

# VALOR DE LOS MEDICAMENTOS HUERFANOS Y LOS RETOS EN LA FINANCIACION Y ACCESO AL MERCADO

**Josep Maria Espinalt**

*Coordinador Grupo Discusión EERR de ASEBIO  
Presidente de AELMHU*

**Madrid, 7 de marzo 2017**

# Medicamento Huérfano (MMHH)

## Definición de medicamento huérfano (Unión Europea)

Medicamento que se destine a establecer un diagnóstico, a prevenir o a tratar una **enfermedad que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad grave y crónica** que no afecte a más de 5 personas de 10.000;

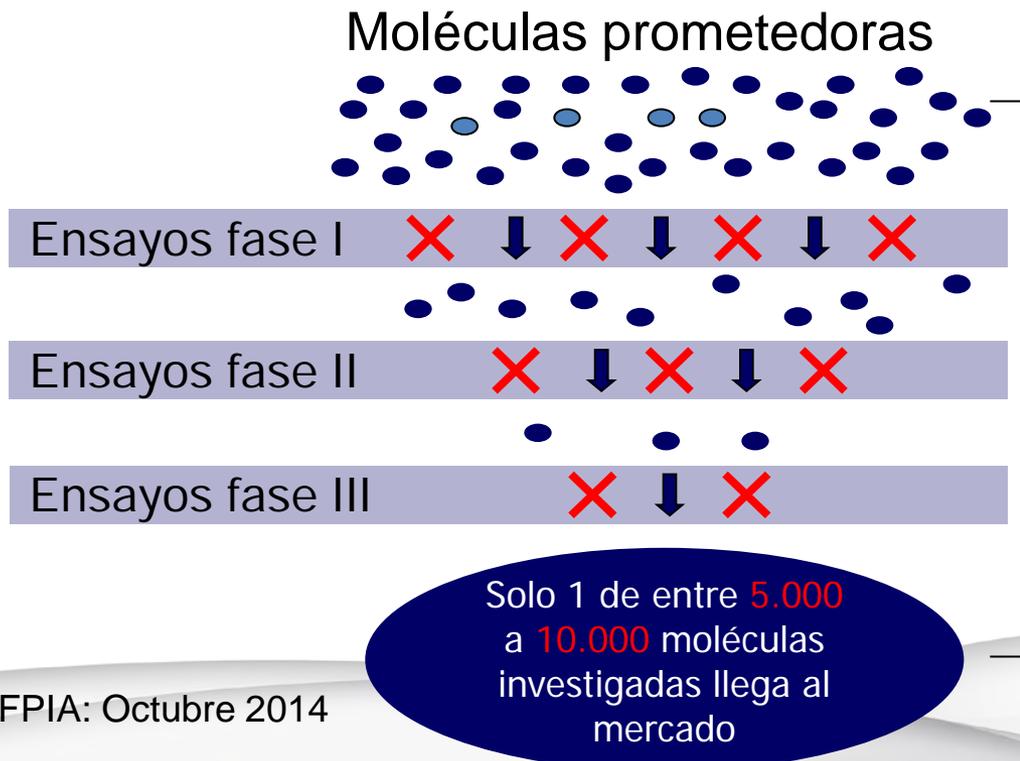
- a. cuya comercialización sería improbable que, sin incentivos, generase suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria;
- b. destinado a una enfermedad que carece de tratamiento alternativo o bien que el nuevo medicamento brinde beneficios adicionales a los pacientes comparado con los tratamientos disponibles.

# Valor de los Medicamentos Huérfanos

- Dirigidos a una **necesidad médica no cubierta para un grupo muy reducido de pacientes**
- Las EERR son en muchos casos **graves y potencialmente mortales. Cerca del 60% de estas enfermedades son pediátricas**
- **Aumentan sustancialmente la esperanza de vida y/o la calidad de vida de los pacientes** afectados por enfermedades raras.
- **Evitan los costes directos e indirectos** del paciente con una enfermedad rara no tratada de forma específica.
- Suponen la vía de entrada de avances terapéuticos por su **alto grado de innovación** (representan nuevos conceptos farmacológicos).

# Desarrollo de los Medicamentos Huérfanos

El **riesgo** y el **coste** de desarrollo de un nuevo fármaco es muy alto, más aún en el ámbito de las enfermedades raras, ya que no hay conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico.



**Tiempo:**  
10-12 años desde la síntesis de un fármaco potencial hasta su comercialización

**Coste:**  
La mediana del coste pre-comercialización de un nuevo tratamiento es € 1.100 Millones aprox.

# Precio de los Medicamentos Huérfanos

**El precio es consecuencia de la rareza y de los gastos en investigación**

- **Baja demanda y altos costes de investigación, desarrollo y producción:**
  - Dificultad y tiempo para amortizar las inversiones
- **La escasez de conocimiento sobre las enfermedades raras** lleva asociados:
  - Procesos de investigación y desarrollo complejos y largos
  - Mayor riesgo en la investigación y desarrollo ya que no existe conocimiento previo ni una muestra grande de pacientes
  - Procesos de producción con volúmenes bajos, con la necesidad de disponer de plantas de producción alternativas

# Balance de situación de las EERR y los MMHH

El **Reglamento de la UE 141/2000** declaró que los pacientes afectados por EERR tienen derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes. Este Reglamento elaboró un sistema para incentivar a las empresas en la investigación y comercialización de MMHH.

- **GRAN LOGRO:** A partir de su entrada en vigor la Agencia Europea del Medicamento ha aprobado 126 MMHH (a fecha de diciembre 2016 – algunos de ellos ya han perdido actualmente la designación de huérfano).
- **TRABAJO PENDIENTE:** Existen más de 5.000 EERR que aún no tienen ninguna esperanza farmacológica. Por ello, se debe continuar apoyando la investigación en las EERR y los MMHH desde todos los sectores, públicos y privados.

# Temas pendientes en España

- **Ninguna prioridad en la decisión de financiación y precio**
- **Poca transparencia en los procesos de financiación y precio**
- **Reevaluaciones del fármaco** por las Agencias de las CCAAs y las Comisiones de Farmacia de los hospitales
- **Inequidad en el diagnóstico y el acceso**
- **Falta de centros de referencia convenientemente dotados presupuestariamente**

# Documento de “Recomendaciones para la búsqueda de soluciones en el ámbito de las Enfermedades Raras”



*Un año después*

**Octubre 2015**

**Febrero 2017**

<b>SITUACIÓN</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>6 firmantes</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ (3 sociedades científicas y profesionales / 1 asociaciones de pacientes / 2 industria)</li> </ul> </li> </ul>
<b>COMUNICACIÓN</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Rueda de Prensa</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 1 nota de prensa</li> <li>▪ 1 video comunicado</li> </ul> </li> </ul>

- **60 firmantes**
  - 35 sociedades científicas y profesionales / 20 asociaciones de pacientes / 5 industria

# Documento de “Recomendaciones para la búsqueda de soluciones en el ámbito de las Enfermedades Raras”



- Incorporar al Comité de Seguimiento y Evaluación de la Estrategia en Enfermedades Raras de todos los colectivos vinculados en materia de enfermedades raras.
- Crear presupuestos específicos para el tratamiento de pacientes con medicamentos huérfanos
- Establecer un mecanismo de compensación ágil y eficaz entre Comunidades Autónomas
- Garantizar un entorno normativo, administrativo y político estable.
- Crear una Comisión Mixta en el Congreso y en el Senado

# MMHH comercializados en España

## MMHH comercializados en España (1 febrero 2017)

	Total
Medicamentos con designación OD-EMA	95
MMHH comercializados en España	53

<b>MMHH no comercializados en España</b>	<b>26</b>
MMHH que no han solicitado código nacional en España	16

# Menor número de MMHH autorizados en España a partir del año 2012

## Análisis de los MMHH autorizados en EU y España en los periodos 2002-12 y 2012-16

		Periodo 2002-2011	Periodo 2012-2015
MMHH autorizados por la EMM con designación huérfana vigente		42	44
MMHH autorizados con P&R en España		38 (90,47%)	13 (29,5%)
MMHH que no han solicitado CN en España		0	11 (25%)
MMHH en proceso de P&R	Decisión de NO financiación	2* (4,7%)	9 (20,45%)
	Pendientes de decisión de P&R	2 (4,7%)	11 (25%)

\*P&R denegado en 2015 y 2016

Fuente: EMA-AEMPS-BotPlus-AELMHU

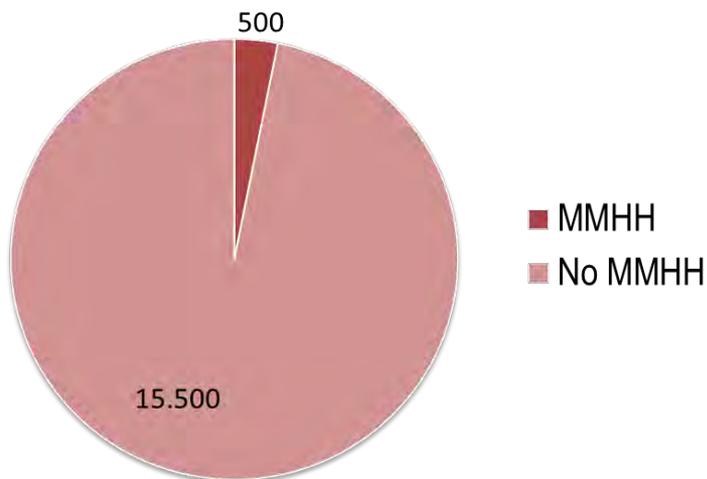
# Tiempo transcurrido hasta comercialización

MMHH autorizados por la EMA – CN AEMPS y tiempo transcurrido hasta comercialización

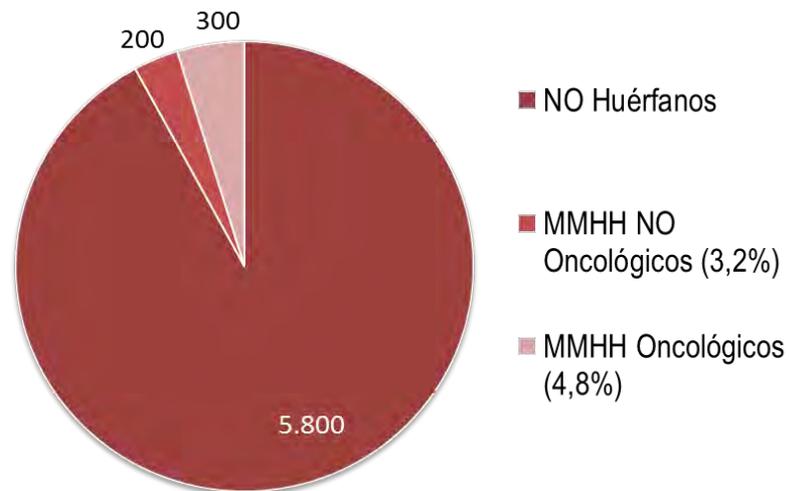


# Impacto limitado de los MMHH en el Gasto Farmacéutico Total

Gasto Farmacéutico total en millones de euros (los MMHH representan un 3,12% del gasto farmacéutico total)



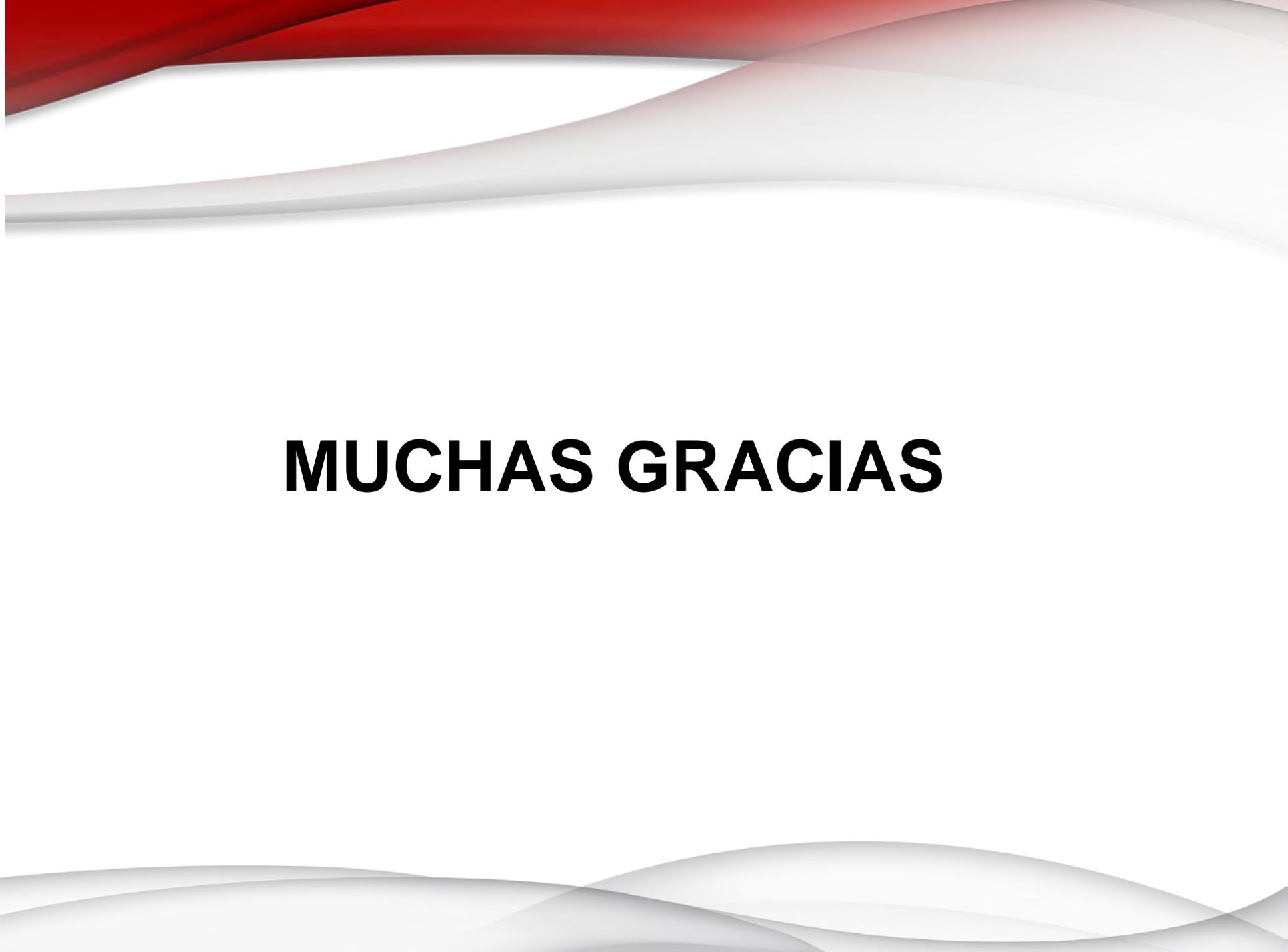
Gasto Farmacéutico Hospitalario en millones de euros



Fuente IMS (Ene-Oct 2016)

# Algunas reflexiones finales

- **Los pacientes con EERR necesitan tratamientos** al igual que los pacientes con enfermedades más prevalentes. En caso de no tratarse, el coste social de estas enfermedades sería desproporcionado con respecto al precio de los MMHH.
- Los **diagnósticos erróneos** pueden llegar a ser dañinos y costosos dándose un tratamiento inadecuado hasta el punto de incurrir en intervenciones quirúrgicas innecesarias.
- **Debería de imperar el principio de equidad** y no abandono para las personas con EERR.
- **La disminución del acceso al mercado de los MMHH** puede provocar un desinterés de las empresas farmacéuticas en el mercado español derivado de las dificultades de obtener financiación y precio.
- Para poder conseguir una mayor inversión en I+D+i, promover crecimiento económico y desarrollar empleo se necesitan **un entorno normativo, administrativo y político estable, ágil, previsible y transparente.**

The background features a white central area with decorative wavy lines in red and light gray. The red line is at the top left, and the light gray lines are at the top and bottom, creating a sense of movement and depth.

**MUCHAS GRACIAS**