

Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos



*Prof. A. Domínguez-Gil Hurlé
Hospital Universitario de Salamanca
Servicio de Farmacia*

e-mail: adgh@usal.es

Valencia, 23 de Octubre de 2008



Medicamentos huérfanos: plan de gestión de riesgos y reto económico

SIMPOSIUM SATÉLITE
53 CONGRESO NACIONAL DE LA SEFH

JUEVES,
23 de octubre de 2008

Palacio de Congresos
VALENCIA

Hora: 14.30 h
Sala de comisiones 3+4

ALEXION
Prima Scan



EURORDIS

European Organisation for Rare Diseases



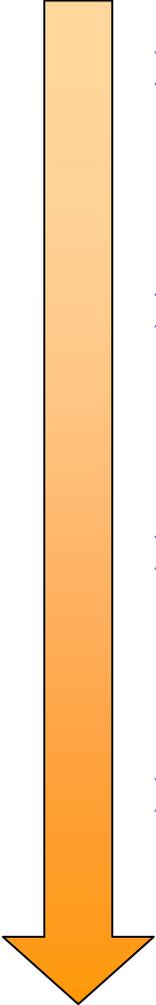
- [Página Principal](#)
- [Boletín](#)
- [Haga una donación](#)
- [Pagos Online](#)
- [Contacte](#)
- [Conseguir ayuda](#)
- [Agrandar el texto](#)

Las enfermedades raras en la agenda durante la presidencia francesa de la UE (10-08)

En el comité de seguimiento del plan nacional francés de enfermedades raras 2005-2008, la ministra francesa de Sanidad declaró oficialmente que las enfermedades raras son una prioridad de salud pública de la presidencia francesa de la Unión Europea. La ministra subrayó que Francia apoyará la aprobación de la comunicación de la comisión sobre enfermedades raras por parte del Consejo de Ministros durante la presidencia francesa.



Antes de 1983 casi no existían tratamientos para las Enfermedades Raras



- **1983 USA Orphan Drug Act**

- **Financiación, reducción de tasas, exclusividad de mercado.**

- **1993 Japan Amendments**

- **Financiación, reducción de tasas, incentivos comerciales.**

- **1999 Australia Additions to Therapeutic Goods**

- **Financiación, reducción de tasas, exclusividad de mercado.**

- **2000 European Union Regulation**

- **Financiación, exclusividad de mercado por 10 años.**



Apoyo europeo a las Enfermedades Raras

- **Programa de acción de la Unión Europea en Enfermedades Raras (1999-2000) con los siguientes objetivos.**
 - **Asegurar un alto nivel de protección a la salud para los ciudadanos europeos en relación a las Enfermedades Raras.**
 - **Mejorar el conocimiento y facilitar el acceso a la información sobre Enfermedades Raras.**

- **Prioridad de la salud pública en la Unión Europea. Programa 2003-2008 con los siguientes objetivos:**
 - **Promover la información y el conocimiento para la mejora de la salud pública**
 - **Promover la capacidad de respuesta y la coordinación para mejorar la salud pública.**



¿Qué es una Enfermedad Rara?

➤ Definida por prevalencia en la población.

- **Australia: afecta a menos de 2.000 personas (1:9.090)**
- **EE.UU.: afecta a menos de 200.000 personas (1:1.333)**
- **Japón: afecta a menos de 50.000 personas (1:2.000)**
- **Europa: afecta a menos de 185.000 personas (1:2.000)**
- **Canadá: sin estándar oficial.**
- **Afecta a 6% - 8% de la población (Eurordis) o más del 10% (EE.UU.)**
- **En Europa afectan a 20-25 millones de ciudadanos.**



Enfermedades raras y medicamentos huérfanos

Enfermedades raras

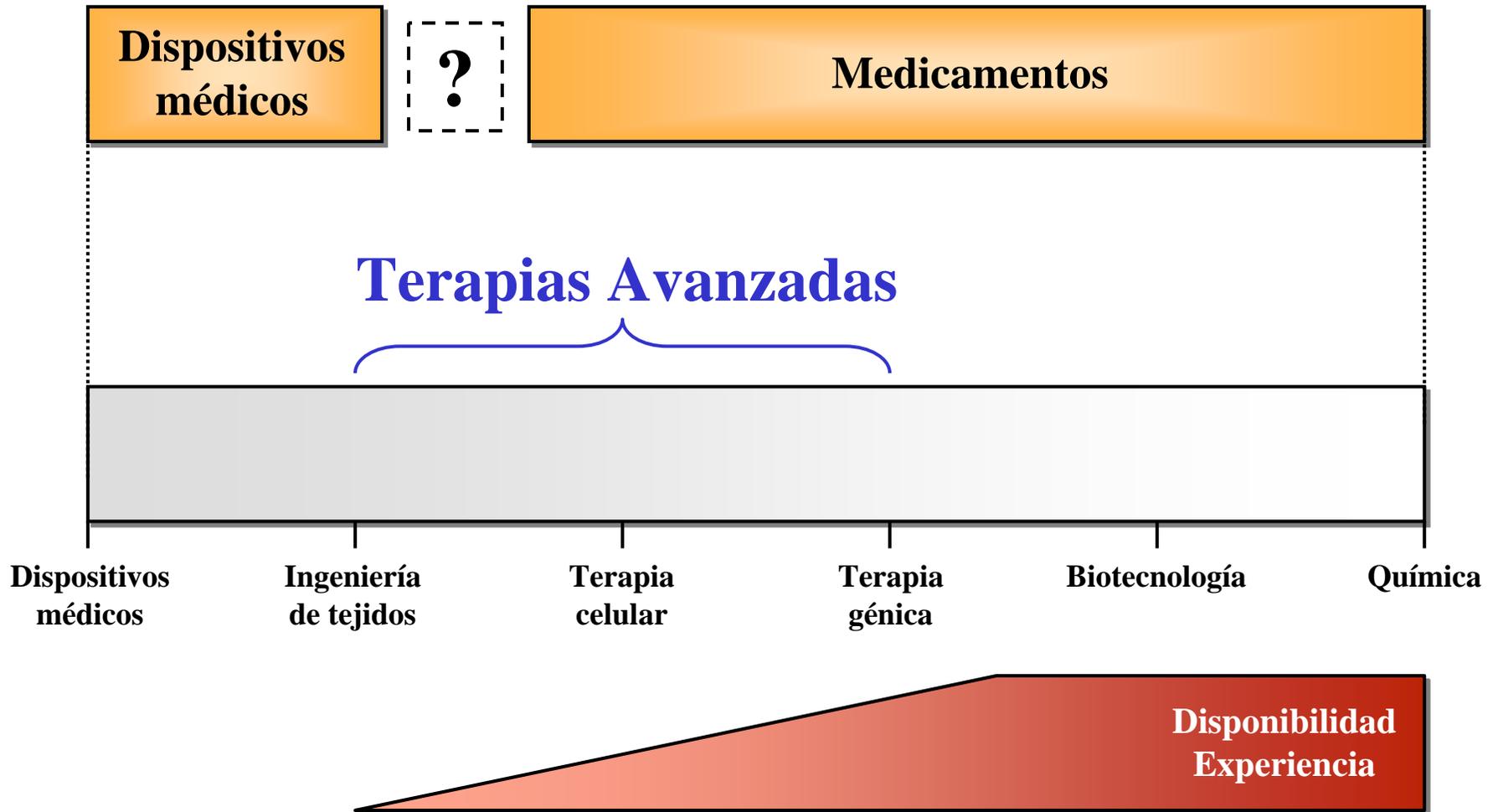
- **De 5.000 a 6.000 (NIH): de 5.000 a 8.000 (Eurordis).**
- **Aproximadamente el 80% enfermedades de origen genético.**
- **Otras: infecciones, alergia, cáncer, terapia sustitutiva.**
- **15-20% afectan sólo a niños.**
- **55% afectan a niños y adultos.**
- **> 85% son graves o comprometen la vida del paciente.**

Medicamentos huérfanos

- **Aproximadamente el 30% son medicamentos biológicos.**

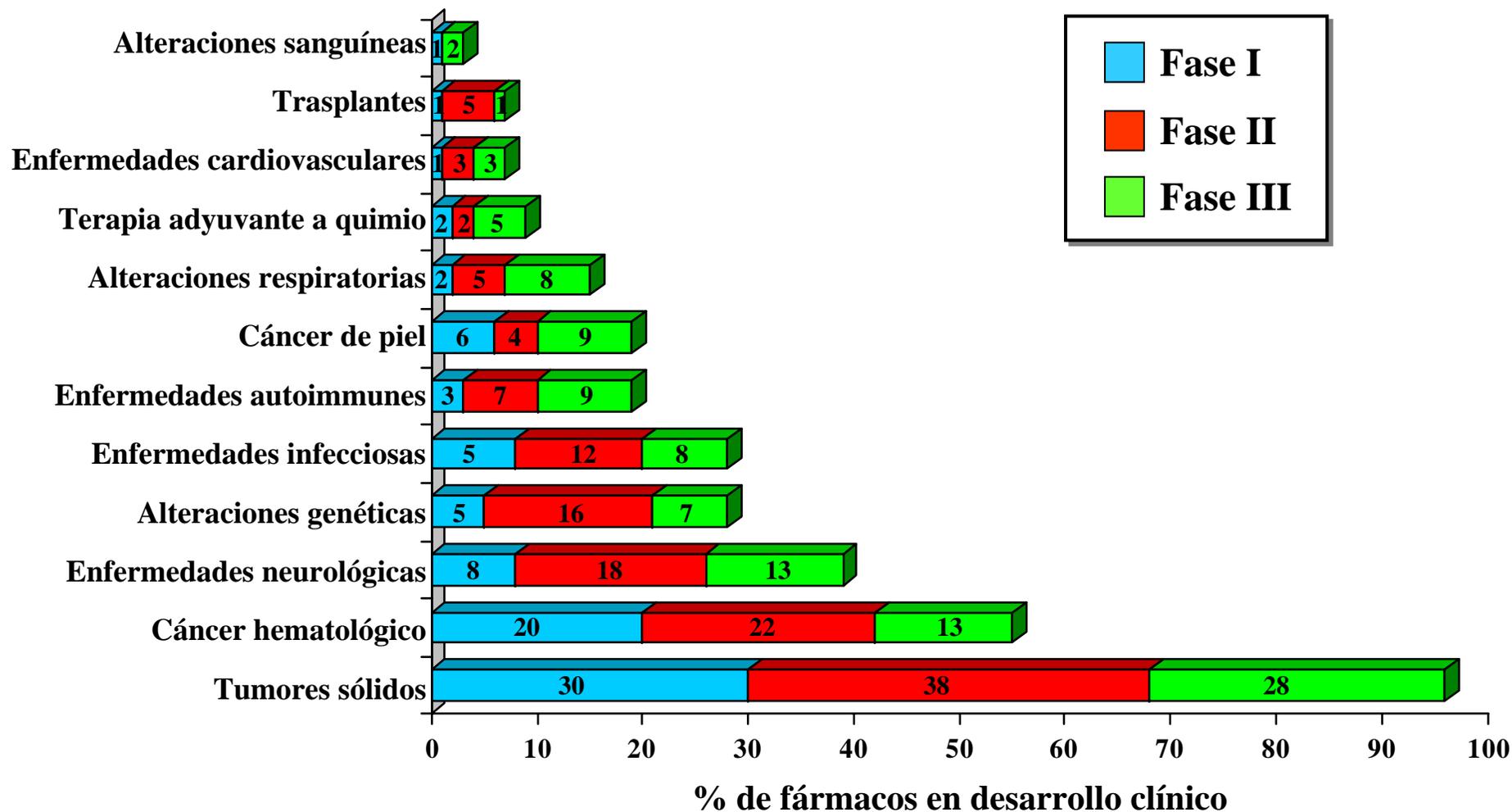


La terapéutica en los inicios del siglo XXI



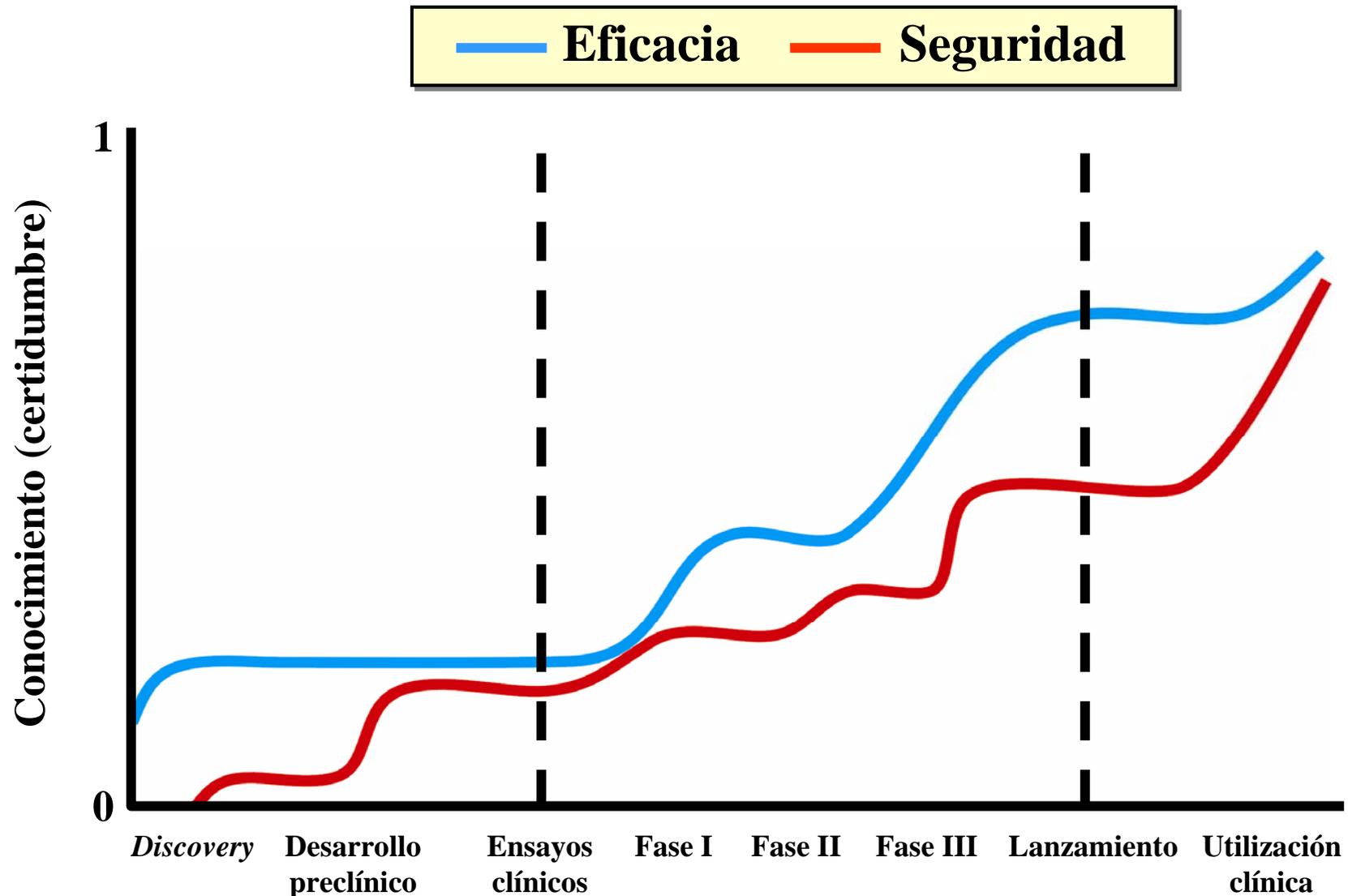


Medicamentos huérfanos en desarrollo





Grado de conocimiento sobre la eficacia y seguridad de los medicamentos

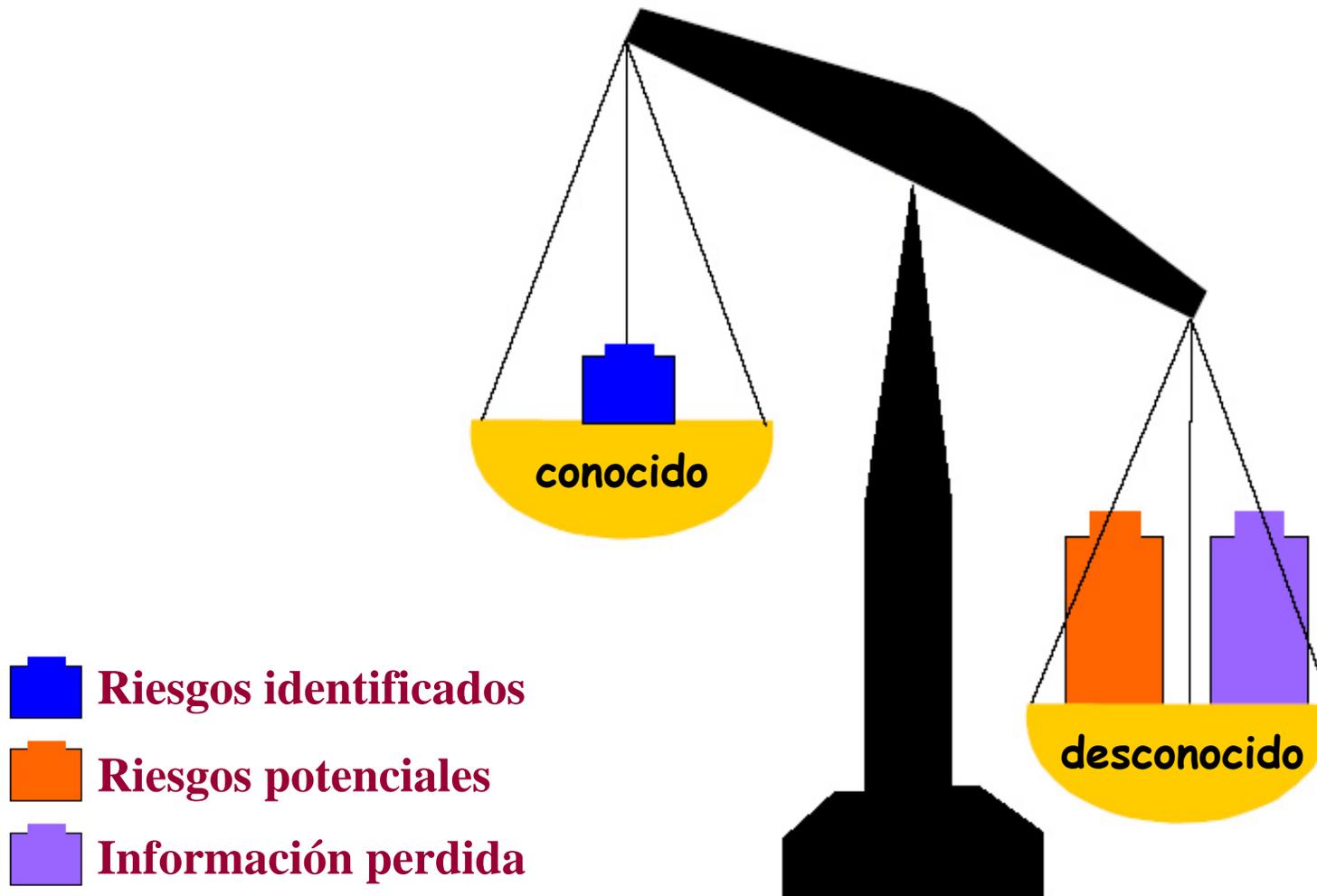




“Es poco realista pretender que es posible eliminar por completo «el riesgo del riesgo» que conlleva el desarrollo y consumo de medicamentos. La paradoja de los medicamentos, que pueden curar o que pueden causar un gran daño, exige que se conozcan sus propiedades y que se utilicen con seguridad”

Henri R. Manasse, 2001

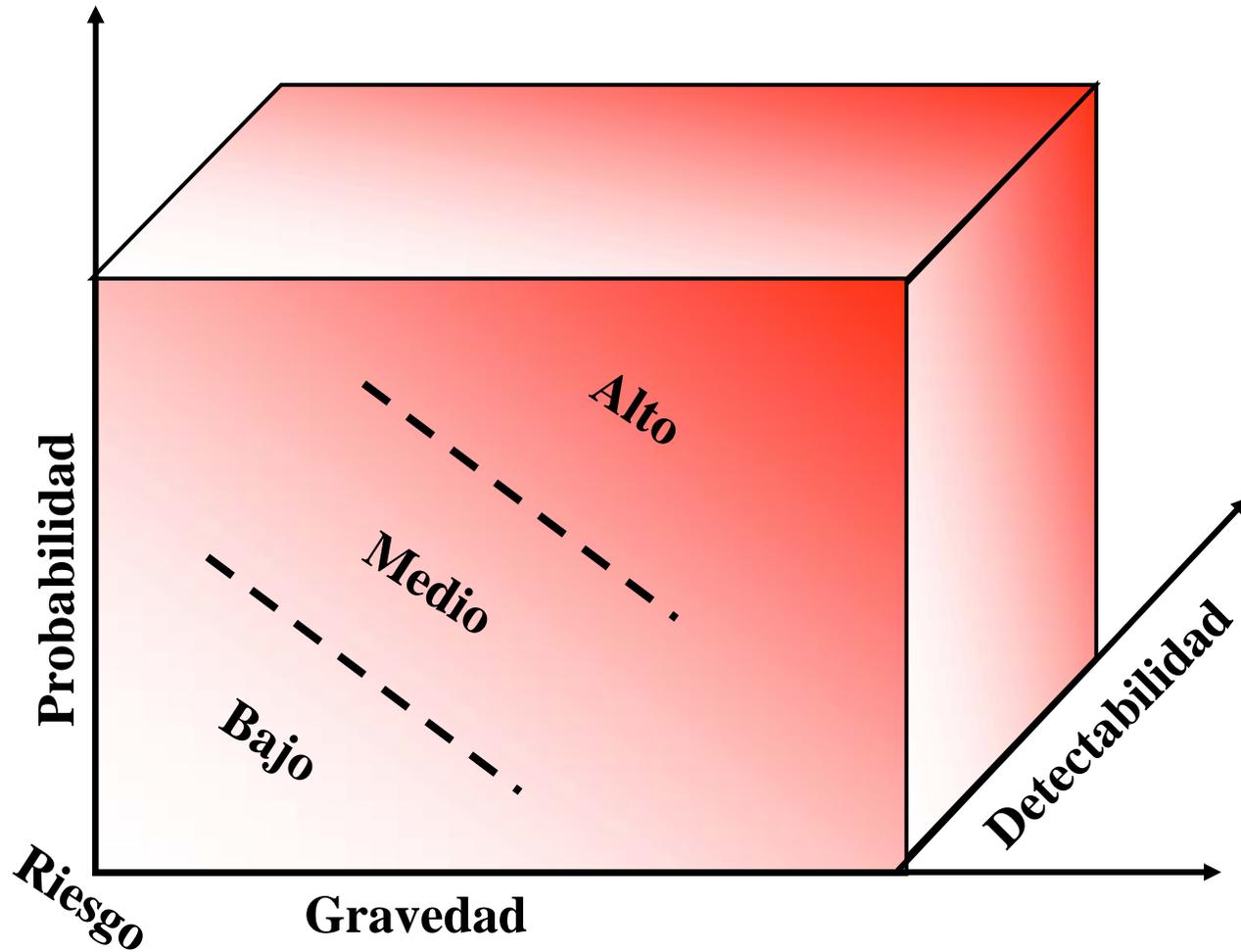
Situación sobre seguridad en el momento de la autorización de un medicamento





The “risk-based approach”

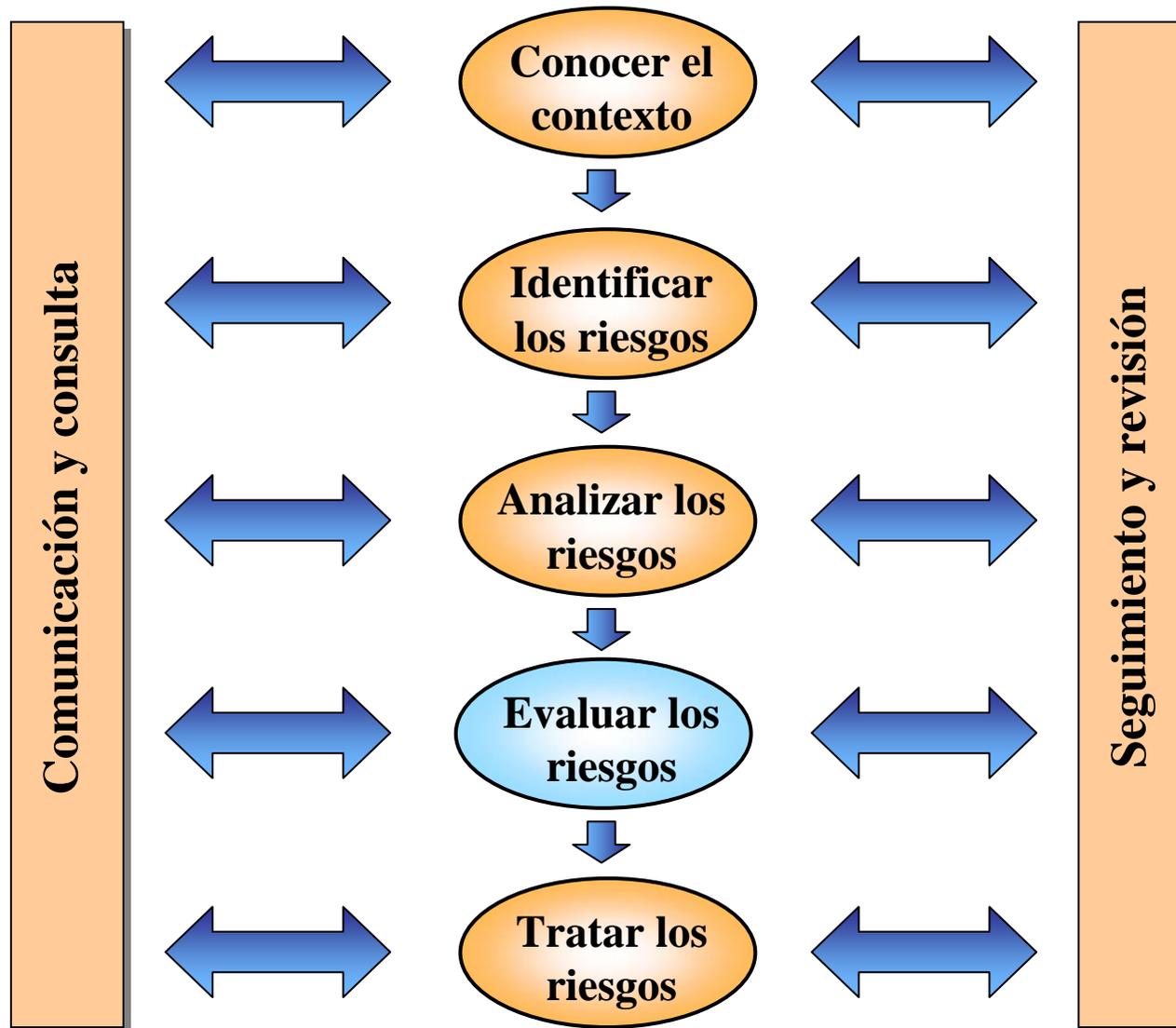
Parámetros de riesgo





Modelo de gestión de riesgos clínicos

Australian Patient Safety Foundation





The need for a risk management

- New marketing authorisation involving:
 - New active substance
 - A similar biological medicinal product
 - Generic/hybrid where safety concern requiring additional risk minimisation activities has been identified with reference medicinal product
- Significant changes to Marketing Authorisation (unless agreed not needed)
 - New pharmaceutical form
 - New route of administration
 - Significant change in an indication/patient population
- On request from a Competent Authority
- On company initiative e.g. safety issue with a marketed medicines
- Update to previous EU-RMP



The Risk Management System

- Guideline on Risk Management Systems for Medicinal Products for Human Use (Doc. Ref. EMEA/CHMP/96268/2005)
- « a set of pharmacovigilance activities and interventions designed to identify, characterise, prevent or minimise risks relating to medicinal products, including the assessment of the effectiveness of those interventions »

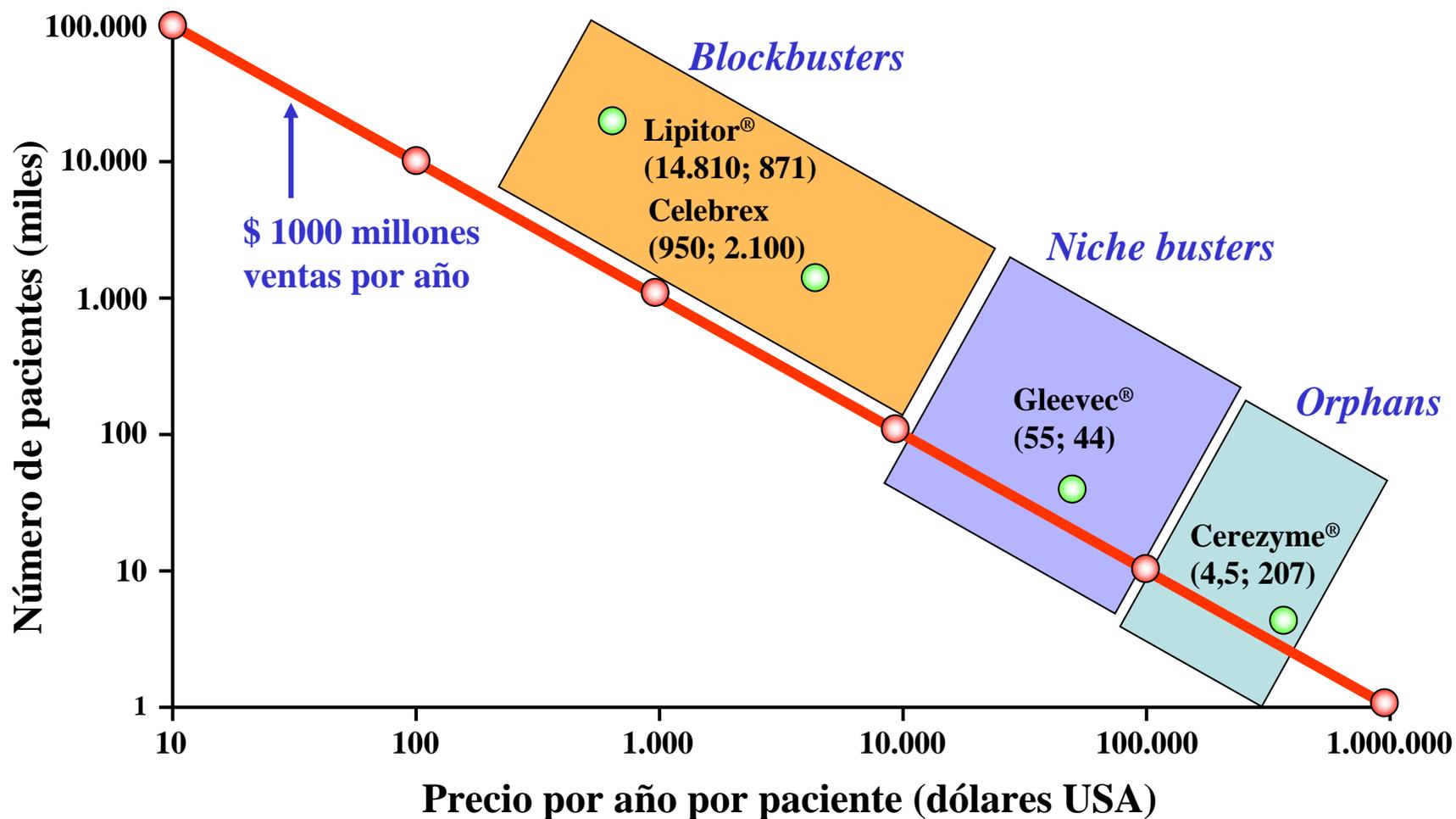


El coste de los medicamentos huérfanos puede alcanzar el 6-8% del gastos de medicamentos en la Unión Europea en 2010

**Alcimed, Study on Orphan Drugs
For European Commision, 2004**



Número de pacientes vs precio medio anual





Las Comisiones de Farmacia y Terapéutica de los Hospitales deberán valorar la posible incorporación de medicamentos biotecnológicos a la Guía Farmacoterapéutica:

- 1. Resultados procedentes de ensayos clínicos controlados.**
- 2. Opinión de los prescriptores y de otros especialistas.**
- 3. Características técnicas (etiquetado, acondicionamiento, etc.)**
- 4. Valoración de los ensayos clínicos (población, indicaciones, etc.)**
- 5. Implicación del laboratorio en el programa de gestión de riesgos.**
- 6. Planificación de la trazabilidad.**
- 7. Coste de adquisición (coste-efectividad).**



El farmacéutico de hospital y los medicamentos huérfanos

- **Todo paciente bien informado responde mejor al tratamiento farmacológico.**
- **El paciente bien informado está más protegido frente a los errores de medicación.**
- **“Pharmacists helping people make the best use of medicines”**



**The American Society of
Health-System Pharmacists (2007)**



*Muchas gracias por
vuestra atención*

*Solicitud de copias de esta presentación en:
adgh@usal.es*