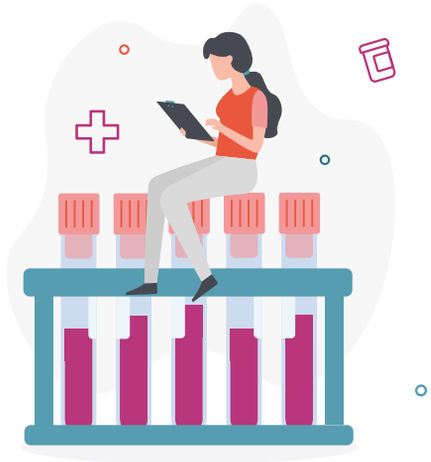
farmaindustria

Un cambio de rumbo para los

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



La industria farmacéutica tiene un firme compromiso con la investigación de tratamientos para las enfermedades raras o poco frecuentes

1/2.000

Afectan a menos de 1 entre 2.000 personas

Cada **medicamento huérfano** que llega al mercado supone un gran esfuerzo investigador y, a su vez, una **nueva esperanza** para los pacientes y sus familias

Son fármacos con unas **características especiales**, por el escaso número de pacientes en cada patología y porque en la mayoría de los casos son los primeros tratamientos para la enfermedad que combaten

Dos décadas de notables avances

Gracias a una regulación específica (Reglamento europeo 141/2000)…

2000

Se ha pasado **de 8 fármacos disponibles** para estos pacientes en el año 2000 **a 129**

2006 - 2016

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

2022

Hoy, **uno de cada cuatro nuevos medicamentos** aprobados por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) tiene **designación de huérfano**

2000 2005 2010 2015 2022

El acceso en España, un desafío

40/100 En nuestro país sólo están **disponibles** 40 de cada 100 medicamentos huérfanos aprobados en Europa, muy por debajo de países de referencia como Alemania, Italia o Francia

523 Tardan una media de 523 **días en financiarse** por el sistema público

54% Más de la mitad de los que se financian lo hacen con **restricciones terapéuticas**

Nuestro país no dispone de un **procedimiento específico** de financiación pública y fijación de precio para estos fármacos

Cómo cambiar el rumbo

Con el ánimo de colaborar con la Administración para mejorar la situación en España, desde Farmaindustria proponemos:

Establecer un **diálogo** temprano entre Administración sanitaria y compañía farmacéutica comercializadora

Implicar en la evaluación de estos medicamentos a **expertos** en la enfermedad rara a la que se dirige el nuevo tratamiento y a las asociaciones de pacientes, algo que hoy no está previsto

Crear un **procedimiento de decisión** de financiación acelerado, dado que en la mayoría de los casos son enfermedades graves y sin tratamiento alternativo

Adoptar **criterios concretos** de evaluación y financiación públicos y rigurosos, que tengan en cuenta las especificidades de estos fármacos y que complementen a los actuales criterios de impacto presupuestario y de coste-efectividad por otros que consideren la gravedad de la patología, las necesidades de los pacientes y el valor social del medicamento

Asegurar la **recogida de datos** de efectividad -especialmente relevante en este tipo de medicamentos- de forma automatizada y digitalizada, para contribuir a una toma de decisiones más ágil y basada en la evidencia

En definitiva, se trata de **estrechar la cooperación** entre Administración y compañías farmacéuticas para disponer de un procedimiento **ágil, predecible y transparente,** que asegure el mejor acceso posible de los pacientes en España a los medicamentos que necesitan

Innovamos para las personas