INTELIGENCIA ARTIFICIAL EN INVESTIGACION MEDICA:

ACELERANDO EL DESCUBRIMIENTO DE FÁRMACOS

Dra. Guadalupe Castillo Abrego Fundadora y CEO Drlpita.ai

MIT USA, ARTIFICIAL INTELIGENCE IN HEALTH CARE UCAM ESPAÑA, DATA SCIENCE MASTER

SECRETARIA COMITE DE INTELIGENCIA ARTIFICIAL Y BIG DATA FEDERACION PANAMERICANA E IBERICA DE MEDICINA CRITICA Y TERAPIA INTENSIVA . FEPIMCTI



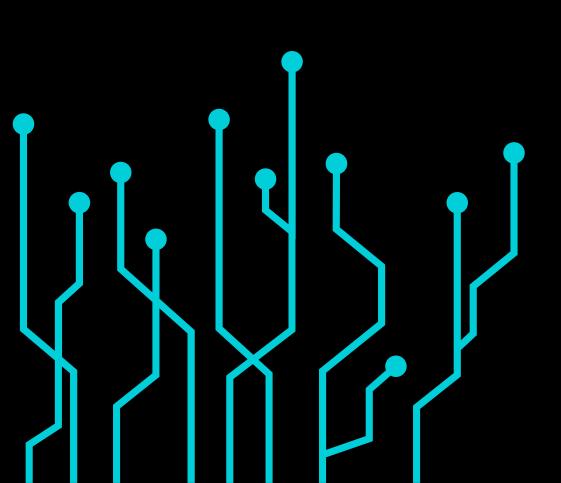






Conflicto de Interes

Fundadora y CEO drlpita.ai

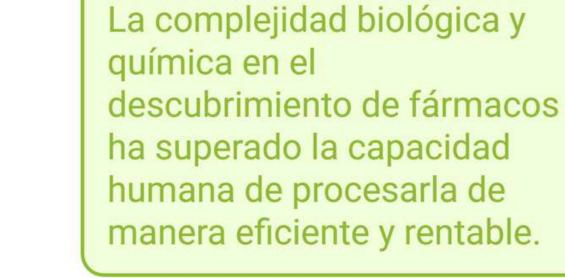


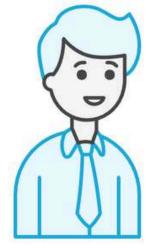


Biologia Molecular Moderna, versus el Actual Modelo económico de la produccion de nuevos fármacos, lo cual en este momento es insostenible.



¿Cuál es el problema?









Drug development cost pharma \$2.2B per asset in 2024 as GLP-1s drive financial return: Deloitte

The average cost for a Big Pharma to develop a drug in 2024 was \$2.23 billion, up from \$2.12 billion the year before. | The average cost for a Big Pharma to develop a drug in 2024 was \$2.23 billion, up from \$2.12 billi...

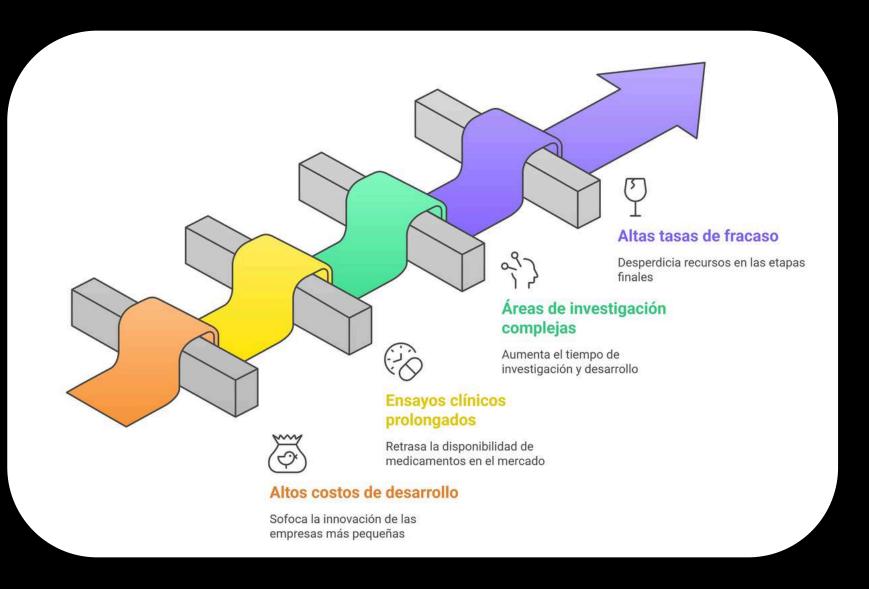
Fierce Biotech Mar 25

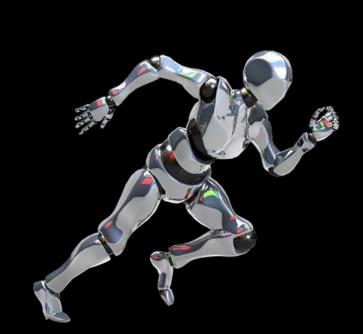
Metrica Económica 2024

\$2.23
MILMILLONES

COSTO PROMEDIO DE DESARROLLO Y COMERCIALIZACIÓN

- Penaliza EMPRESAS MAS PEQUEÑAS
- desalienta la investigacion en ENFERMEDADES RARAS
- concentra el poder en GIGANTES FARMACÉUTICOS











Biotech v Research Medtech v CRO Special Reports Trending v Fierce 50 v

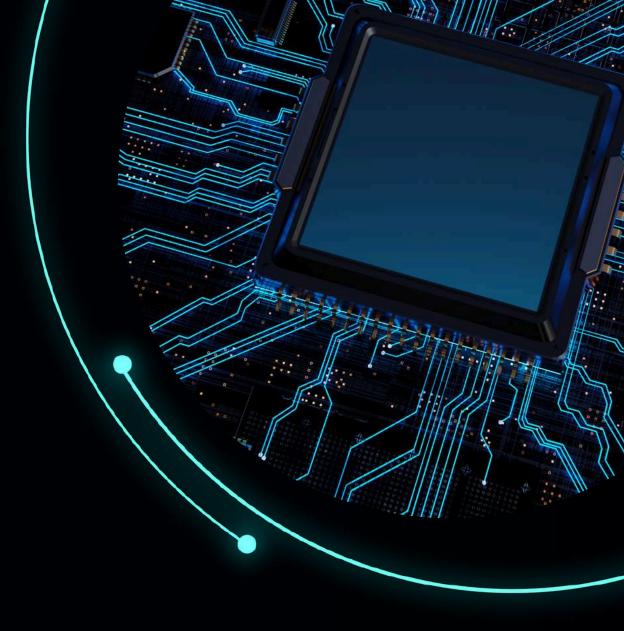
BIOTECH in

- Drug development cost pharma
- \$2.2B per asset in 2024 as GLP-1s
- drive financial return: Deloitte

By Gabrielle Masson · Mar 25, 2025 12:01am

drug development







LA CAÍDA DE UN GIGANTE

La historia de 20 años que redefine el futuro de la innovación farmacéutica

Acto I: La Época Dorada (Principios de los 2000)

Hace 20 años, el ROI superaba el **10**%. El modelo funcionaba. ¿Por qué?

Fruta al Alcance

Enfoque en enfermedades prevalentes con mecanismos biológicos más sencillos (colesterol, depresión).

Costos Menores

El costo de I+D era inferior a \$1 mil millones, menos de la mitad que hoy.

Regulación

Sencilla

Los requisitos para la aprobación de fármacos eran menos complejos y costosos.

Menos

Competencia

Ser el primero en una nueva clase terapéutica garantizaba años de dominio del mercado.













El ROI se desplomó desde el 10.1% hasta un mínimo histórico de **1.2%**. El modelo tradicional colapsó bajo una tormenta perfecta.

Complejidad Científica

Se agotaron los objetivos fáciles. El foco cambió a enfermedades complejas (Alzheimer, cánceres raros) con altas tasas de fracaso.

Costos

Exponenciales

El costo de I+D se disparó a más de \$2.2 mil millones. Los ensayos clínicos se hicieron más largos, grandes y caros.

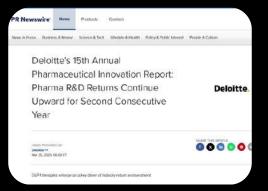
Escrutinio Regulatorio

Las agencias (FDA, EMA) aumentaron drásticamente sus exigencias de datos, añadiendo años y millones al proceso.

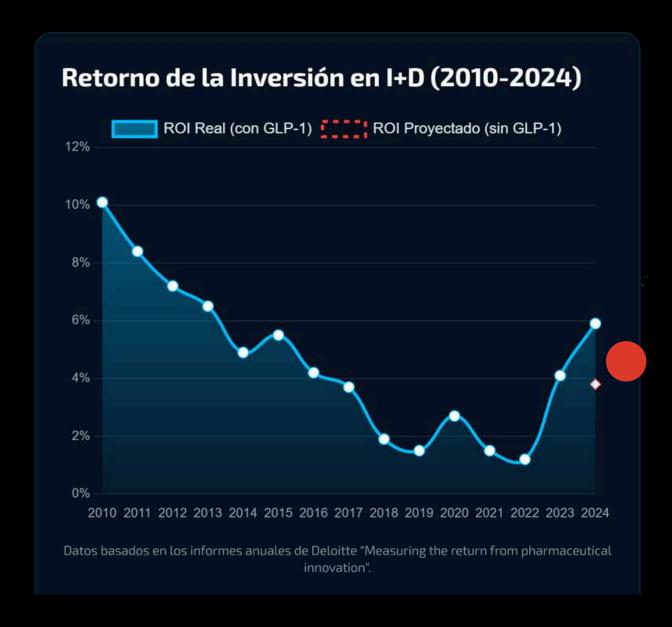
Mercado Saturado

Para ser exitoso, un nuevo fármaco debía ser significativamente mejor que los tratamientos existentes, un listón cada vez más alto y costoso.

LA PARADOJA DEL ROI FARMACÉUTICO



15 Años de Desafíos y una Falsa Recuperación



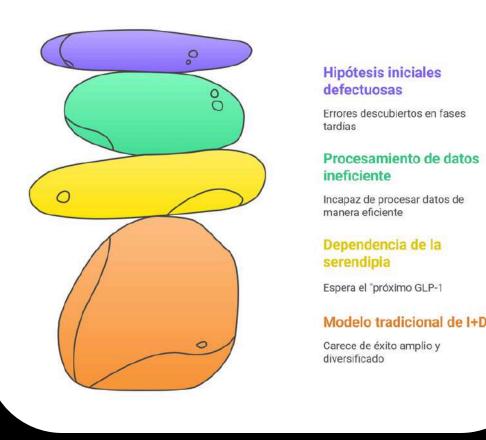
El Fenómeno "Blockbuster" GLP-1

La recuperación reciente del ROI (de 1.2% a 5.9%) no es un signo de salud en toda la industria, sino el resultado del éxito masivo de una sola clase de fármacos para la diabetes y la obesidad.

Sin el efecto GLP-1, el ROI de 2024 se desploma de **5.9%** a un preocupante **3.8%**

Esto revela una dependencia crítica y una debilidad estructural: el modelo de I+D tradicional depende de la suerte, no de la eficiencia sistémica.

Imperativo de adopción de IA para I+D farmacéutica



Ecosistema Frágil dependiente de la

SIRINDIPIA





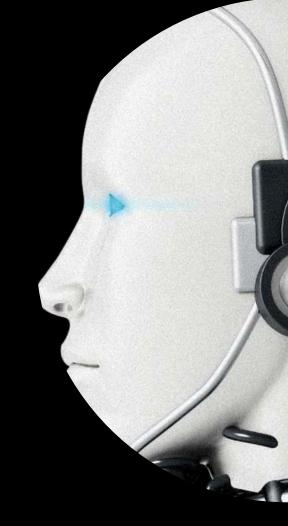
Perspective | 01 Apr 2025 | 5 minute read

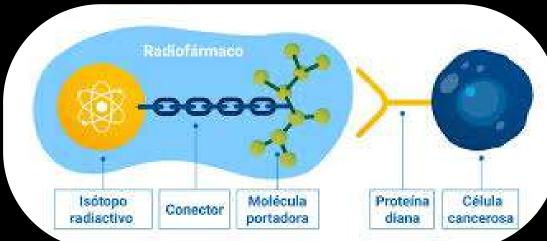
Be brave, be bold: Measuring the return from pharmaceutical innovation

Transformando el Descubrimiento de Fármacos con IA



Identificacion y validacion de Dianas





La Transformación con la en el Descubrimiento de Fármacos

Cómo las plataformas de inteligencia artificial están revolucionando la búsqueda de nuevas terapias al analizar datos masivos y revelar patrones ocultos.





Revelando Nuevas Dianas Terapéuticas

Al aplicar algoritmos avanzados, la IA identifica correlaciones y patrones causales que un equipo humano no podría detectar. Esto revela dianas terapéuticas completamente nuevas, iniciando la búsqueda de nuevos Mecanismos de Acción (MoA).

El Valor de los Nuevos MoA

Aunque son solo el

~23%

de los proyectos, se proyecta que generarán el

~37%

de los ingresos futuros, subrayando su enorme valor.

Las "Ómicas"

La Sinfonía de la Vida

Para entender la salud y la enfermedad, debemos escuchar la música de la biología en todos sus niveles. Las "ómicas" son las capas de esta sinfonía, desde la partitura hasta la melodía final.

La IA integra estas capas para crear Gemelos Digitales, entendiendo no solo el potencial, sino la realidad biológica de un paciente.

ARTIFICIAL INTELLIGENCE: GEMELOS DIGITALES

Genómica

El Manual de Instrucciones

Es el estudio del genoma (ADN), el conjunto completo y estático de instrucciones de un ser vivo. Nos dice el **potencial**: qué podría suceder.

Analogía: La partitura completa de la sinfonía. Contiene todas las notas posibles, pero no nos dice cuáles se están tocando ahora.

Transcriptómica

Las Instrucciones en Uso

Es el estudio del transcriptoma (ARN), que revela qué genes están "activos" o "expresándose" en un momento dado. Es una capa dinámica que nos dice qué instrucciones se están leyendo **ahora mismo**.

Analogía: Ver qué páginas de la partitura están iluminadas y siendo leídas por los músicos en este preciso instante.

Proteómica

La Maquinaria Funcional

Es el estudio del proteoma, el conjunto de proteínas que son las "obreras" de la célula. Nos muestra qué maquinaria está **realmente construida y funcionando**, ejecutando las instrucciones.

Analogía: Escuchar los instrumentos individuales. Podemos saber si un violín está afinado y tocando la melodía correctamente.

Metabolómica

El Pulso de la Actividad

Es el estudio del metaboloma, las pequeñas moléculas resultantes de la actividad química. Es la huella digital del **estado fisiológico en tiempo real**.

Analogía: Sentir la acústica y la energía en la sala de conciertos. Es el resultado final y palpable de toda la orquesta tocando en armonía (o desarmonía).



Revolucion IA en el diseño de farmacos

Revolución | A en el Diseño de Fármacos

Un análisis detallado de cómo la Inteligencia Artificial está rediseñando cada fase del desarrollo farmacéutico, desde la molécula hasta el paciente.

1. Descubrimiento de "Hits" y Generación de "Leads"

Diseñando Moléculas, no solo Encontrándolas.

(i) Cuello de Botella Tradicional

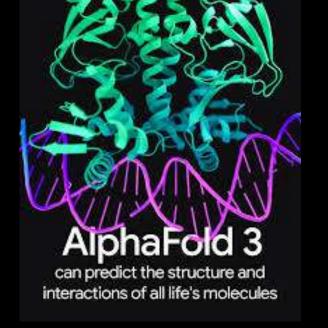
El cribado de alto rendimiento (HTS) prueba físicamente millones de compuestos. Es un proceso de fuerza bruta, caro, lento y a menudo subóptimo. **Paradigma**

"Buscar una aguja en un pajar."

Transformación con IA

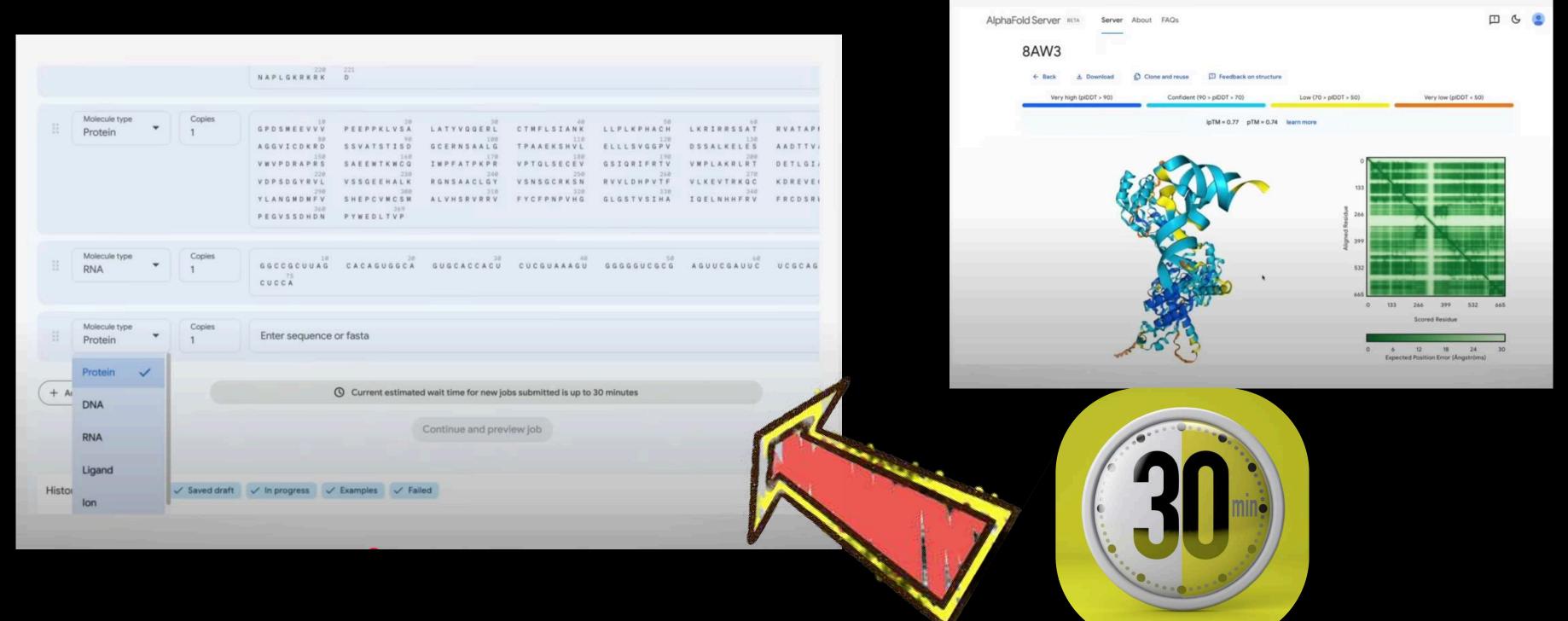
La IA Generativa diseña moléculas nuevas desde cero (diseño de novo), optimizadas para afinidad, selectividad y baja toxicidad.

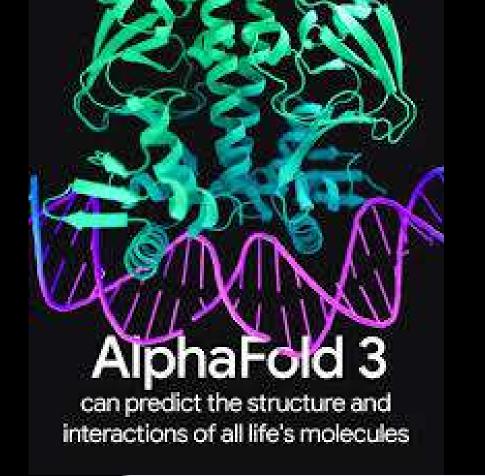
"Diseñar la llave perfecta para una cerradura específica."



Powered by AlphaFold3, a model built by Google DeepMind and Isomorphic Labs

Desarrollo de HITS (Cribado de Alto rendimiento) y Leads





La IA de Google DeepMind que revoluciona la predicción de estructuras moleculares para proteínas, ADN, ARN y más.

Powered by AlphaFold3, a model built by Google DeepMind and Isomorphic Labs

Capacidades Principales



Predicción de Estructuras

Predice la estructura 3D de complejos con proteínas, ADN, ARN, ligandos, iones y más.



Avance Significativo

Mejora del 50% en la precisión de predicción de interacciones moleculares frente a métodos existentes.



Diseño de Fármacos

Acelera el desarrollo de medicamentos al predecir la interacción entre anticuerpos y ligandos.



Enfermedades Genéticas

Ayuda a entender cómo las mutaciones genéticas afectan la estructura y función de las proteínas.

Funcionamiento



Modelos de Difusión: Refina una estructura desde el ruido hasta un modelo 3D preciso.



"Pairformer": Arquitectura de aprendizaje profundo para la predicción inicial.



Accesibilidad: Disponible para investigación no comercial a través de AlphaFold Server.

Revolucion IA en el diseño de farmacos

2. Desarrollo Preclínico

Prediciendo el Fracaso para Diseñar el Éxito.

11/

(i) Cuello de Botella Tradicional

La mayoría de los proyectos fracasan en esta fase debido a toxicidad o propiedades farmacocinéticas (ADMET) deficientes, con un alto costo en tiempo y dinero.

Absorción, Distribución, Metabolismo, Excrecion y Toxicidad.

Transformación con IA

Los modelos predictivos analizan la estructura molecular para predecir su perfil ADMET *in silico*, eliminando candidatos débiles antes de las pruebas físicas.

Tasa de Éxito en Ensayos de Fase I

Métodos Tradicionales

40-65%

Fármacos Diseñados con IA

80-90%

Revolucion IA en el diseño de farmacos

3. Optimización de Ensayos Clínicos

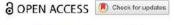
De la Generalidad a la Precisión.

	grupo control	
Área de Mejora	Método Tradicional que recibe placebos	Solución con IA
Selección de Pacientes	Deficiente y general, diluye los resultados.	Identificación precisa de subgrupos con alta probabilidad de respuesta.
Grupos de Control	Reclutamiento costoso y éticamente complejo de grandes grupos de placebo.	Uso de "Gemelos Digitales" para simular brazos de placebo, reduciendo la necesidad de reclutamiento.
Eficiencia del Ensayo	Protocolos ineficientes y desconexión con la aplicación en el mundo real.	Optimización de protocolos y ensayos más pequeños, rápidos y con mayor probabilidad de éxito.



EXPERT OPINION ON DRUG DISCOVERY 2024, VOL. 19, NO. 1, 33-42 https://doi.org/10.1080/17460441.2023.2273839



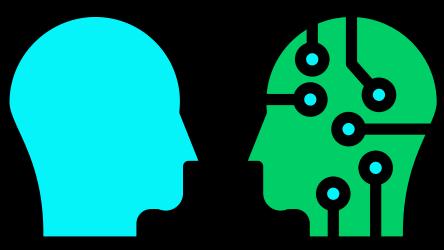


Generative artificial intelligence empowers digital twins in drug discovery and clinical trials

Maria Bordukova^{a,b,c*}, Nikita Makarov^{a,b,c*}, Raul Rodriguez-Esteban^d, Fabian Schmich^a and Michael P. Menden^{b,c,e,f}

^aData & Analytics, Pharmaceutical Research and Early Development, Roche Innovation Center Munich (RICM), Penzberg, Germany; bInstitute of Computational Biology, Computational Health Center, Helmholtz Munich, Munich, Germany; Department of Biology, Ludwig-Maximilians University Munich, Munich, Germany; Data & Analytics, Pharmaceutical Research and Early Development, Roche Innovation Center Basel (RICB), Basel, Switzerland; Department of Biochemistry and Pharmacology, University of Melbourne, Melbourne, Australia; German Center for Diabetes Research (DZD e.V.), Munich, Germany

Gemelos digitales DT



- Simulacion en Silicio
- Flujo Informacional bidireccional
- Impulsados por IA Generativa





Células Individuales

Simulación de respuesta a fármacos y perturbaciones. genéticas para acelerar la investigación.

Es la proporción de fármacos que

logran la aprobación regulatoria tras

iniciar ensayos clínicos.



Tejidos y Tumores

Extracción de propiedades del microambiente tumoral desde imágenes para predecir la respuesta a tratamientos.



Órganos y Animales

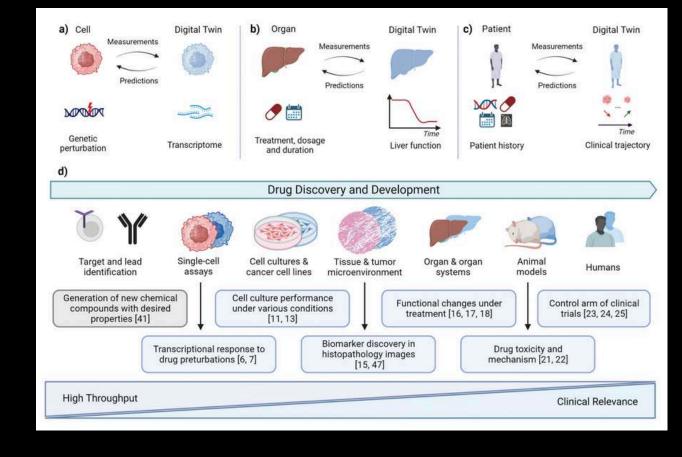
Reproducción de funciones orgánicas y desarrollo de alternativas a las pruebas con animales (principio 3R).

Transformando los Ensayos Clínicos

¿Cómo ayudan los Gemelos Digitales? √ Simulan Grupos de Control: Permiten que más pacientes reales reciban

el tratamiento experimental, acelerando la evaluación de la eficacia.

- √ Aceleran el Reclutamiento: Generan datos sintéticos para reducir los largos procesos de reclutamiento, especialmente en enfermedades
- √ Aumentan el Poder Estadístico: Mayor cantidad de datos simulados fortalece las conclusiones y acelera la toma de decisiones.





Generative artificial intelligence empowers digital twins in drug discovery and clinical trials

Maria Bordukova, Nikita Makarov, Raul Rodriguez-Esteban, Fabian Schmich

To cite this article: Maria Bordukova, Nikita Makarov, Raul Rodriguez-Esteban, Fabian in drug discovery and clinical trials, Expert Opinion on Drug Discovery, 19:1, 33-42, DOI: 10.1080/17460441.2023.2273839

To link to this article: https://doi.org/10.1080/17460441.2023.2273839

Casos de Uso Futuros en Ensayos Clínicos

Predecir Estados Futuros

Para análisis intermedios y decidir si un ensayo debe ajustarse o detenerse.

Predecir Estados Intermedios

Identificar si un paciente superó un umbral critico entre visitas. detectando eventos adversos

Predecir Efectos en la Población

Optimizar el diseño del ensayo, descubrir biomarcadores y avanzar hacia la medicina de precisión.



- Datos: Se necesitan grandes conjuntos de datos multimodales (genéticos, de imagen, etc.).
- · Interpretabilidad: Los modelos "caja negra" dificultan la confianza y la mejora.
- · Regulación: Falta de un marco regulatorio específico para el uso de DTs en ensayos clínicos.

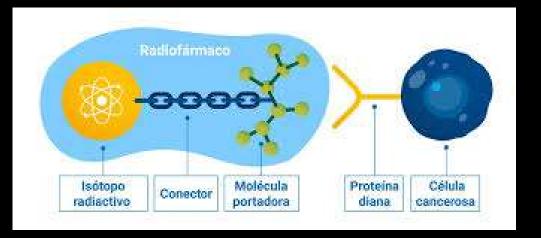
Visión a Futuro

El objetivo es un modelo de fundación único que escale desde el nivel celular hasta el humano, creando una plataforma integral para el descubrimiento de fármacos in silico y marcando el inicio de una nueva era en la medicina de precisión.



El Paradigma | A

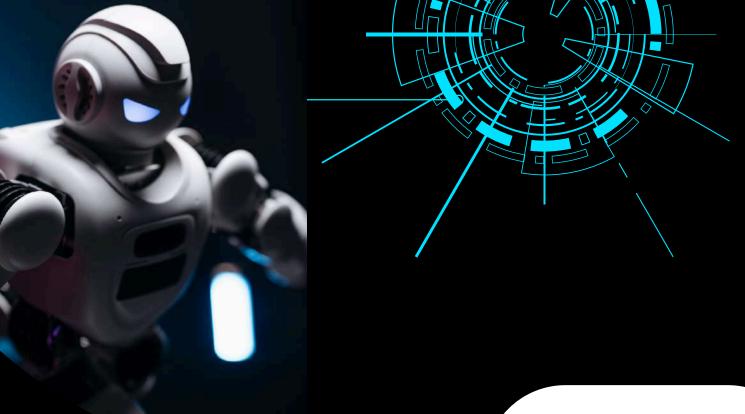
El poder económico no es encontrar éxitos más rápido, sino identificar fracasos al mínimo costo.



Plataforma de Detección de Defectos In Silico

La IA ejecuta millones de "experimentos digitales" para detectar defectos fundamentales en el diseño de fármacos antes de cualquier inversión física significativa.

- Predicción ADMET
 - Análisis de Absorción, Distribución, Metabolismo, Excreción y Toxicidad.
- Modelado de Interacciones
 Simulación de la unión a la diana con herramientas como AlphaFold 3.
- Validación de Hipótesis de Diana
 Verificación de la viabilidad del mecanismo de acción propuesto.



Industria Tech Bio

Análisis de Costo del Fracaso

Fracaso Digital (In Silico)

Nínimo

~\$100M+ Ensayos Fallidos

Fracaso en Fase Clínica

Fracaso Digital
Detectado

Ciclo Virtuoso de la Retroalimentación

Nuevos Datos Generados

Mejorada

Modelos IA Reentrenados

 \longrightarrow

Predicciones mas precisas

Cada fracaso digital refina los modelos de IA, reduciendo continuamente el riesgo de toda la cartera de desarrollo.

La Revolución TechBio

Cómo una nueva clase de empresa está redefiniendo el futuro del descubrimiento de fármacos.

De la Promesa a la Práctica

La IA ya no es una promesa futura; está entregando una cartera tangible de candidatos a fármacos en ensayos clínicos. Este progreso es impulsado por empresas que no son biotecnológicas tradicionales que usan software, sino empresas tecnológicas que hacen biología.

Biotech Tradicional

El modelo de negocio se centra en el éxito de una molécula específica.

- Activo Principal: La Molécula.
- Modelo de Riesgo: El fracaso de un candidato puede ser catastrófico para la empresa.
- Valoración: Basada principalmente en el potencial de su cartera de productos.

TechBio

El modelo de negocio se centra en una plataforma de descubrimiento que aprende y mejora continuamente.

- Activo Principal: La Plataforma.
- Modelo de Riesgo: El fracaso genera datos valiosos que mejoran la plataforma, aumentando la probabilidad de éxito futuro.
- Valoración: Reside tanto en la cartera de productos como en la máquina de innovación que los genera.

EL FRACASO

Se Monetizara

NO SE PENALIZARA

Plataformas Líderes en la Industria

Estos "Sistemas Operativos" para el descubrimiento de fármacos se vuelven más inteligentes con cada experimento.

Insilico Medicine

Pharma.Al

Exscientia

Design-Make-Test-Learn (DMTL)

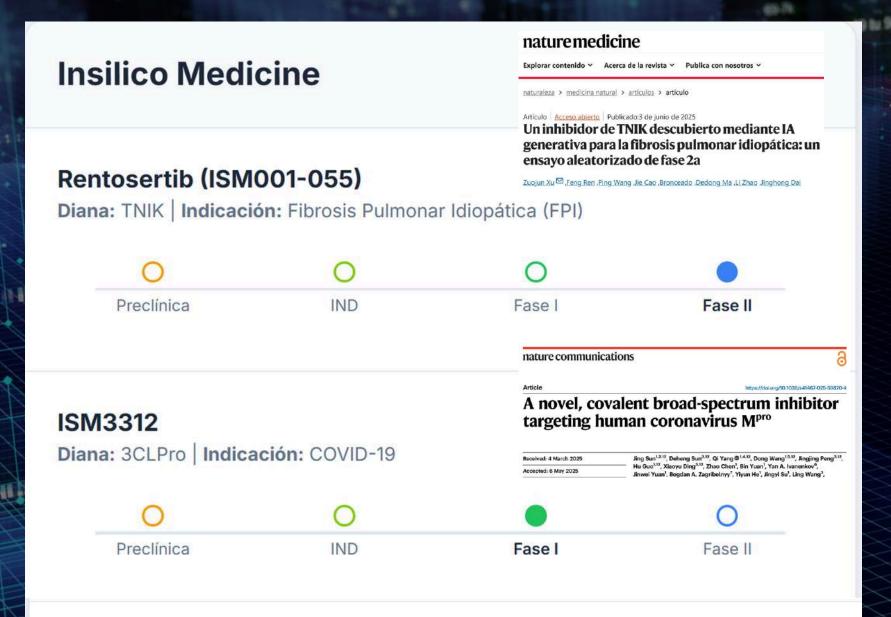
Recursion

Recursion Operating System (OS)









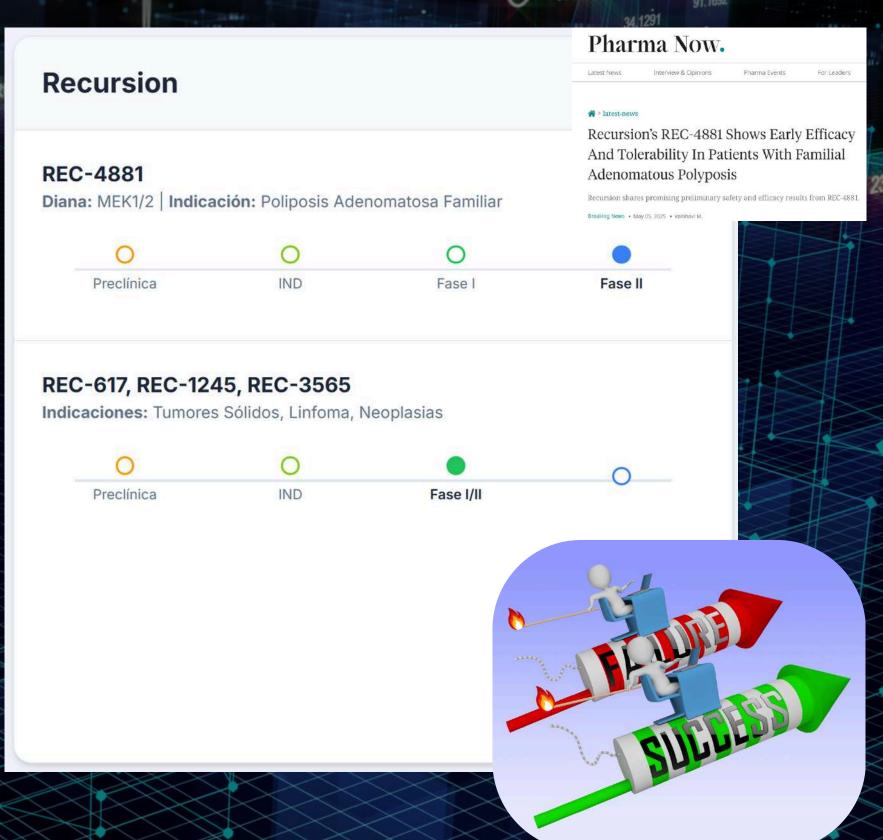
Múltiples Activos (QPCT, USP1, etc.)

Indicaciones: Cáncer, Enfermedad Inflamatoria Intestinal (EII), Enfermedad Renal Crónica (ERC).

- QPCT: Diana para inmuno-oncología, busca potenciar la respuesta inmune contra tumores sólidos.
- USP1: Diana para cánceres con mutaciones específicas (ej. BRCA), ataca una vulnerabilidad en la reparación del ADN de las células tumorales.
- Otras dianas (MAT2A, KAT6): Exploradas para diversas formas de cáncer.





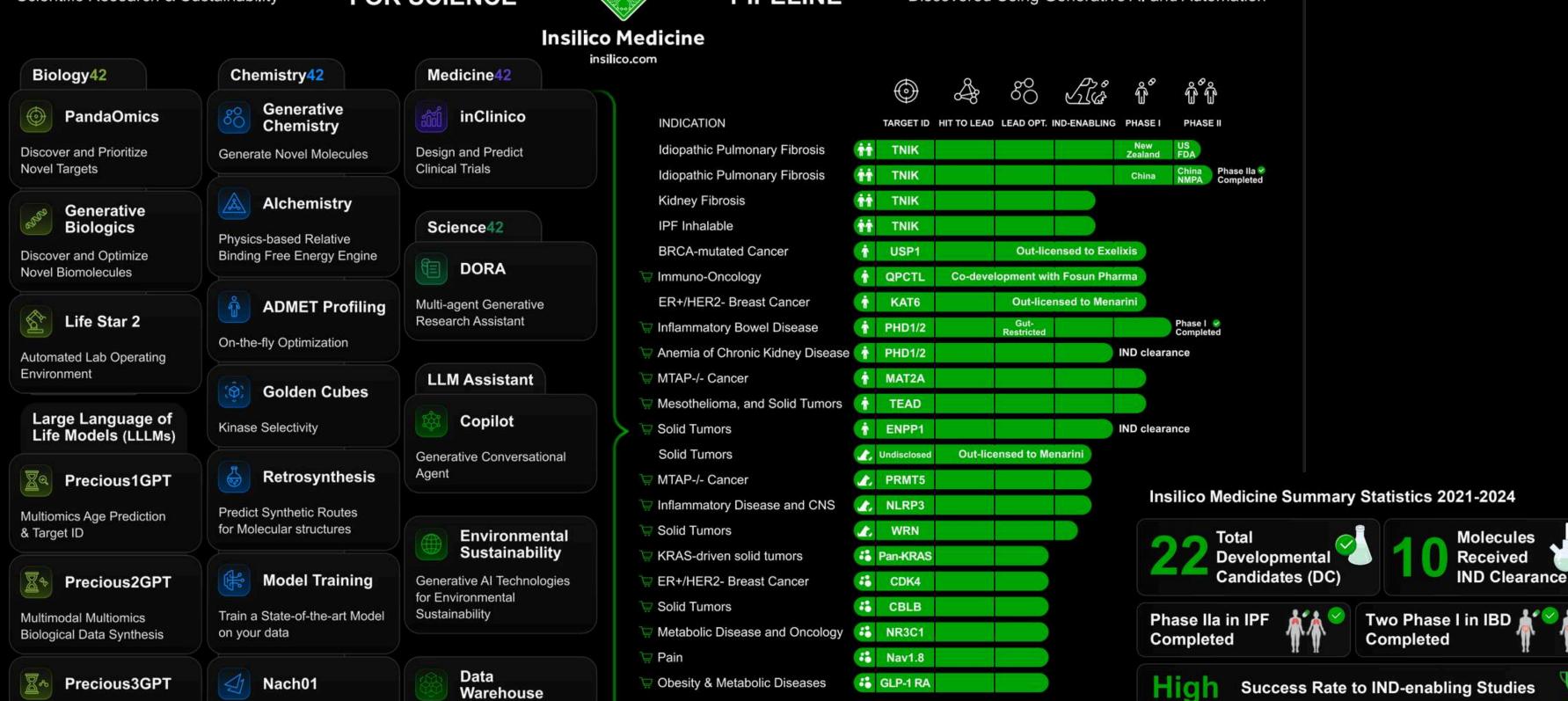


SOFTWARE FOR SCIENCE



THERAPEUTIC PIPELINE

High Quality Therapeutic Programs Discovered Using Generative AI and Automation





Life Model



Multi Tissue Multispecies

Multiomics Multimodal







Multimodal Natural &

Chemical Languages

Foundation Model





Seamless Cross-application

Integration & Standardization

Data Flow via Efficient



Available for Licensing



More programs in discovery





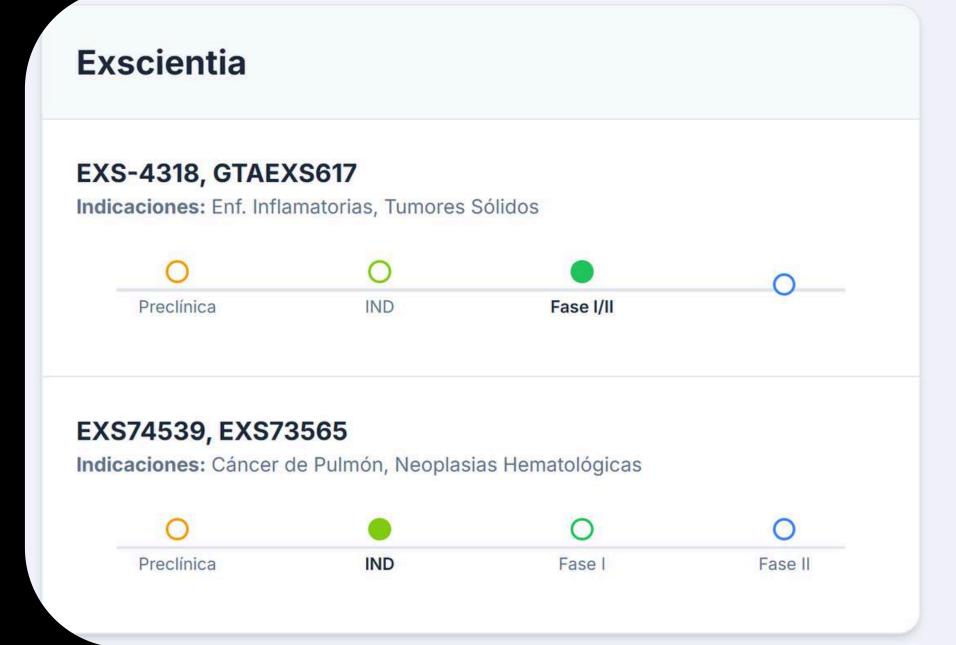
60~200 Molecules Synthesized Per Program







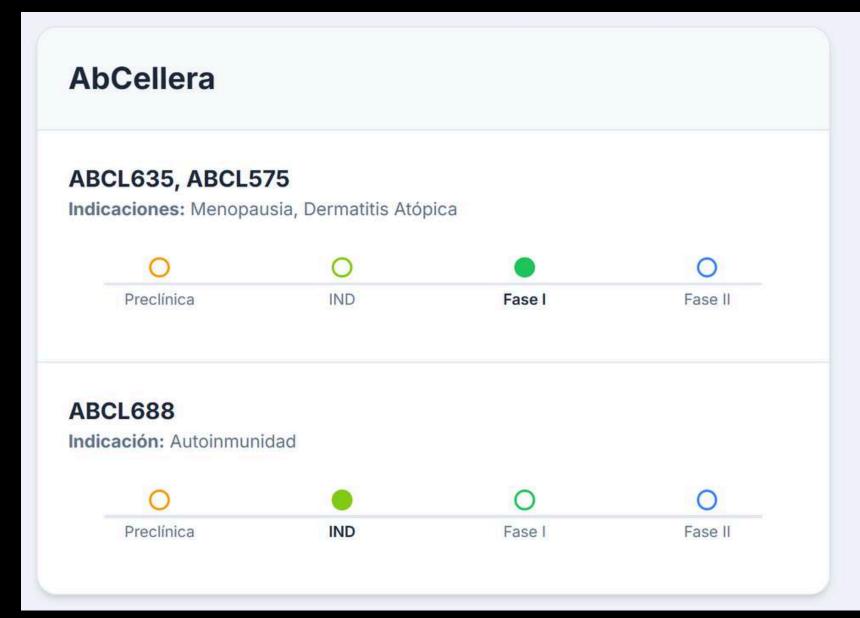














Adaptación Regulatoria:





La Postura de la FDA (EE. UU.)



Publicación del Borrador de Guía

La FDA presenta una hoja de ruta en lugar de una prohibición, pidiendo un enfoque basado en el riesgo.

Concepto Clave

Marco de Evaluación de Credibilidad

- Definir el contexto de uso (COU) del modelo.
- Evaluar el riesgo asociado a la aplicación.
- Validar la credibilidad y el rendimiento.

Contexto, Riesgo

Credibilidad Rendimiento

Resultado

Claridad y Previsibilidad

Se establece un camino estructurado para la aceptación regulatoria que la industria y los inversores necesitaban.

EMA

La Postura de la EMA (Europa)

Plan de Trabajo 2025-2028

Enfoque Progresista

Se centra explícitamente en habilitar el uso de la IA mientras se gestionan los riesgos asociados.

Marzo 2025

Hito: Primera Opinión de Cualificación

Se acepta formalmente la evidencia de una herramienta de lA para analizar biopsias de hígado, sentando un precedente histórico.

Resultado

Validación Científica

Se confirma que los datos generados por IA, con validación adecuada, son sólidos para la toma de decisiones regulatorias.





El Muro de los 2.500 Millones de Dólares

Descubrir un nuevo medicamento es uno de los desafíos más costosos y prolongados de la humanidad. La Inteligencia Artificial está cambiando las reglas del juego.

12-15 Años

>\$2.5 Billones

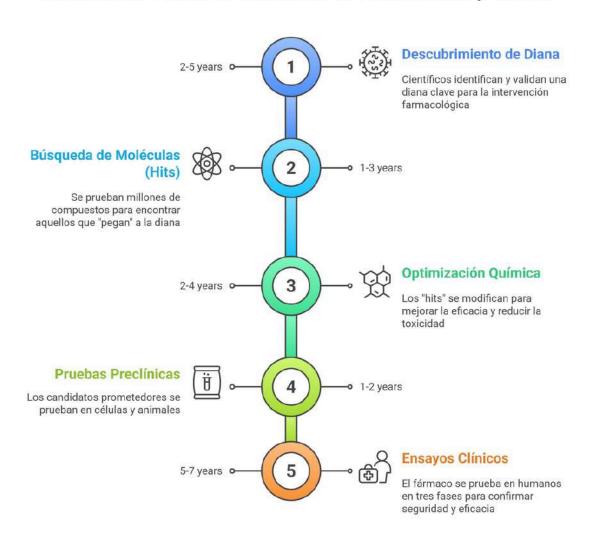
>90%

Tiempo promedio de desarrollo

Costo por fármaco exitoso

Tasa de fracaso en ensayos clínicos

Desarrollo de Fármacos Tradicional: Un Proceso Lento y Costoso



Circuito de IA en el Descubrimiento de Fármacos



Conclusión y Recomendaciones



Desarrollar Estándares Globales:

Crear directrices éticas y técnicas estandarizadas para la recopilación de datos, el desarrollo de modelos y la validación de la IA en la industria farmacéutica.



Fomentar la Diversidad en los Datos:

Invertir activamente en la recopilación de conjuntos de datos diversos y representativos para mitigar los sesgos algorítmicos.



Incentivar el desarrollo de modelos de IA que sean transparentes e interpretables para facilitar la confianza y la validación.

Diálogo Multidisciplinario

Fomentar la colaboración continua entre científicos de datos, bioéticos, reguladores, médicos y representantes de pacientes para abordar estos desafíos de manera integral.







APRIL 23-25 | SORTIS HOTEL





FEPIMCTI DATHATON 2025

Transforming Critical Care in Ibero-America

An educational and collaborative 3-day event where professionals and students come together to apply Artificial Intelligence to the most pressing challenges in critical care.

🗎 23 - 25 APRIL 2026 | 🎯 SORTIS HOTEL, PANAMÁ CITY

PRE-REGISTRATION

PROGRAM

OVERVIEW

WHAT IS THE FEPIMCTI AI DATATHON 2026?

The FEPIMCTI AI Datathon 2026 is a multidisciplinary, cross-cutting, and collaborative event, an "academic marathon" where, over three days, data science and artificial intelligence will be applied to medicine.

Event Objectives

The challenges will focus on key areas where artificial intelligence can transform critical care, including hospital supply management, emergency department efficiency, clinical communication and logistics, predictive analytics for critical events, and Al-driven diagnostic support.

Organized by the Committee on Artificial Intelligence and Data Science in Critical Care of the **Pan American and Iberian** Federation of Critical Care and Intensive Therapy (FEPIMCTI), together with the Panamanian Association of Critical Care and Intensive Therapy, the event brings together multidisciplinary teams to solve real medical problems using anonymized clinical datasets.

HOW DOES THE EVENT WORK?



Team Formation

created.



Data Access





Data Analysis **Clinical Solutions**

Interdisciplinary teams are

Anonymized clinical datasets provided.

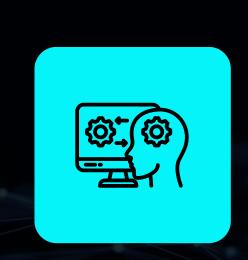
Apply critical thinking and creativity

Exploratory analysis or preliminary models.

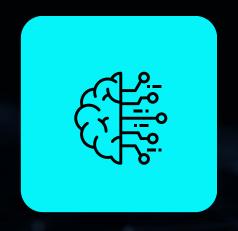
dathaton.fepimcti.org

La Caja de Herramientas de la IA

La IA no es un concepto único, sino un conjunto de potentes tecnologías que abordan desafíos específicos en el descubrimiento de fármacos.



Identificación de Dianas con Precisión
Utilizando modelos como AlphaFold de DeepMind,
que predice la estructura 3D de las proteínas, la IA
puede "ver" la forma de posibles dianas
terapéuticas. Luego, analiza enormes bases de
datos genéticos para correlacionar estas proteínas
con enfermedades específicas, todo en una fracción
del tiempo que le tomaría a un equipo humano.



Creando Fármacos que Nunca Existieron

La IA Generativa funciona de manera similar a los modelos que crean imágenes o texto. Se le dan las reglas (la diana y las propiedades deseadas) y genera miles de estructuras moleculares completamente nuevas y viables. Esto abre un universo de posibilidades químicas que antes eran inexplorables.





Fracasar Rápido, Barato y en la Computadora La mayoría de los fármacos fracasan por ser tóxicos o porque no los absorbe bien. La IA predice estas propiedades (AD analizando la estructura molecular del candidato y comparán patrones de millones de compuestos conocidos. Esto permite el 99% de los malos candidatos sin una sola prueba de labo