

Los medicamentos huérfanos tardan 500 días en financiarse en España, y dos de cada tres lo hacen con restricciones

Este lunes, 28 de febrero, se celebra el Día Mundial de las Enfermedades Raras con el reto de mejorar el acceso de los pacientes a los nuevos medicamentos

En nuestro país no existe un procedimiento específico de financiación y fijación de precio para estos fármacos, a diferencia de otros del entorno

Farmaindustria propone un sistema de evaluación acelerada con criterios de reembolso público que consideren las necesidades de estos pacientes, las especificidades de los tratamientos y el valor social que aportan

24 de febrero de 2022.- Alrededor de 3 millones de españoles (30 millones de europeos) padecen algún tipo de enfermedad considerada poco frecuente, esto es, patologías que afectan a menos de una de cada 2.000 personas. Entre un 50 y un 75% de los casos afectan a niños, y sólo un 5% de ellas tienen disponible algún tipo de tratamiento potencial.

En las dos últimas décadas se han producido [avances notables para muchas de estas enfermedades](#), favorecidos por el Reglamento europeo de medicamentos huérfanos (141/2000), como demuestra el hecho de que en el año 2000 eran 8 los fármacos de este tipo disponibles y hoy ya son 129.

Aunque el desafío para la investigación sigue siendo enorme, el actual marco regulatorio europeo, basado en incentivos, ha fomentado la inversión privada en la investigación de estos tratamientos y ha supuesto que sólo en la última década los proyectos de I+D en este ámbito hayan crecido un 88%. De hecho, en los últimos años, uno de cada cuatro nuevos fármacos aprobados por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) fue para terapias con designación de huérfano.

Pacientes y familiares están necesitados de dosis de esperanza en forma de investigación de nuevos tratamientos; el desafío para sistema y profesionales sanitarios, investigadores y compañías es máximo y no admite demoras. Tras el éxito en la investigación debe producirse un acceso ágil para todos los pacientes que necesitan esos medicamentos.

Sin embargo, la realidad es que en España existen obstáculos en el acceso a la innovación en este ámbito y estamos perdiendo terreno con respecto a los países de nuestro entorno socio-económico.

Según el informe anual de [Indicadores de acceso a terapias innovadoras en Europa](#), realizado por la consultora Iqvia y que mide la disponibilidad de los medicamentos, en el caso de los huérfanos, en nuestro país están disponibles 40 de cada 100 fármacos aprobados en Europa entre 2016 y 2019, mientras que en Francia, Italia y Reino Unido están por encima del 70% y en Alemania, del 90%.

Asimismo, el tiempo medio desde la autorización por parte de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) hasta la resolución de financiación en España es de 523 días de media, a lo que hay que sumar que el 54% de los medicamentos para enfermedades raras incluidos en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (SNS) tienen algún tipo de restricción terapéutica, es decir, que restringen el uso a ciertos grupos de pacientes.

El medicamento huérfano tiene unas características propias que exigirían un sistema de evaluación específico, como son el número reducido de pacientes incluidos en los ensayos clínicos; la falta de un tratamiento comparador, al ser frecuentemente patologías sin alternativas terapéuticas, o la presentación de datos en fases tempranas debido a la urgencia de disponer de opciones para estos pacientes.

“A diferencia de otros países de nuestro entorno, en España no hay un procedimiento específico de financiación y fijación de precio para los medicamentos huérfanos, y habitualmente no se cumplen los plazos de seis meses que recoge la legislación para la resolución del expediente de evaluación y financiación”, recuerda la directora de Acceso de Farmaindustria, Isabel Pineros.

[Algunas publicaciones](#) vienen señalando la necesidad de este [abordaje diferencial](#) en el acceso a medicamentos huérfanos, como ya hacen cuatro de cada cinco países europeos. Estos modelos reconocen que los enfoques de evaluación convencionales pueden no ser adecuados para analizar el valor de los tratamientos destinados a enfermedades raras.

Propuestas para mejorar el acceso a la innovación

Con motivo de la celebración del [Día Mundial de las Enfermedades Raras](#), el próximo lunes 28 de febrero, Farmaindustria quiere poner el foco en estos pacientes, sus familiares y cuidadores, porque si la investigación es importante en todas las áreas terapéuticas, en enfermedades raras es crítica.

Con el objetivo de conseguir que los pacientes españoles con enfermedades poco frecuentes tengan garantizado el acceso a los medicamentos que precisan y, a su vez, el SNS cuente con un sistema de toma de decisiones de calidad, Farmaindustria propone, en primer lugar, que para estos medicamentos se use un procedimiento de financiación acelerada, que desemboque en una decisión en un periodo no superior a los tres meses desde el inicio del trámite de fijación de precio.

Es necesario establecer un diálogo temprano entre la Administración y las compañías farmacéuticas titulares para planificar un acuerdo y que permita hacer más predecible cuándo el medicamento puede estar disponible para los pacientes.

Se propone también la adopción de criterios concretos de evaluación y financiación, públicos y rigurosos, que tengan en cuenta las especificidades de estos fármacos, y que, además de los actuales criterios de impacto presupuestario y de coste-efectividad, consideren aquellos que también se incluyen en la ley, como son la gravedad de la patología, las necesidades de los colectivos y el valor social del medicamento.

“Un procedimiento lento, complicado y de final incierto en el momento de gestionar la inclusión de un medicamento huérfano entre las presentaciones del SNS crea incertidumbre entre los gestores de los servicios regionales e incluso entre los prescriptores, lo que genera asimetrías en el acceso entre comunidades autónomas, así como una gestión menos eficaz”, asevera Pineros.

“Del mismo modo -añade-, el número de resoluciones negativas que obtienen los medicamentos huérfanos candidatos a financiación tiene un efecto desincentivador a la hora de priorizar el mercado español en las fases de lanzamiento de nuevos productos. Y cabe recordar que el 90% de los ensayos clínicos de estos productos son promovidos por compañías farmacéuticas”.

Es de suma importancia también que, hoy por hoy, en ningún momento de la evaluación de estos medicamentos participan expertos en la enfermedad rara a la que se dirige el nuevo tratamiento ni las asociaciones de pacientes, por lo que sería conveniente implicarlos en el procedimiento y contar con su asesoramiento.

La recogida de datos de efectividad es especialmente relevante en este tipo de medicamentos, incluso antes de la decisión de financiación, y por ello desde Farmaindustria se aconseja recabar esta información de forma automatizada y digitalizada; que se facilite a los médicos la incorporación de datos y su compartición con otros clínicos, pacientes y compañías farmacéuticas, y que se incluyan datos de pacientes con la enfermedad rara que no estén siendo tratados o que estén en tratamiento con otras opciones terapéuticas, entre otras cuestiones.

Finalmente, y ya en un marco internacional, como es el de la nueva [Estrategia Farmacéutica Europea](#) -que está sometiendo a revisión la regulación de medicamentos huérfanos junto a la de medicamentos pediátricos-, es crucial proteger el sistema de incentivos para no frenar los avances realizados en estas dos décadas y garantizar un marco específico para el fomento de la investigación de estos tratamientos.

Para más información

Correo electrónico: fjfernandez@farmaindustria.es | rgarciadelrio@farmaindustria.es | avigario@farmaindustria.es

Teléfono: 915 159 350

Web: www.farmaindustria.es/web/

