



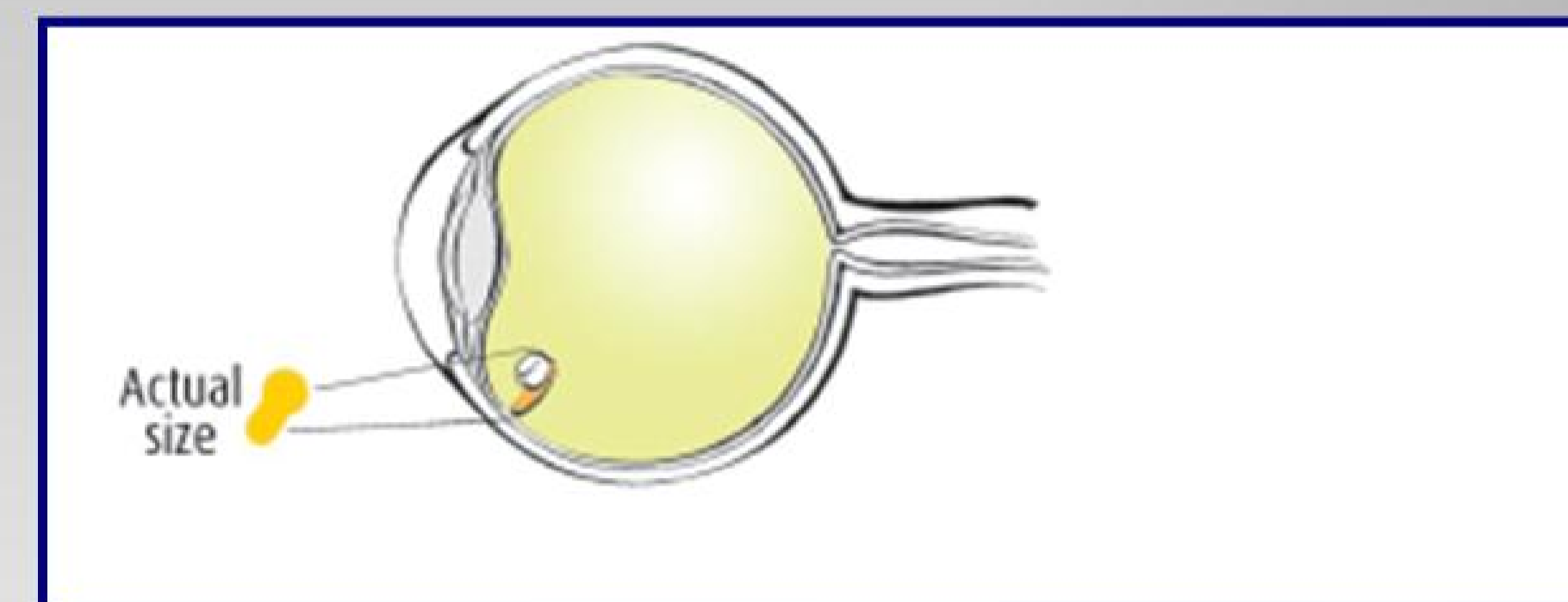
# ACCESIBILIDAD A MEDICAMENTOS EN LA UE EN EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA: A PROPÓSITO DE UN ESCENARIO CLÍNICO

Carmona Ibáñez G, Navea Tejerina A, García Pous M.

Servicio de Farmacia. Fundación Oftalmológica del Mediterráneo. Valencia.

## INTRODUCCIÓN

Los pacientes con enfermedades raras deben ser tratados la mayoría de las veces con los llamados medicamentos huérfanos. A pesar de que las autoridades sanitarias protegen e incentivan el desarrollo de estos medicamentos, en ocasiones su complicada accesibilidad retrasa lamentablemente el tratamiento de estos pacientes.



## OBJETIVO

Análisis de la gestión farmacéutica realizada en la adquisición de un implante intravítreo de acetónido de fluocinolona (medicamento huérfano) para el tratamiento de la uveítis crónica no infecciosa idiopática (enfermedad rara).

## MATERIAL Y MÉTODOS

Se presenta el escenario clínico según la metodología **PICO** (Paciente, Intervención, Comparación, Outcome o resultado).

**Paciente:** paciente de 40 años afectado de uveítis crónica no infecciosa bilateral idiopática, con grave afectación visual (ojo derecho 20% de visión, ojo izquierdo 16% de visión), además de afectación vascular y edema macular.

**Intervención:** tratamiento con prednisona y ciclosporina oral, al no obtener mejoría se añadió metotrexate oral, ante nula respuesta se inicia tratamiento con acetónido de triamcinolona intravítrea en ambos ojos. Al no observarse mejoría se tramita el uso compasivo de adalimumab sc, 1 administración mensual durante 12 meses. No se observan cambios en la evolución clínica.

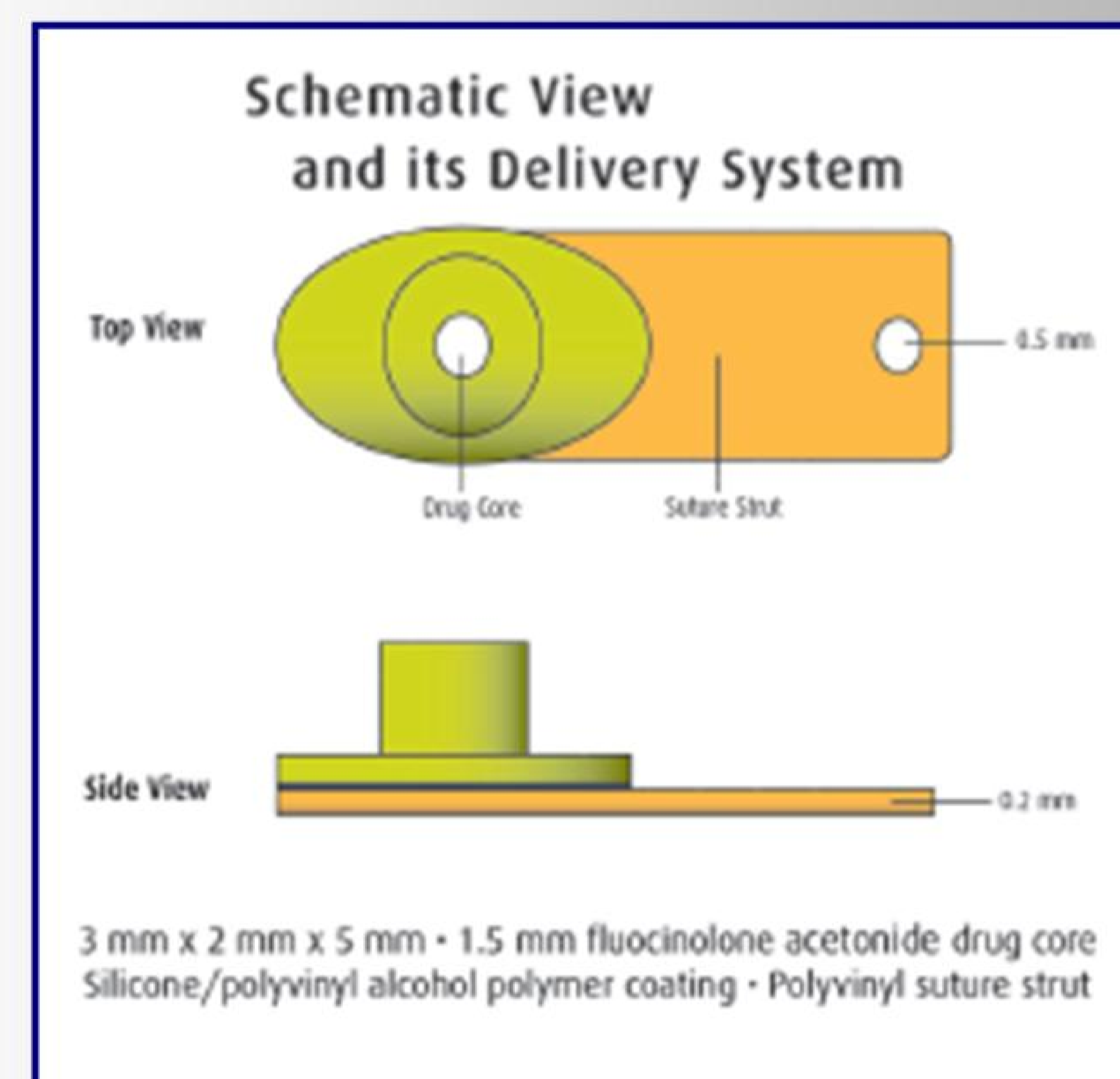
**Comparación:** tratamiento con un implante intravítreo de acetónido de fluocinolona.

**Outcome:** disminución de la vasculitis y mejoría de la visión.

Tras el análisis del escenario clínico surge la pregunta sobre la accesibilidad al implante intravítreo de acetónido de fluocinolona: ¿Qué trámites burocráticos son necesarios?

\* Actuaciones:

- Se realizó una búsqueda bibliográfica en MEDLINE (oct-07 a nov-08) de los estudios clínicos publicados.
- Se calculó el tiempo medio de resolución de las solicitudes de uso compasivo hasta su adquisición de las solicitudes tramitadas durante el período de tramitación del implante (oct-08 a feb-09).
- Se revisaron las páginas web de la AEM, EMEA y FDA.



## RESULTADOS

- Se encontraron 10 artículos publicados: 3 EC multicéntricos controlados y randomizados, 1 estudio con 10 pacientes y 2 revisiones sobre seguridad y eficacia.
- El tiempo medio de adquisición de un medicamento por uso compasivo en nuestro centro fue de  $19.7 \pm 6.2$  días (10 solicitudes). Para el implante de acetónido de fluocinolona fue de 95 días, resultado de la petición como medicamento extranjero, después como uso compasivo y por último la tramitación a través del laboratorio importador.
- Se solicitó inicialmente como medicamento extranjero porque la FDA tiene autorizado este implante para el tratamiento de la uveítis crónica no infecciosa, la petición fue denegada sin informar que su denegación fue debida por tratarse de un medicamento huérfano. La EMEA declaró este medicamento como huérfano en 2005 y no permitió su comercialización en la UE en 2007, por considerar que no estaba demostrada su seguridad y eficacia.
- Tras la tramitación, se adquirió el implante en feb-09, se implantó en el ojo izquierdo del paciente en mar-09 y en abr-09 la agudeza visual en este ojo era del 32%.

## CONCLUSIONES

- 1) Este implante sólo puede adquirirse en la UE como medicamento huérfano, a través de uso compasivo, aunque en el país de origen de comercialización coincida la indicación para la que va a ser utilizado con la indicación aprobada en su comercialización (medicamento extranjero).
- 2) A pesar de que existe legalmente un trámite más corto para la comercialización de los medicamentos huérfanos, no siempre se comercializan.
- 3) La evidencia clínica es muy baja en el caso de medicamentos huérfanos y enfermedades raras. En este escenario clínico la mejoría del estado clínico del paciente es relevante.
- 4) Al coste burocrático en tiempo de la gestión en la adquisición (95 días) se añaden los costes económicos (1 implante equivale a aproximadamente 16000 euros).