Farmaindustria propone un procedimiento diferente para evitar que los pacientes de enfermedades raras esperen dos años a los nuevos fármacos

El 78% de 32 países de Europa, Canadá y Nueva Zelanda analizados en un informe reciente tienen enfoques específicos para evaluar los medicamentos huérfanos, mientras que en España esto sigue siendo una demanda

Casi la mitad de los nuevos medicamentos huérfanos que se aprueban en Europa no llegan a España, y los que lo hacen tardan una media de 786 días

Farmaindustria presenta en la Real Academia de Medicina de Cataluña el documento actualizado de *Propuestas para la mejora del acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos*

Barcelona, 1 de junio de 2023.- Sufrir una enfermedad rara supone lidiar con una carga añadida a la del resto de patologías. La escasez de opciones terapéuticas es una de ellas, pues sólo el 5% cuenta con algún tratamiento. El desconocimiento de la sociedad, de los propios pacientes, así como la incomprensión en el entorno laboral o incluso familiar son obstáculos añadidos para la vida de estas personas, unos tres millones en España.

En términos de innovación biomédica, los últimos años han sido muy prolíficos. Desde que la Unión Europea reconoció en un reglamento específicamente los medicamentos huérfanos (los que tratan enfermedades poco frecuentes), se ha pasado de contar con ocho a 147 medicamentos autorizados a mayo de 2023. Sin embargo, esa innovación no siempre llega a los pacientes: los últimos datos del *Informe anual de indicadores de acceso a terapias innovadoras en Europa* (*W.A.I.T Indicator*) reflejan que la mitad de medicamentos autorizados en Europa no están disponibles en España. Y los que lo hacen tardan más de dos años —786 días— en llegar a los pacientes en nuestro país.

La necesidad de responder a las demandas de estos pacientes y sus familias, para quienes los nuevos fármacos son muchas veces la única esperanza de tratamiento, es la principal motivación del documento de ***Propuestas para la mejora del acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos***. La actualización de este documento, elaborado por Farmaindustria, se ha presentado este jueves en la Real Academia de Medicina de Cataluña. (RAMC), en virtud del recién firmado convenio entre ambas entidades para promover la difusión del conocimiento en salud y medicamentos.

“En los últimos años se han producido grandes avances en investigación, pero es necesario dar pasos que agilicen la llegada de estos tratamientos a todos los pacientes que lo necesitan y les permitan tener el máximo de oportunidades disponibles para tratarse, en línea con los europeos”, ha subrayado el director general de Farmaindustria, Juan Yermo, en la inauguración de la jornada.

Y es que los pacientes españoles se sitúan en una posición de desventaja frente al entorno europeo, no sólo en términos de acceso —como refleja el *Informe W.A.I.T.—,* sino también de

facilidades burocráticas que se adecúen a las peculiaridades de estos fármacos y las enfermedades que tratan. Según un estudio publicado en 2020 en *Journal of rare diseases*, el 78% de 32 países analizados de Europa, Canadá y Nueva Zelanda, contaba con una propuesta de abordaje diferencial de los medicamentos huérfanos. Estos países reconocen que los enfoques de evaluación convencionales no son los adecuados para valorar tratamientos destinados a enfermedades raras.

Sin embargo, en España no hay un procedimiento especifico de financiación y fijación de precio para los medicamentos huérfanos. "Es necesario establecer un sistema diferente para la llegada de estos fármacos, que contemple las características excepcionales de estos medicamentos, que entienda que los pacientes no tienen, en la mayoría de las ocasiones, alternativas de tratamiento y que elimine obstáculos en la etapa de decisión para que puedan llegar más rápido a los pacientes", ha incidido el director general de Farmaindustria.

Yermo también se ha referido a la necesidad de marcos legislativos estables y que protejan la innovación en el entorno nacional y europeo. "La historia de los medicamentos huérfanos en Europa es un éxito que ha permitido que desde la publicación del Reglamento en el año 2000 se hayan autorizado más de 200 tratamientos para enfermedades raras. El borrador de revisión de la legislación farmacéutica europea reduce incentivos a la investigación y puede perjudicar nuestro objetivo, que es que España y Europa recuperen su posición de líderes en producción e innovación farmacéutica frente a Estados Unidos y China".

Entre las propuestas del documento, que ha detallado la directora de Acceso de Farmaindustria, Isabel Pineros, se contempla el establecimiento de un proceso diferenciado para la evaluación y decisión sobre la entrada al sistema de estos fármacos, que tenga en cuenta sus características peculiares. "Para acelerar la llegada de los tratamientos innovadores a los pacientes con enfermedades raras son necesarios procedimientos de acceso temprano, que cuenten con comités consultivos externos de expertos en la patología y que se sometan a criterios de evaluación transparentes, concretos y adaptados a las características del medicamento y la patología a la que afecta", ha defendido Pineros.

El acto ha sido clausurado por el consejero de Salud de Cataluña, Manuel Balcells, quien ha destacado la importancia de la investigación y la llegada de nuevas terapias en este campo: "Lo que nos preocupa es que todos los pacientes con enfermedades raras tengan las mismas oportunidades de tratarse, vivan donde vivan, y que puedan hacerlo de forma transparente".

La jornada ha contado también con la participación del vicepresidente de la RAMC, Miquel Vilardell; la vicepresidenta de la Federación de Asociaciones Científico Médicas Españolas (Facme), Cristina Avendaño; el presidente del Comité Científico Externo del CIBER-Enfermedades Raras, Josep Torrent; el farmacéutico hospitalario del Hospital Universitario Virgen Macarena, Miguel Ángel Calleja; la gerente del Área del Medicamento del Servicio Catalán de Salud, Caridad Pontes, y el presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (Feder), Juan Carrión.

- Descarga el documento íntegro de *Propuestas para la mejora del acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos*

Para más información:

DEPARTAMENTO DE COMUNICACIÓN DE FARMAINDUSTRIA

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

Teléfono: 915 159 350

Web: www.farmaindustria.es