y realizar predicciones fiables, se abre una gran oportunidad en las aplicaciones de la IA en la investigación clínica y el desarrollo de fármacos. Hoy en día, las empresas farmacéuticas pueden usar la IA para minimizar los riesgos en la fase clínica al comprender a las poblaciones de pacientes, crear mejores protocolos de ensayos clínicos, predecir y evitar posibles problemas, identificar mejor a los pacientes para su inscripción y mucho más (Blanco-Gonzalez, 2023) pero plantea también interrogantes éticos y regulatorios que deben atenderse.

En 2024, la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA) aprobó 50 nuevos medicamentos y 55 en 2023, la segunda

cifra más alta en los últimos 30 años (FDA, 2024). Además, más de 6000 productos se encuentran en desarrollo activo en todas las fases. Con estas cifras, el panorama parece prometedor.

Sin embargo, los obstáculos actuales en el desarrollo de fármacos revelan una situación algo más sombría, por ejemplo, el 85% de los ensayos clínicos experimenta algún tipo de retraso, lo que supone un alto costo, además que un alto porcentaje de los pacientes abandonan los ensayos de fase III. Muchas empresas tendrán dificultades para completar el proceso de inscripción de participantes debido a: un alto volumen de ensayos, medicamentos y criterios de elegibilidad más específicos y, diversidad étnica, lo que significa que solo unos pocos participantes calificarán (Idnay, 2023).

Todos los desafíos mencionados plantean preguntas cruciales para las empresas que desarrollan un nuevo fármaco y no existen respuestas fáciles, por ejemplo:

- ¿Cómo cumplen las empresas los criterios ideales para un ensayo clínico y, al mismo tiempo, descubren si esos participantes existen?
- ¿Pueden las empresas identificar a los participantes que podrían abandonar el ensayo?
- En cuanto a la eficacia y la seguridad, ¿qué participantes tienen más probabilidades de responder al tratamiento?
- ¿Cómo pueden las empresas inscribir a participantes más diversos?
- ¿Se pueden anticipar los eventos adversos?

La buena noticia es que la IA

puede ayudar significativamente a las empresas farmacéuticas a abordar estas preguntas mediante el uso de análisis de datos avanzados, modelos predictivos, aprendizaje automático y técnicas de

aprendizaje profundo que mejoran la seguridad y la eficacia al ofrecer resultados más precisos y basados en datos (Figura 1).

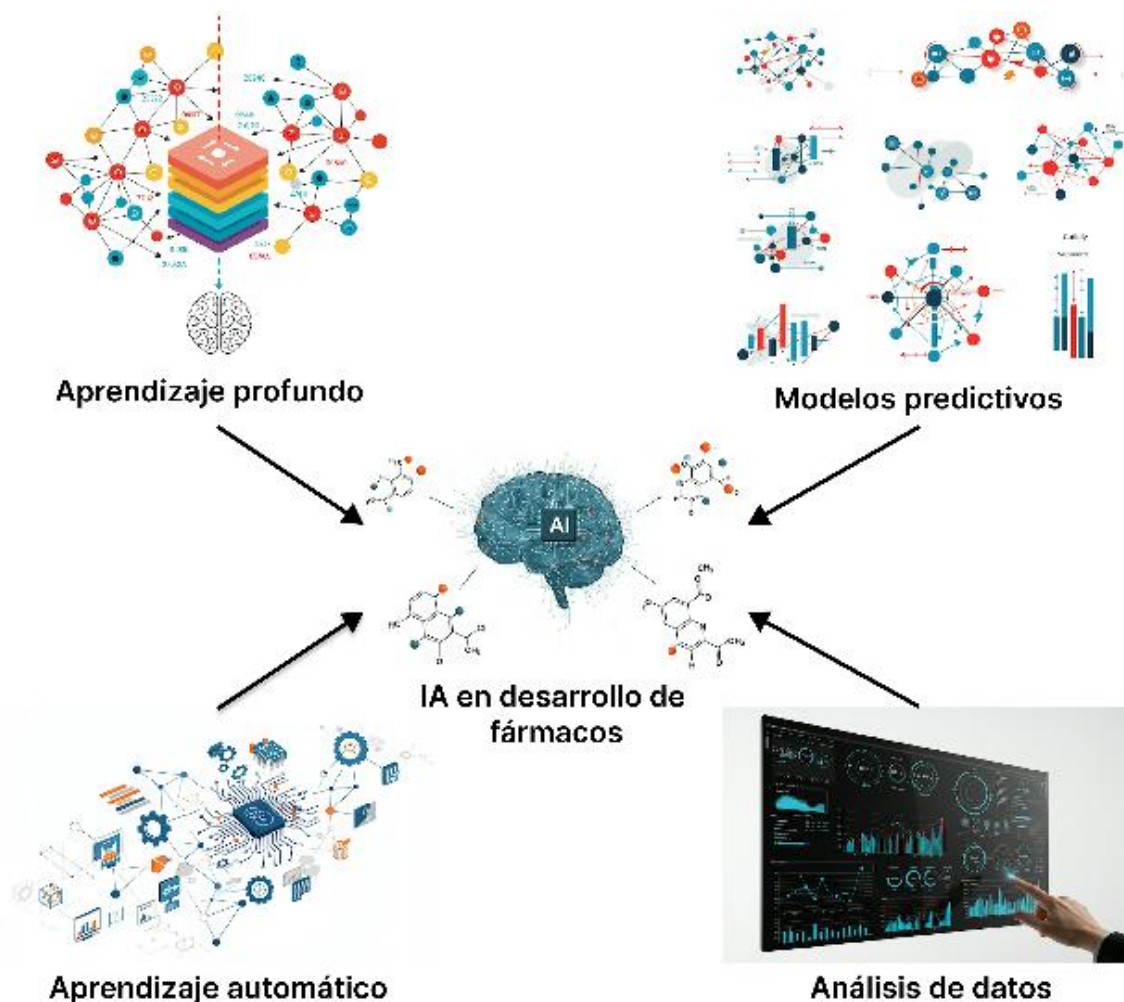


Figura 1: Ejemplos de herramientas de IA aplicadas en la toma de decisiones de las empresas farmacéuticas, que impulsan la innovación y aceleran el desarrollo de fármacos. Elaboración propia.

Datos en Ciencias de la Vida

Los ensayos controlados aleatorios (ECA) siguen siendo el estándar de oro para el desarrollo de fármacos, con entornos muy controlados y datos recopilados sistemáticamente y completos. En los ECA, el sesgo se reduce al ser un experimento adecuado para el propósito, y la calidad es mejor que la de los DMR. Estos ensayos están diseñados para minimizar las variables y garantizar que los

efectos del tratamiento sean aislados, proporcionando una medida clara de su potencial terapéutico. El desafío de los ECA es que, lamentablemente, la población del ensayo no suele ser representativa de la población general.

Los DMR tienen un gran potencial para transformar las ciencias de la vida al aumentar significativamente los datos de los ensayos clínicos. Pueden ayudar a agilizar el proceso de aprobación, acelerar el tiempo de comercialización

de nuevas terapias y permitir que los organismos reguladores evalúen el rendimiento de los fármacos más allá de la fase de ensayo. Los DMR puede ayudar a subsanar la falta de datos en ensayos clínicos y proporcionar una visión más realista y centrada en el paciente sobre cómo funcionan los tratamientos en la vida cotidiana, en entornos prácticos tras su aprobación, donde las poblaciones de pacientes son más diversas y menos controladas. En definitiva, los DMR puede contribuir a una mejor toma de decisiones y a la seguridad a largo plazo, mejorando así los resultados de los pacientes.

conlleva desafíos que deben abordarse para alcanzar su máximo potencial. Garantizar la precisión y la calidad de los datos es fundamental, ya que las inconsistencias, la falta de datos y la variación de formatos pueden generar información errónea si no se gestionan adecuadamente. Además, es fundamental abordar cuidadosamente las consideraciones éticas y legales (Figura 2), como el consentimiento del paciente y la privacidad de los datos, para mantener la confianza y cumplir con normativas como, en el caso de México, la Ley Federal de Protección de Datos Personales y la Ley General de Salud.

Aprovechar los DMR de forma eficaz



Figura 2: Consideraciones éticas y legales que ayudan a abordar los desafíos asociados con el uso de la IA en la atención médica. Diagrama adaptado de Naik, 2022.

Al incorporar tecnologías de IA, los investigadores pueden obtener información significativa y profunda y descubrir nuevas posibilidades de análisis, así una forma mucho más avanzada e impactante de utilizar los DMR en comparación con los métodos

tradicionales. La IA puede analizar grandes volúmenes de datos, ya sean organizados o no, provenientes de múltiples fuentes, lo que permite una clasificación más precisa de los pacientes, una identificación más rápida de quienes responden al tratamiento y un seguimiento en tiempo real en poblaciones más amplias, también ayuda a automatizar los procesos de limpieza e integración de datos, mejorando su calidad y reduciendo el error humano. A medida que el uso responsable de los DMR adquiere cada vez mayor importancia en las ciencias de la vida, la colaboración entre la industria, los organismos reguladores y los proveedores de tecnología será esencial para establecer estándares y marcos que garanticen el uso responsable de estos valiosos datos (Naik, 2022).

IA en acción: Casos de uso en el desarrollo de fármacos

Las aplicaciones de la IA están transformando la forma en que la industria farmacéutica innova. En esta sección exploraremos dos casos prácticos de la IA en el desarrollo de fármacos, demostrando su potencial para revolucionar la investigación y el descubrimiento clínicos.

Optimización de resultados de los ensayos clínicos mediante aprendizaje profundo y el modelado predictivo.

La aplicación de herramientas transformadoras del aprendizaje profundo (como las redes neuronales artificiales diseñadas para procesar datos y clasificar pacientes, pronosticar eventos adversos y personalizar planes de tratamiento) y del modelado predictivo (como el análisis de supervivencia para predecir los resultados de los ensayos, mejorar la eficiencia y reducir las tasas de fracaso)

han contribuido a impulsar el papel de la IA en la atención médica personalizada y a mejorar el diseño y las tasas de éxito de los ensayos clínicos.

Dichas herramientas hacen uso de los DMR, como las notas de los pacientes y los protocolos de los ensayos, así como de datos demográficos estructurados de pacientes y datos genómicos con la finalidad de optimizar los flujos de trabajo de los ensayos clínicos, mejorar los resultados centrados en el paciente y reducir los costos asociados a las ineficiencias de los ensayos (Anuyah, 2024).

Herramienta basada en IA para mejorar la precisión de los medicamentos en pacientes con cáncer.

Investigadores del Instituto Nacional de la Salud (NIH, por sus siglas en inglés) de Estados Unidos desarrollaron una herramienta de IA que utiliza datos de células individuales dentro de un tumor para predecir si un paciente responderá a un fármaco específico.

Los métodos actuales para la compatibilidad de pacientes con fármacos se basan en la secuenciación masiva del ADN y el ARN que promedia todas las células de una muestra tumoral. Sin embargo, los tumores contienen más de un tipo de célula y pueden tener muchas subpoblaciones celulares diferentes conocidas como clonas, las cuales pueden responder de forma diferente a fármacos específicos, lo que podría explicar por qué algunos pacientes no responden a ciertos fármacos o desarrollan resistencia a ellos.

Una tecnología más reciente, conocida como secuenciación de ARN unicelular, proporciona datos con una resolución

mucho mayor, incluso a nivel de célula única. Este enfoque para identificar y dirigirse a clonas individuales puede generar respuestas farmacológicas más duraderas. En el estudio analizaron si era posible utilizar una técnica de aprendizaje automático denominada *aprendizaje por transferencia*, para entrenar un modelo de IA con el fin de predecir las respuestas a fármacos utilizando datos masivos de secuenciación de ARN ampliamente disponibles, y luego ajustar dicho modelo utilizando datos de secuenciación de ARN de células individuales. Utilizando

este enfoque con datos publicados de líneas celulares procedentes de análisis de fármacos a gran escala, crearon modelos de IA para 44 fármacos oncológicos aprobados por la FDA. Los modelos de IA predijeron con precisión cómo responderían las células individuales tanto a fármacos individuales como a combinaciones de fármacos (Figura 3). Sin embargo, advirtieron que la precisión de esta técnica mejorará si los datos de secuenciación de ARN unicelular se hacen más accesibles (Sinha, 2024).

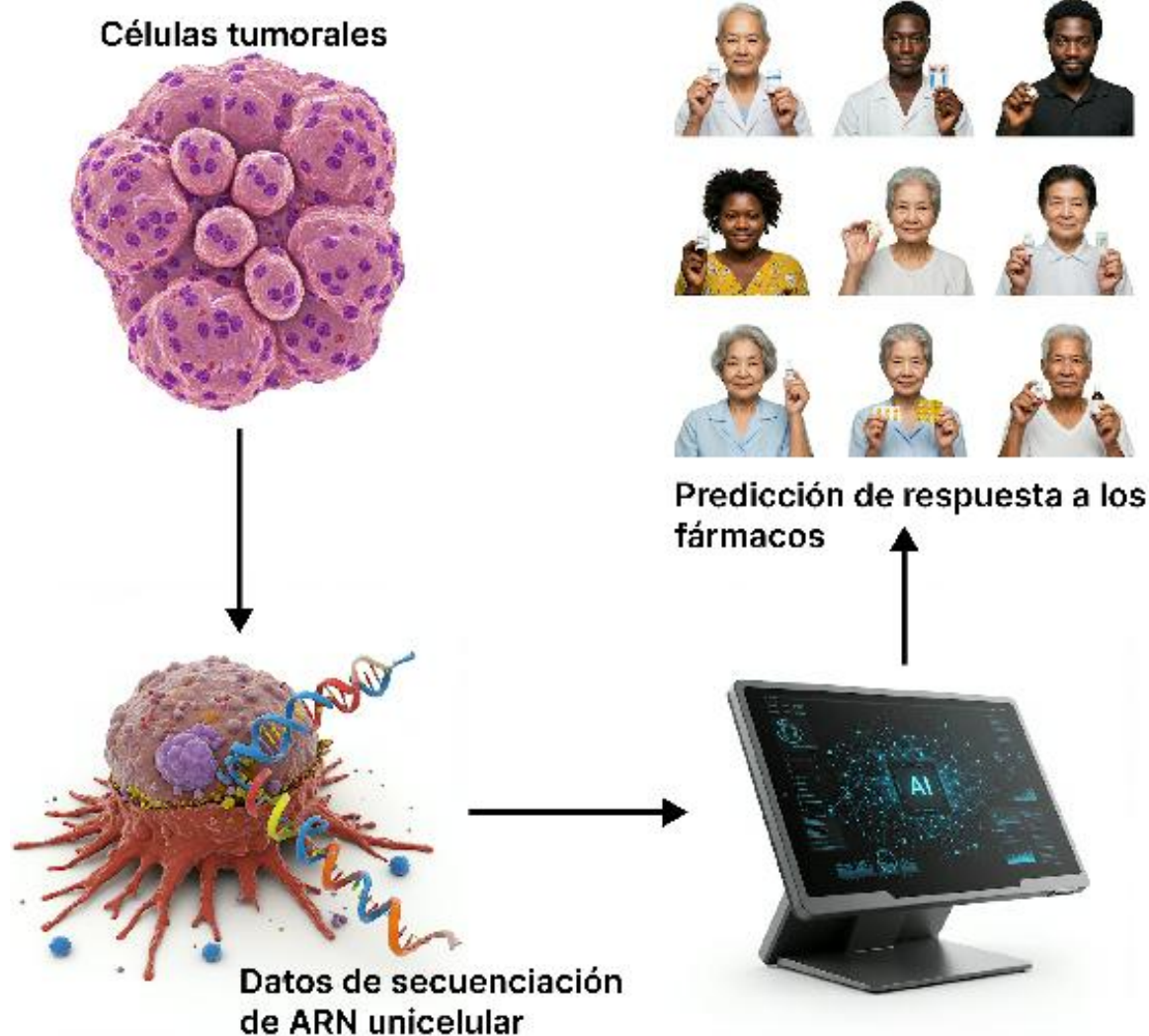


Figura 3: Los datos de expresión de ARN de células tumorales individuales fueron utilizados para crear un modelo de IA para predecir la respuesta a fármacos. Diagrama adaptado de National Cancer Institute (NCI), 2024.

Dirigir la IA de forma responsable

Tanto en los dos casos anteriormente descritos como en la investigación científica, las medidas de seguridad para el uso de la IA son esenciales para garantizar una implementación segura, ética y eficaz. Están surgiendo numerosas políticas para la IA que varían considerablemente según el país. Sin embargo, por parte de organizaciones políticas, reguladoras y profesionales, incluidas la FDA, Health Canada, la Organización Mundial de la Salud (OMS) y la Asociación Estadounidense de Informática Médica (AMIA) se han propuesto 8 principios rectores para el desarrollo responsable de herramientas de IA para la atención sanitaria (Badal, 2023) los cuales son:

Principio 1: Las herramientas de IA deben tener como objetivo aliviar las disparidades sanitarias existentes.

Principio 2: Los resultados de las herramientas de IA deben ser clínicamente significativos.

Principio 3: Las herramientas de IA deben tener como objetivo reducir el sobrediagnóstico y el sobretratamiento.

Principio 4: Las herramientas de IA deben aspirar a tener un alto valor en la atención médica y evitar desviar recursos de áreas de mayor prioridad.

Principio 5: Las herramientas de IA deben considerar los factores biográficos de la salud.

Principio 6: Las herramientas de IA deben diseñarse para adaptarse fácilmente a la población local.

Principio 7: Las herramientas de IA deben promover un sistema de atención sanitaria que aprenda.

Principio 8: Las herramientas de IA deben facilitar la toma de decisiones compartida.

Estos 8 principios, elevarán el estándar al que se someten las herramientas de IA. No se consideran estos principios como opcionales, sino cruciales y necesarios para hacer realidad los beneficios de la IA en la atención médica.

Conclusión

Es evidente que la IA desempeña un papel importante en la atención médica moderna; su integración en la investigación clínica y el desarrollo de fármacos ofrece oportunidades sin precedentes para revolucionar la prestación de servicios de salud. Al aprovechar la capacidad de la IA para analizar grandes conjuntos de datos, optimizar los procesos de ensayos clínicos y mejorar la precisión predictiva, los investigadores y empresas pueden acelerar el descubrimiento de fármacos y mejorar los resultados de los pacientes, mientras que la validación clínica garantiza que los modelos de IA funcionen con precisión en entornos reales. El reto no es solo que estas tecnologías estén disponibles para quienes las necesiten, sino que tengan unas directrices claras que fomenten la confianza, la innovación y el uso responsable, ético e inclusivo de la IA en la atención médica personalizada orientada a mejorar la salud de todas las personas.

Referencias

- [1] Anuyah, S., K Singh, M., Nyavor, H. (2024). Advancing clinical trial outcomes using deep learning and predictive modelling: bridging precision medicine and patient-centered care. *World Journal of Advanced Research and Reviews*, 24(03), 001–025.

- <https://doi.org/10.30574/wjarr.2024.24.3.3671>
- [2] Badal, K., Lee, C. M., & Esserman, L. J. (2023). Guiding principles for the responsible development of artificial intelligence tools for healthcare. *Commun Med (Lond)*, 3(1), 47. <https://doi.org/10.1038/s43856-023-00279-9>
- [3] Blanco-Gonzalez, A., Cabezon, A., Seco-Gonzalez, A., Conde-Torres, D., Antelo-Riveiro, P., Pineiro, A., & Garcia-Fandino, R. (2023). The Role of AI in Drug Discovery: Challenges, Opportunities, and Strategies. *Pharmaceuticals (Basel)*, 16(6). <https://doi.org/10.3390/ph16060891>
- [4] FDA (2024). "Novel Drug Approvals for 2024". Recuperado el 15 de mayo de 2025, de <https://www.fda.gov/drugs/novel-drug-approvals-fda/novel-drug-approvals-2024>
- [5] Idnay, B., Butler, A., Fang, *et al.* (2023). Principal Investigators' Perceptions on Factors Associated with Successful Recruitment in Clinical Trials. *AMIA Jt Summits Transl Sci Proc*, 2023, 281-290.
- [6] Mullard, A. (2020). \$1.3 billion per drug? *Nat Rev Drug Discov*, 19(4), 226. <https://doi.org/10.1038/d41573-020-00043-x>
- [7] Naik, N., Hameed, B. M. Z., *et al.* (2022). Legal and Ethical Consideration in Artificial Intelligence in Healthcare: Who Takes Responsibility? *Front Surg*, 9, 862322. <https://doi.org/10.3389/fsurg.2022.862322>
- [8] NCI (2024). NIH researchers develop AI tool with potential to more precisely match cancer drugs to patients. Recuperado el 20 de mayo de 2025, de <https://www.cancer.gov/news-events/press-releases/2024/ai-tool-matches-cancer-drugs-to-patients>
- [9] Sinha, S., Vegesna, R., *et al.* (2024). PERCEPTION predicts patient response and resistance to treatment using single-cell transcriptomics of their tumors. *Nat Cancer*, 5(6), 938-952. <https://doi.org/10.1038/s43018-024-00756-7>
- [10] Zhao, X., Iqbal, S., Valdes, I. L., Dresser, M., & Girish, S. (2022). Integrating real-world data to accelerate and guide drug development: A clinical pharmacology perspective. *Clin Transl Sci*, 15(10), 2293-2302. <https://doi.org/10.1111/cts.13379>