

Farmaindustria propone doce medidas para mejorar el acceso de los pacientes con enfermedades raras a nuevos tratamientos

Diálogo temprano entre Administración y compañías, procedimiento acelerado y establecer un sistema específico para los medicamentos huérfanos que contemple sus especificidades, algunas de las propuestas

En España había 146 medicamentos huérfanos disponibles en 2022, menos de la mitad del total de los autorizados en Europa

“Estos pacientes no pueden esperar a tener toda la evidencia para financiar un medicamento que ya tiene una autorización europea con el balance beneficio-riesgo favorable”, afirma la directora del Departamento de Acceso de Farmaindustria, Isabel Pineros

Madrid, 27 de enero de 2023.- Alrededor de tres millones de españoles conviven con alguna enfermedad rara, patologías que en su mayoría (95%) carecen de tratamiento. En estos casos, la carga social de la enfermedad es grande, tanto para el paciente como para su entorno, y la llegada de un medicamento innovador es muchas veces la única esperanza, especialmente cuando la patología es grave.

Los medicamentos huérfanos, destinados a tratar estas enfermedades poco frecuentes, [fueron reconocidos en Europa en el año 2000](#) con una regulación específica y gracias a ella se ha pasado de ocho medicamentos disponibles en aquel año a 146 autorizados a finales de 2022. Solo el año pasado la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) dio luz verde a 24 fármacos para enfermedades raras, el 41% del total de nuevos principios activos autorizados durante el año.

A pesar de los avances queda mucho camino por recorrer. En España solo están disponibles el 44% de los medicamentos huérfanos que se aprueban en Europa, según el último informe de indicadores de acceso a terapias innovadoras en Europa ([W.A.I.T. Indicator](#)), elaborado por la consultora Iqvia para la Federación Europea de la Industria Farmacéutica (Efpia).

La necesidad de mejorar el acceso de los pacientes españoles con enfermedades raras a nuevos tratamientos es acuciante y por ello Farmaindustria lanza *Propuestas para la mejora del acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos*. Este nuevo documento propone 12 medidas específicas para lograr que los pacientes españoles con enfermedades raras tengan el máximo de oportunidades disponibles para tratarse, en línea con los europeos. Ya en 2022, la industria farmacéutica propuso una [veintena de medidas para mejorar el acceso a los nuevos fármacos](#).

“Los pacientes con enfermedades raras no pueden esperar a tener toda la evidencia para financiar un medicamento que ya tiene una autorización europea con el balance beneficio-riesgo favorable”, afirma la directora del Departamento de Acceso de Farmaindustria, Isabel Pineros. “La industria farmacéutica está dispuesta a asumir parte del riesgo que lleva aparejada la evaluación y financiación de los medicamentos huérfanos. Es el momento de

asumir que estos medicamentos no pueden ser ensayados como los indicados para patologías frecuentes”, añade.

Doce propuestas para mejorar el acceso

Para acelerar la llegada de estos fármacos, la industria propone que se establezca un diálogo temprano con la Administración una vez que el fármaco ha recibido un informe favorable desde la EMA. De esta manera, es crucial conseguir acelerar los procedimientos de manera que la evaluación y financiación no supere los tres meses y los informes de posicionamiento terapéutico no excedan los 60 días.

Otro de los pilares que vertebran las propuestas es la consideración específica de estos medicamentos fuera del sistema convencional. Para ello, se propone la creación de un Comité consultivo externo específico, con la participación de sociedades científicas, asociaciones de pacientes y expertos de prestigio en la patología que analicen las circunstancias de cada fármaco. Se debe atender, propone Farmaindustria, primero a una evaluación terapéutica y después a una económica.

Y es que, en nuestro país los medicamentos huérfanos siguen los mismos procesos de evaluación y autorización que el resto de los fármacos, a diferencia de otros países de Europa donde ya se tienen en cuenta sus circunstancias específicas, como el número de pacientes afectados o la falta de tratamiento alternativo, entre otros factores. En un estudio publicado en *Journal of Rare Diseases* en 2020 se concluyó que el 78% de 32 países de Europa, Canadá y Nueva Zelanda analizados tenían algún enfoque distinto para estos fármacos y reconocían que no podían evaluarse de forma convencional.

En este sentido, Farmaindustria propone un nuevo abordaje que permita mejorar el proceso de evaluación y financiación de los medicamentos huérfanos, teniendo en cuenta el auge de la investigación en este campo. Según el último [balance del Registro Español de Ensayos Clínicos \(REEC\)](#) correspondiente a 2022, en España había en marcha 230 ensayos clínicos con medicamentos huérfanos (87 para niños), una cuarta parte del total. La práctica totalidad de ellos (96%) están impulsados por la industria farmacéutica.

Por otro lado, la escasez de pacientes en estas enfermedades poco frecuentes hace necesario comprender que no se dispondrá de una evidencia científica similar a la de los medicamentos no huérfanos. Así, se propone mejorar los sistemas de recogida de información, con una mayor optimización y automatización que aproveche las oportunidades de la futura Estrategia de Salud Digital. Que tenga en cuenta, además, la medición de resultados en salud e incluya datos de pacientes de la misma enfermedad que no se medican, para valorar la historia natural de la enfermedad.

A la hora de establecer la financiación de cada tratamiento, se propone tener en cuenta, además del coste-efectividad, otros datos relativos a la gravedad de la patología o el valor social del medicamento, esto es, su impacto en indicadores como la productividad laboral o el ahorro en el uso de servicios sociales y sanitarios. Para adoptarla, se proponen modelos de financiación evolutivos que tengan en cuenta, por ejemplo, un techo de gasto, un descuento por volumen o un condicionamiento a la eficacia. En definitiva y al igual que en la mayoría de países europeos, se plantea la necesidad de que los medicamentos huérfanos se sometan a un esquema de financiación especial.

“Estamos en una situación de clara desigualdad respecto a los pacientes de otros países como Alemania, Italia o Francia. Necesitamos abordar de forma específica el acceso a medicamentos huérfanos para conseguir situar a España en una buena posición en el contexto europeo, como ya lo estamos en investigación clínica. Los pacientes de enfermedades raras necesitan que abordemos esta situación entre todos los agentes implicados en el proceso de evaluación y financiación de nuevos tratamientos. La industria farmacéutica está

comprometida en la búsqueda de soluciones para revertir la situación en beneficio de estos pacientes”, concluye Pineros.

- Consulte el documento íntegro de propuestas en [este enlace](#).

Para más información

Correo electrónico: rgarciadelrio@farmaindustria.es | ccastro@farmaindustria.es

Teléfono: 915 159 350

Web: www.farmaindustria.es/web/



