

La industria farmacéutica europea, comprometida con las ENFERMEDADES RARAS

Las enfermedades raras o poco frecuentes, en cifras

1/2.000

Afectan a menos de 1 entre 2.000 personas

+50%

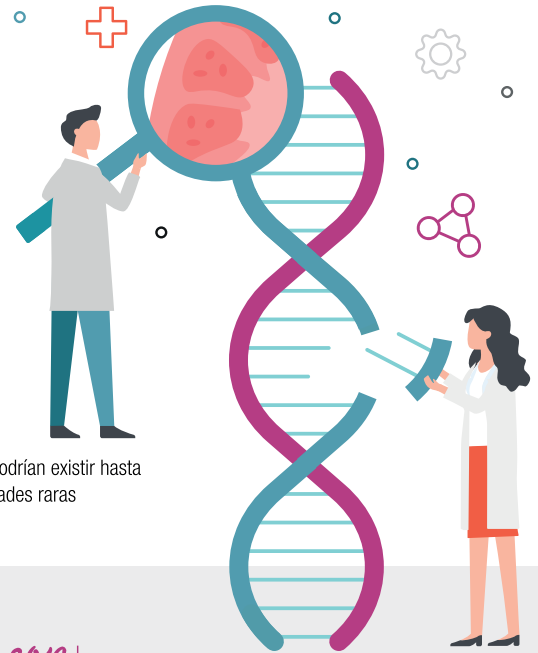
En más de la mitad de los casos afectan a niños

30mill

30 millones de europeos y 3 millones de españoles sufren alguna

+8.000

Se calcula que podrían existir hasta 8.000 enfermedades raras



Dos décadas de notables avances

2000

Desde el año 2000, el número de medicamentos para enfermedades raras (huérfanos) desarrollados por la industria se ha **multiplicado por 20** (de 8 a 184)

2006 - 2016

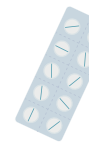
Entre 2006 y 2016 el número de ensayos clínicos para enfermedades raras en Europa **creció en un 88%**

2000 2005 2010 2015 2020

2019

Uno de cada cuatro nuevos medicamentos aprobados por la Agencia Europea del Medicamento en 2019 fue **huérfano**

Uno de cada cinco ensayos clínicos en España en 2019 estuvieron **focalizados en patologías raras**, con una participación total de **4.200 pacientes**



En estos años se han creado **220 PYME**, que son responsables del **desarrollo del 51% de los medicamentos huérfanos** en Europa



Hay ya **24 redes** de referencia y **23 planes** nacionales en la UE

El Reglamento (CE) 141/2000, clave en el impulso



Desempeña un papel crítico para **satisfacer las demandas de los pacientes** con enfermedades raras



Fomenta la inversión y la innovación en nuevos tratamientos, proporcionando **10 años de exclusividad** para los medicamentos e incentivos adicionales para las PYME



Hace posibles **acuerdos innovadores entre compañías farmacéuticas y sistemas nacionales de salud** que facilitan un acceso asequible de los pacientes a los medicamentos



Contribuye a una **mayor comprensión** de las enfermedades raras

Un largo camino por recorrer...

Las enfermedades raras son más comunes de lo que se cree, pero **apenas el 5% tiene un tratamiento farmacológico**. Es urgente desarrollar nuevos tratamientos

Al situarse a la vanguardia de la ciencia, **la I+D** en estos medicamentos es **muy compleja**

...que gobiernos, sistemas públicos de salud e industria farmacéutica deben hacer juntos

Compartimos un único objetivo: garantizar el **acceso** de los pacientes a los **nuevos tratamientos**

Ningún grupo de pacientes puede **quedarse atrás**. Ni los que esperan para acceder a los tratamientos existentes ni los que viven sin tratamientos disponibles hoy en día

Un diálogo abierto y constructivo es básico para la **búsqueda conjunta de soluciones**

La industria farmacéutica innovadora apoya la constitución de un **Foro de Alto Nivel europeo** con todas las partes interesadas para debatir cómo garantizar el acceso a nuevos tratamientos y la sostenibilidad de los sistemas nacionales de salud

