



Propuestas para la mejora del acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos

Junio 2023

farmaindustria

Índice

01 Objetivo

02 Disponibilidad de los medicamentos huérfanos en España

03 Propuestas para mejorar el acceso de los medicamentos huérfanos

04 Lista de abreviaturas

01

Objetivo

El objetivo final y básico de este documento es contribuir a que los pacientes españoles que padecen enfermedades minoritarias tengan garantizado el acceso a los medicamentos que precisan y, a su vez, el Sistema Nacional de Salud (SNS) cuente con un modelo de toma de decisiones de evaluación y financiación que avale la calidad técnica de las mismas y la integración de todos los factores relevantes y peculiares que caracterizan a estas patologías.

Farmaindustria busca con este documento ayudar a compatibilizar las necesidades de los pacientes, la integración de los mejores criterios técnicos, la participación de todos agentes concernidos y la garantía de sostenibilidad del SNS.

02

Disponibilidad de los medicamentos huérfanos en España

Alrededor de tres millones de españoles padecen enfermedades que, individualmente consideradas, presentan una incidencia muy baja y, además, sólo un 5% de ellas disponen de algún tipo de tratamiento potencial. Por su propia naturaleza, son enfermedades cuyo manejo, diagnóstico y tratamiento merecen una aproximación especializada.

Las autoridades de la Unión Europea reconocieron esta circunstancia cuando en el año 2000 adoptaron una regulación (Reglamento 141/2000) específica para los denominados medicamentos huérfanos (MMHH), que ha dado como resultado en estos veinte años pasar de los 8 fármacos existentes a más de un centenar.

El reconocimiento de las características específicas de estos medicamentos en la normativa española se consolidó en el Real Decreto Legislativo 1/2015, en cuyo artículo 3.3 se contempla la posibilidad de adoptar medidas especiales en relación con los medicamentos huérfanos, en lo que se refiere a su fabricación, importación, distribución y dispensación y, además de las medidas señaladas, las relativas al régimen económico y fiscal de dichos medicamentos.

Indicadores de disponibilidad y tiempos de acceso

Según el informe anual 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 (Efpi), el acceso a medicamentos huérfanos en nuestro país se separa de las tendencias registradas en países de nuestro entorno socioeconómico. El último estudio disponible se realizó sobre medicamentos huérfanos autorizados entre 2018 y 2021 y midió su disponibilidad a 5 de enero de 2023. El resultado es que en nuestro país están disponibles 51 de cada 100 fármacos, mientras que en Francia e Italia están alrededor del 80% y en Alemania, el 90%.

Esta disponibilidad es algo mayor en el caso de los medicamentos huérfanos no oncológicos (52%). Que el 48% no estén financiados en nuestro país significa que hay 21 medicamentos autorizados no disponibles a enero de 2023.

El informe *WAIT* indica el tiempo medio para su disponibilidad en España desde la obtención de la autorización europea, pero, para ser más precisos, se debe tener en cuenta el tiempo medio desde la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (Aemps) — momento en el que la compañía ha comunicado su intención de comercializar en España— hasta su inclusión en el nomenclátor de la prestación farmacéutica. Este tiempo se eleva a 653 días a enero de 2023, lo que significa que no se cumplen los plazos administrativos de 6 meses que recoge la legislación. En el caso de los medicamentos no oncológicos es incluso mayor (680 días).

Adicionalmente, el 48% de los medicamentos huérfanos se han financiado restringiendo la población de pacientes para los que están disponibles con respecto a las condiciones autorizadas. En este sentido, estudios procedentes de otras fuentes coinciden en detectar en España una situación peculiar y restrictiva, en relación con la disponibilidad de medicamentos huérfanos financiados por el SNS.

Esta situación tiene un efecto directo sobre los pacientes que sufren algún tipo de enfermedad rara y sus profesionales sanitarios, que ven limitada su capacidad para ofrecer la mejor asistencia, pero es que además puede desencadenar otras repercusiones negativas registrables. Citaremos dos de ellas.

Primero, en un mercado global, el número de resoluciones negativas que obtienen los MMHH candidatos a financiación tiene un efecto desincentivador a la hora de priorizar el mercado español en las fases de lanzamiento de nuevos productos. De hecho, ya el 14% de los MMHH autorizados en Europa no tienen código nacional en España, es decir, las compañías titulares no han comunicado su intención de comercializarlos en nuestro país.

Segundo, un procedimiento lento, complicado y de final incierto a la hora de gestionar la inclusión de un MH entre las prestaciones del SNS genera incertidumbre entre los gestores de los servicios regionales e incluso entre los prescriptores, especialmente en las



El 48% de los medicamentos huérfanos se han financiado restringiendo la población de pacientes para los que están disponibles con respecto a las condiciones autorizadas

fases inmediatamente posteriores a la aprobación del producto por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) y previas a la decisión de financiación, que conduce a una dispersión de soluciones individuales que crea asimetrías de acceso en los diferentes territorios, así como una ineficaz gestión.

Para contextualizar la situación en el acceso a los medicamentos huérfanos, se repasan brevemente los diferentes aspectos relacionados con la disponibilidad de estos en nuestro país, diferenciando cinco aspectos característicos que se registran en la práctica.



Sólo en el año 2022 se autorizaron 24 nuevos medicamentos huérfanos sobre un total de 59 medicamentos con nuevos principios activos

1. Etapa de autorización de comercialización

En Europa, la regulación específica de los medicamentos huérfanos ha sido muy positiva para el desarrollo de nuevos tratamientos. Considerando que la designación no es permanente, a 30 de mayo de 2023 hay 147 medicamentos huérfanos autorizados en Europa, de los cuales 127 tienen ya código nacional en nuestro país (86%). Sólo en el año 2022 se autorizaron 24 nuevos medicamentos huérfanos sobre un total de 59 medicamentos con nuevos principios activos, lo que supone un 41% del total.

La EMA, cuando autoriza un medicamento, incluidos los huérfanos, considera que cumplen los requisitos de calidad, eficacia y seguridad y exige para ellos la recopilación y presentación de información con posterioridad a la autorización.



Reconocida la importancia de estos medicamentos por todas las Agencias Reguladoras (FDA, EMA...) se utilizan mecanismos regulatorios para dar acceso más rápidamente a los pacientes, recurriéndose a autorizaciones especiales (condicional, acelerada, excepcional) que nunca deberían percibirse como una debilidad, sino como una característica especial, a la hora de tomar decisiones que impacten sobre el régimen de acceso de estos medicamentos.



Según el Registro Español de Estudios Clínicos (REEC), en 2022 había registrados 230 ensayos clínicos de MMHH

España juega un papel relevante en este proceso, con una elevada inversión en ensayos clínicos. Según el Registro Español de Estudios clínicos (REEC), en 2022 había registrados 230 ensayos clínicos de MMHH (87 de ellos en población pediátrica), lo que supone un 25,4% del total de los que se realizan en nuestro país. Teniendo en cuenta las fases, el 55% se corresponden con ensayos clínicos fase I y II y otro 44% se corresponden a ensayos clínicos fase III. En el 96% de los casos, el promotor es comercial, es decir, una compañía farmacéutica. El número de ensayos clínicos de MMHH, respecto del total, se ha incrementado con respecto al 2021 que era de un 22,6%.

Estos datos no pueden juzgarse más que como extraordinariamente positivos para nuestro SNS, puesto que implican la disponibilidad temprana de una alternativa de tratamiento nuevo para pacientes en patologías minoritarias. Adicionalmente, para los especialistas y para el SNS suponen poder ampliar tanto el conocimiento de la historia natural de la enfermedad como el manejo del paciente con una enfermedad rara, así como de los nuevos medicamentos.

Conforme al Real Decreto 1302/2006, por el que se establecen las bases del procedimiento para la designación y acreditación de los centros, servicios y unidades de referencia del SNS, nuestro sistema dispone de Centros Sanitarios y Unidades de Referencia (CSUR) y otros centros asistenciales especializados que posibilitan un tratamiento específico para los pacientes de enfermedades raras. Esta circunstancia, junto con la intensa participación en ensayos clínicos mencionada anteriormente, posibilitan un mejor tratamiento de los pacientes y una fuente de experiencia que no debería despreciarse en las fases de toma de decisiones que impactan sobre el acceso a estos medicamentos.

2. Procedimiento y criterios de financiación

El medicamento huérfano posee unas características particulares por el tipo de patología que trata y su epidemiología. Sin embargo, la evaluación de su financiación acostumbra a llevarse a cabo a través del mismo procedimiento administrativo común que se usa para los demás medicamentos, ya que, a diferencia de otros países de nuestro entorno, en España no hay un procedimiento específico de financiación y fijación de precio para los MMHH.

Se ha mencionado anteriormente que los indicadores internacionales revelan que la situación de España es significativamente peor si se compara con la de nuestros países de referencia en lo que se refiere a las decisiones administrativas que regulan la puesta en el mercado

de estos medicamentos. Los indicadores de tiempo de resolución muestran que habitualmente no se cumplen los plazos administrativos de 180 días que recoge la legislación.

Por otra parte, la ausencia de un procedimiento ágil y eficaz impulsa el recurso a vías alternativas que no fueron diseñadas para este fin, como es el caso de los medicamentos en situaciones especiales, lo cual redundará en más incertidumbre y en ocasiones más inequidad, incluso territorial.

Por último, el proceso actual tiene un alto nivel de opacidad para la compañía titular, lo que genera un efecto desincentivador que podría tener repercusiones negativas para pacientes, profesionales y el propio SNS.

3. Evaluación de medicamentos huérfanos

La aprobación de los MMHH por la EMA establece, por definición, la calidad, eficacia y seguridad de estos fármacos. Este hecho merece ser reconocido en la fase de evaluación dirigida a la toma de una decisión de precio y reembolso.

En estos momentos la participación de expertos en la enfermedad rara a la que se dirige el medicamento y de las asociaciones de pacientes afectados no está incluida en ningún procedimiento. El nodo de enfermedades raras de la Red de Evaluación de Medicamentos (RevalMed) no responde a esta necesidad.



El medicamento huérfano presenta, por su propia naturaleza, limitaciones en cuanto a la evidencia que puede generar en su desarrollo y durante la etapa de autorización de comercialización, como son:

- El reducido (o relativamente bajo) número de pacientes incluidos en los ensayos clínicos, por las propias limitaciones de la epidemiología de la patología.
- Falta de comparador (estudios de un solo brazo) al ser, muy frecuentemente, patologías sin alternativas terapéuticas, salvo que se recurriera a la toma en consideración de fórmulas magistrales o medicamentos sin indicación, lo cual resulta a todas luces desaconsejable y más carente si cabe de evidencia regulatoria.
- Presentación de datos en fases tempranas, debido a la urgencia de disponer de tratamientos para enfermedades raras.
- A pesar de ser características intrínsecas al medicamento huérfano, se observa que generan en los financiadores una valoración incierta de los resultados limitando su aceptación.

4. Sistemas de seguimiento y recogida de información

Hoy en día el sistema de monitorización de pacientes en tratamiento en vida real a nivel nacional, *Valtermed*, permite establecer acuerdos de financiación entre la Administración y la compañía titular. Aunque lleva relativamente poco tiempo en uso, ya se han detectado posibilidades de mejora de esta herramienta.

Los protocolos farmacoclinicos deben ayudar a alcanzar acuerdos de financiación para los MMHH, establecer criterios clínicos para su utilización, cumplir su función en cuanto a predictibilidad y evitar inequidades entre comunidades autónomas.

5. Medicamentos en situaciones especiales

Las autorizaciones en situaciones especiales hacen posible que el medicamento esté disponible, de manera individualizada, en los casos en los que se necesita con urgencia, conforme el Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales. Además, permite que se genere experiencia con los MMHH en vida real antes incluso de la decisión de financiación.

Aunque, teóricamente, esta podría ser una vía alternativa para el supuesto que nos ocupa, en estos momentos la demora crónica en las decisiones de financiación tensiona un procedimiento que se pensó para solicitudes individuales, condición que no concurre cuando es un medicamento destinado a cubrir una laguna terapéutica de una patología poco frecuente. En estas situaciones, resulta muy complicado para el SNS compatibilizar la gestión de solicitudes individuales con las incertidumbres de financiación y, a la vez, evitar distorsiones relevantes sobre la equidad.



Resulta muy complicado para el SNS compatibilizar la gestión de solicitudes individuales con las incertidumbres de financiación y, a la vez, evitar distorsiones relevantes sobre la equidad

03

Propuestas para mejorar el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos

Tras la autorización de comercialización de un medicamento huérfano por parte de la Aemps, es en el Ministerio de Sanidad donde radican las competencias sobre la decisión de financiación y fijación de precio. La designación de MH está definida por la legislación europea en el Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999. En la práctica registrada, la Administración toma en consideración de manera diferente los MMHH en función de lo que valora como necesidades del SNS.

En este documento se propone que los medicamentos para áreas terapéuticas en las que no hay alternativa de tratamiento dispongan de un modelo específico de procedimiento para la toma de decisión de financiación y fijación de precio.

La existencia de este abordaje diferencial en el acceso de MMHH es una realidad en muchos países de Europa, tal y como se recoge en algunas publicaciones¹. En estos estudios se analiza el procedimiento de evaluación (HTA) y se concluye que el 78% de los 32 países de Europa, Canadá y Nueva Zelanda están considerando los medicamentos huérfanos de manera diferente. Fundamentalmente, reconocen que los enfoques de evaluación convencionales pueden no ser adecuados para evaluar el valor de los tratamientos destinados a enfermedades raras.

En otra publicación², se realiza una comparativa a nivel europeo sobre la puesta en funcionamiento de diferentes enfoques de evaluación de valor para medicamentos huérfanos, lo que ha contribuido a diferencias en el acceso de los pacientes europeos con enfermedades raras.

Por tanto, existe abundante evidencia que refrenda la conveniencia de un proceso de acceso específico para estos medicamentos.

¹ Elena Nicod, Amanda Whittal, Michael Drummond and Karen Facey. *Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches*. Orphanet Journal of Rare Diseases (2020).

² Alessandra Blonda, Yvonne Denier, Isabelle Huys and Steven Simoens. *How to Value Orphan Drugs? A Review of European Value Assessment Frameworks*. *Frontiers in pharmacology*.



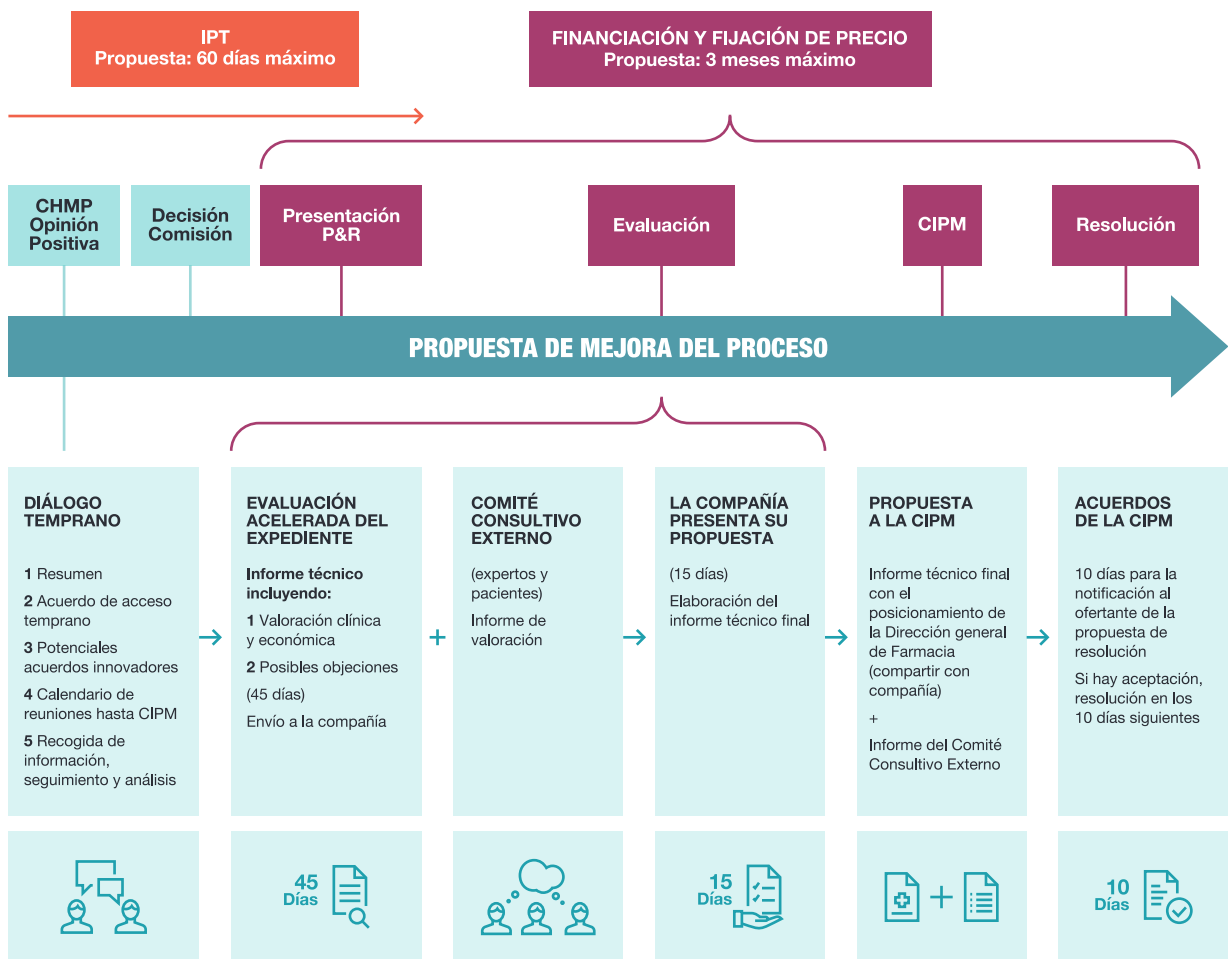


Existe abundante evidencia que refrenda la conveniencia de un proceso de acceso específico para estos medicamentos

Y es esta realidad la que inspira la siguiente propuesta de modelo que en modo alguno supone una aproximación privilegiada respecto de otros medicamentos, sino simplemente la integración en la toma de decisiones de las peculiaridades propias de los MMHH.

Antes de enumerar las propuestas concretas, se incluye un diagrama que recoge algunos de los aspectos más relevantes del procedimiento:

PASOS ACTUALES DEL PROCEDIMIENTO DE EVALUACIÓN Y FINANCIACIÓN DE LOS MMHH EN ESPAÑA



Primera:

Desde el momento en que un laboratorio tiene la opinión positiva del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) para un medicamento huérfano y comunica su intención de comercializarlo en España, se establecería un **diálogo temprano** con la Administración. Para ello, se definiría un calendario de reuniones hasta el momento en el que el expediente se someta a la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM), lo que daría predictibilidad, confianza y transparencia al proceso de evaluación.

Contenido de este diálogo temprano sería:

- La consideración de la necesidad no cubierta, la propuesta de valor del producto, la epidemiología y perfiles de pacientes y el impacto presupuestario estimado.
- El acuerdo de acceso temprano para los casos excepcionales que recoge la legislación, conforme el Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales. Por tanto, se reconocería la posibilidad de acuerdos provisionales (condicionados al resultado final del procedimiento).
- En los casos en los que sea posible, la consideración adelantada de los potenciales enfoques innovadores con acuerdos de riesgo compartido o de carácter económico-financiero.

Segunda:

Se propone un **procedimiento de evaluación de financiación acelerada**, como respuesta cabal a la necesidad no cubierta a la que vienen a atender estos medicamentos.

Este debe conducir a una toma de decisión en un periodo de tiempo no superior a los tres meses desde el inicio del procedimiento de financiación y fijación de precio.





Se propone la adopción de criterios concretos de financiación para MMHH

Tercera:

Tal y como ha quedado señalado en el análisis del contexto que se hace en este documento, los medicamentos huérfanos presentan peculiaridades que se extienden a su evaluación científica, clínica y económica.

Al objeto de garantizar que dicha especificidad se incluye en el proceso de toma de decisiones y sin querer entrar en otras disposiciones dirigidas a ordenar la evaluación clínica y farmacoeconómica de los expedientes de precio y reembolso, se propone la creación de un **Comité consultivo externo** específico, que incluya a sociedades científicas, asociaciones de pacientes y expertos de reconocido prestigio en la patología con el objetivo de garantizar que en el análisis no se omite ninguna de las específicas circunstancias, de distinto tipo, que concurren en cada uno de estos medicamentos.

Dicho Comité elaborará un informe con sus conclusiones, que se presentará a la CIPM junto con el resto de documentación. También podrá prestar asesoramiento puntual y específico en caso de ser requerido por la propia CIPM.

Cuarta:

Se propone la adopción de **criterios concretos de financiación** para MMHH. Estos deberían tener en cuenta las especificidades reiteradamente mencionadas y deberían ser diseñados para conciliar el valor aportado a los pacientes con la preocupación de la Administración por acomodar el coste del tratamiento.

Además de ser públicos y conocidos, deberían superar la simple aproximación basada en el impacto presupuestario y el coste-efectividad como criterios de financiación, ya que el propio Real Decreto Legislativo 1/2015 incluye otros, como la gravedad de la patología, las necesidades de determinados colectivos y el valor social del medicamento.

Asimismo, como recoge en sus conclusiones el documento elaborado por la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del Instituto de Salud Carlos III sobre criterios de financiación y reembolso de los medicamentos huérfanos, el criterio de eficiencia no es, ni debe ser, el único ni principal para decidir la financiación pública de estos medicamentos. Ya se están introduciendo nuevos instrumentos de financiación y debatiendo distintos esquemas de decisión multicriterio para ayudar a conciliar las preferencias sociales con la sostenibilidad del sistema sanitario³.

Este mismo enfoque que se propone debería ser el que inspire las potenciales revisiones de las condiciones de financiación y fijación de precio que, legítimamente, deberían efectuarse con base en la explotación de los resultados en vida real, así como a la vista de nuevas evidencias disponibles con posterioridad a su inclusión en la prestación farmacéutica.

³ Zozaya N., Villoro R., Hidalgo Á., Sarría A. Criterios de financiación y reembolso de los medicamentos huérfanos. Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (AETS). Instituto de Salud Carlos III - Ministerio de Economía y Competitividad.

Quinta:

Establecer criterios para la definición de **modelos longitudinales de financiación**, que contemplen la realidad del precio y financiación no sólo como una decisión puntual, sino como un proceso evolutivo retroalimentado, flexible y versátil, lo que puede permitir acomodar la sofisticación del medicamento con el sistema anual contable de las Administraciones sanitarias.

Por ello:

- En casos de incertidumbre en la epidemiología y, por tanto, en el impacto presupuestario que el nuevo MH puede suponer para la Administración, valorar acuerdos financieros como el techo de gasto, el descuento en función del volumen requerido u otros similares.
- En casos de incertidumbre en cuanto a la eficacia aportada por el nuevo MH, valorar un esquema de pago fragmentado en el tiempo o condicionado a la materialización de hitos de eficacia a lo largo del tiempo.

Sexta:

Respecto al **análisis de la evidencia clínica** que se realiza en el proceso de financiación, es fundamental comprender y aceptar las especificidades y limitaciones de los MMHH en cuanto al nivel de los datos que, por su propia naturaleza, pueden aportar. Puede resultar imposible reclutar en Europa, en un tiempo aceptable, el número de pacientes necesarios para obtener el nivel de significación habitualmente perseguido en otros medicamentos. Por otra parte, es muy frecuente la ausencia de comparadores al tratarse del primer tratamiento en una determinada patología. En estos casos el comparador a elegir puede ser simplemente un tratamiento de soporte.

Aceptando esto, se propone adoptar criterios de evaluación transparentes, concretos y rigurosos, adaptados a las particularidades de estos medicamentos y que definirán qué se debe incluir en el dossier de valor.

En esta evaluación clínica es importante incorporar toda la información disponible hasta el momento, incluyendo la evidencia que se pudiera haber generado después de la realización de los ensayos en la fase de autorización.



Es fundamental comprender y aceptar las especificidades y limitaciones de los MMHH en cuanto al nivel de los datos que, por su propia naturaleza, pueden aportar

Séptima:

La **evaluación farmacoeconómica** debería integrar la especial naturaleza de las enfermedades objetivo de estos medicamentos que, por lo general, producen una elevada carga social derivada de las necesidades de cuidados personales, pérdidas de productividad laboral y de calidad de vida para el paciente y su entorno afectivo. Por tanto, es necesario superar la aproximación simplista del impacto presupuestario e integrar la perspectiva social, así como los costes indirectos en los análisis farmacoeconómicos.

La mayor parte de los medicamentos huérfanos difícilmente resultarían coste-efectivos en base al umbral tradicional de aceptabilidad utilizado para medicamentos dirigidos a enfermedades prevalentes. Por otro lado, la sociedad no considera que el criterio de eficiencia deba ser el predominante a la hora de justificar la financiación y acceso de un medicamento huérfano o ultra-huérfano, argumentando razones como la justicia social y la equidad, entre otras⁴.

Existe una primera **guía metodológica de evaluación económica aplicada a medicamentos huérfanos**, elaborada con la colaboración del grupo de expertos Radeev, que debería ser una referencia a tener en cuenta en la evaluación farmacoeconómica de MMHH⁵.

⁴ Drummond MF, Wilson DA, Kanavos P, Ubel P, Rovira J. *Assessing the economic challenges posed by orphan drugs*. Int J Technol Assess Health Care. Winter 2007;23(1):36-42.

⁵ <https://weber.org.es/publicacion/guia-metodologica-de-evaluacion-economica-aplicada-a-medicamentos-huerfanos>.

⁶ https://gruposdetrabajo.sefh.es/orpharsefh/images/stories/documentos/Manual_MCDA_Orphar_SEFH_060520.pdf.

⁷ Guarga, L., Badia, X., Obach, M. et al. *Implementing reflective multicriteria decision analysis (MCDA) to assess orphan drugs value in the Catalan Health Service (CatSalut)*. Orphanet J Rare Dis 14, 157 (2019). <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1121-6>.

Por su parte, el Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos, de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar-SEFH) ha elaborado un **manual para el desarrollo de un informe de evaluación de medicamentos huérfanos**, usando metodología de Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA, acrónimo de su definición en inglés)⁶, que también es de interés.

A nivel regional, el Servicio Catalán de Salud (CatSalut) fue elegido para poner en marcha un proyecto piloto destinado a probar la utilidad del MCDA. A raíz de los resultados positivos que ofreció este marco, se introdujo el MCDA en el Plan del CatSalut 2016-2020⁷.

Como conclusión, es importante que para los medicamentos huérfanos primero se realice la evaluación terapéutica y posteriormente la evaluación económica.



Octava:

En relación con los **Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT)**, no es objeto de este documento realizar una propuesta general sobre los mismos. Ni siquiera en relación con la últimas y relevantes modificaciones en su procedimiento que se han adoptado en los últimos meses. No obstante, teniendo en cuenta el interés de estos medicamentos, el IPT debería realizarse en un plazo máximo de 60 días desde el inicio acordado en la reunión del grupo coordinador.

Sí se propondría que en su elaboración se recogieran las consideraciones relativas al **análisis de la evidencia** que se han hecho anteriormente en el punto sexto.

Si se continuara considerando la necesidad de hacer una evaluación económica en el IPT —especialmente difícil en este tipo de medicamentos por la falta habitual de comparador disponible—, sería recomendable que se realizara una vez determinado el precio de financiación para evitar escenarios artificiales de evaluación económica teórica.

Novena:

Como consecuencia de los argumentos aportados en el presente documento, resulta evidente que la recogida de datos de efectividad sea especialmente relevante en este tipo de medicamentos.

Por esa razón, los **sistemas de recogida de información** de efectividad de tratamientos deberían:

- Estar optimizados y automatizados para evitar la gestión manual de datos e integrar todas las oportunidades que se derivan de la implantación de la futura Estrategia de Salud Digital, con el objetivo de constituirse en la base de una sólida estructura de captura de evidencia basada en la realidad registrada.
- Facilitar a los médicos la incorporación de datos, revisando la necesidad del número de variables recogidas, mejorar los soportes tecnológicos y revisar los tiempos de seguimiento para evitar prolijidades irrelevantes.
- Poder compartir la información con clínicos, pacientes y laboratorios, dando transparencia a la herramienta.
- Soportar la validación del análisis de los resultados por un comité de seguimiento formado por la Administración y el laboratorio titular. En caso necesario, contar con el asesoramiento de un experto clínico en la patología.
- Recoger datos durante los procedimientos de autorización en situaciones especiales (mencionado en la primera propuesta de este documento) que puedan aportar más certidumbre en la decisión de precio y reembolso, disponiendo de datos reales de uso en población española.



Si se continuara considerando la necesidad de hacer una evaluación económica en el IPT sería recomendable que se realizara una vez determinado el precio de financiación

- Incluir datos provenientes de pacientes de esa enfermedad rara que no estén siendo tratados, al objeto de poder obtener la mayor evidencia posible sobre la historia natural de la enfermedad para su comparación con los datos obtenidos de los estudios clínicos.
- Del mismo modo, a efectos de comparabilidad de efectividad en vida real, recoger datos de los pacientes de enfermedades raras que estén siendo tratados con otras opciones terapéuticas, incluyendo otros tratamientos no autorizados o alternativas paliativas o de soporte para la patología objeto de estudio.

Décima:

Cuando se opte por la adopción de **protocolos farmacoclinicos**, los mismos deberían:

- Constituirse en herramientas de gestión efectiva de los MMHH.
- Contemplar la especificidad de los MMHH como base para reforzar el criterio clínico y los resultados comunicados por los pacientes, los llamados PROM (*Patient Reported Outcomes Measurement*), especialmente relevantes dada la dificultad en la realización de ensayos clínicos en estas enfermedades utilizando los parámetros habituales de eficacia⁸.
- Incluir a los clínicos expertos en la patología en la elaboración del protocolo.
- Ser sencillos, ágiles, de fácil aplicación y estar disponibles antes del acuerdo de financiación, y ser coherente con él.
- Ser dinámicos, incorporando paulatinamente las evoluciones que se registren en el manejo de la patología.

⁸ Katy Benjamin, Margaret K Vernon, Donald L Patrick, Eleanor Perfetto, Sandra Nestler-Parr, Laurie Burke. *Patient-Reported Outcome and Observer-Reported Outcome Assessment in Rare Disease Clinical Trials: An ISPOR COA Emerging Good Practices Task Force Report*. Value Health. Jul-Aug 2017;20(7):838-855. doi: 10.1016/j.jval.2017.05.015.



Undécima:

Un medicamento huérfano debe estar sometido a un **esquema de financiación especial**, por lo que no debe incluirse junto con otros medicamentos que carecen de estas peculiaridades en el sistema de precios de referencia.

Duodécima:

Los MMHH y las patologías a las que se destinan por su baja prevalencia y nivel de especialización suponen el tratamiento en centros de referencia o CSUR, junto a la concentración territorial de las incidencias epidemiológicas derivadas de la raíz genética de alguna de estas patologías, aconseja que en el seno del Consejo Interterritorial del SNS se apruebe un **procedimiento específico de financiación de derivaciones**, con el objetivo de equilibrar el impacto asistencial que generan estos medicamentos en las comunidades autónomas.



Un medicamento huérfano debe estar sometido a un esquema de financiación especial



04

Lista de abreviaturas

AEMPS	Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
CIPM	Comisión Interministerial Precios de los Medicamentos
CHMP	Comité de Medicamentos de Uso Humano
CSUR	Centros, Servicios y Unidades de Referencia
DGCSF	Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia
EMA	Agencia Europea de Medicamentos
HTA	Evaluación de tecnologías sanitarias
IPT	Informe de Posicionamiento Terapéutico
MCDA	Análisis de Decisión Multi-Criterio
MMHH, MH	Medicamentos Huérfanos, Medicamento Huérfano
PROM	Patient Reported Outcome Measurement (Resultados Reportados por los Pacientes)
REEC	Registro Español de Estudios Clínicos
RevalMed	Red de Evaluación de Medicamentos
SNS	Sistema Nacional de Salud
Valtermed	Sistema de Información para determinar el Valor Terapéutico en la Práctica Clínica Real de los Medicamentos de Alto Impacto Sanitario y Económico en el SNS

farmaindustria

Innovamos para las personas