

## **IMPACTO PRESUPUESTARIO DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

***Alicia Herrero Ambrosio***

*Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario La Paz de Madrid*

La definición de enfermedad rara varía de forma amplia en los documentos legales de diferentes países e instituciones, sin embargo se utiliza en todos los casos la prevalencia como único criterio definitorio, a pesar de la gran variabilidad de estas patologías. En este sentido, en la Unión Europea se acepta como enfermedad rara, toda aquella con una prevalencia de menos de 5 enfermos por cada 10.000 habitantes. El término enfermedades ultrararas (o ultrahuérfanas) se ha acuñado para describir enfermedades mucho más infrecuentes definidas como aquellas cuya prevalencia es menor de 1 enfermo por cada 50.000 habitantes.

En términos presupuestarios, las enfermedades raras y en concreto las ultrararas, generan un gran impacto económico. Los datos de 2011 en España reflejan un gasto en medicamentos huérfanos de 420 millones de euros, que corresponde con un 2,5 % del gasto farmacéutico. Este impacto se eleva considerablemente en el ámbito hospitalario donde asciende hasta el 15 % del total.

Ante esta situación, los Servicios de Farmacia de los hospitales deben plantearse el impacto presupuestario que un paciente con una enfermedad rara puede suponer, teniendo en cuenta que no existe actualmente un fondo económico reservado para ello. La Comunidad de Madrid publica anualmente en el Boletín Oficial de la Comunidad de Madrid el Proyecto de Presupuestos Generales, donde detalla para cada hospital público de la Comunidad con cuanto presupuesto cuentan para afrontar el año. Además divide el gasto en unos epígrafes contables predefinidos: medicamentos antirretrovirales, dietoterapia, inmunomoduladores, factores de la coagulación, gases medicinales, antineoplásicos, antiinfecciosos, radiofármacos, productos farmacéuticos y otros. De esta manera si un hospital sobrepasa su presupuesto entraría en déficit. En el Hospital La Paz de Madrid, en el que la ponente ejerce como Jefe del Servicio de Farmacia, resulta especialmente importante que el epígrafe reservado para Factores de la coagulación esté definido, ya que al ser un hospital de referencia para el tratamiento de la hemofilia supone un gasto muy destacable, cercano al 25% de su presupuesto global.

El Servicio Madrileño de Salud, a través de la Dirección General de Compras de Farmacia y Productos Sanitarios de la Consejería de Sanidad, está muy implicado en los procesos de registro y seguimiento del gasto farmacéutico hospitalario. Por ello, sabemos que en esta Autonomía en el año 2012 se gastaron un total de 70 millones de euros en medicamentos huérfanos suponiendo un 3,7 % del gasto farmacéutico, cifra que se eleva hasta un 9,5 % al considerarlo de forma exclusiva respecto al gasto farmacéutico hospitalario.

La Consejería de Sanidad de Madrid también se encarga de registrar el número de pacientes con enfermedades huérfanas de mayor impacto económico. Estas patologías, en su mayoría metabolopatías, son las que suponen para el sistema más de 100.000 euros por paciente y año. Entre el año 2011 y 2012 aumentó el número de pacientes en más de un 26 % y el gasto farmacéutico asociado un 30 %, asumiendo un coste por paciente y año medio de 266.315 €. En la evolución histórica, se observa como en los últimos tres años las cifras de pacientes y de impacto presupuestario se han triplicado.

Ante esta situación compleja de impacto económico y presupuesto cerrado se debe garantizar el acceso y la equidad de los tratamientos a toda la población, pero siempre teniendo presente las limitaciones en el gasto público y fomentando la sostenibilidad del sistema. Todo

ello en medio de las incertidumbres sobre la evidencia clínica de los tratamientos de las enfermedades raras, los pocos datos epidemiológicos, las deficiencias en la medición de los resultados en salud y la falta de centros especializados.

En el futuro próximo, para fomentar un correcto impacto presupuestario, se debería tener en cuenta cuatro aspectos básicos:

1. El incremento en el número de enfermedades raras. El número de pacientes va a seguir aumentando y cada vez aparecerán nuevas enfermedades. Al mejorar los métodos diagnósticos se dan casos de fragmentación de enfermedades comunes en raras. Todo ello en un ambiente de gran presión política y social hacia los gestores sanitarios.
2. El incremento en el número de pacientes, derivado de la mejora en las técnicas diagnósticas y el aumento del número de nuevas enfermedades huérfanas.
3. El incremento en el número de fármacos en investigación y próxima comercialización. Para favorecer el desarrollo de medicamentos huérfanos, la Agencia Europea del Medicamento ofrece una serie de ventajas a la industria como aprobación rápida, acceso temprano al mercado, exención de tasas, reducciones fiscales, exclusividad de mercado durante 10 años y subvenciones a nivel europeo.
4. El incremento de la atención y visibilidad social.

Las propuestas para mejorar el impacto presupuestario de las enfermedades raras pasa por actuar sobre tres niveles de coordinación:

1. En primer lugar, debería haber una mayor **coordinación a nivel nacional**, siendo el Ministerio de Sanidad el encargado de marcar pautas comunes para todas las comunidades autónomas y realizar una coordinación interterritorial. Se está trabajando desde los Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) dependientes del Ministerio de Sanidad en la denominación de centros de referencia especializados en este tipo de enfermedades y en la investigación en red y el registro de pacientes. Además, se deben intercambiar conocimientos en la evaluación y estudios de farmacoepidemiología. Por último, la Estrategia Nacional de la Enfermedades Raras debe tener también en cuenta el impacto económico para fomentar la sostenibilidad y equidad del sistema.
2. La **coordinación a nivel autonómico** también puede mejorar el manejo del impacto presupuestario abordando las decisiones sobre el tratamiento de manera individualizada y consensuada por consejos autonómicos asesores de enfermedades raras. También mediante la extensión de acuerdos autonómicos a nivel nacional, así como la unificación de protocolos y de las condiciones de uso. Parece clave promover partidas presupuestarias concretas en los Presupuestos Generales, relacionadas con el tratamiento farmacológico de las enfermedades raras, y crear un fondo de compensación a nivel nacional. La administración autonómica debería comprometerse a apoyar a los centros y unidades de referencia tanto en la gestión como en el gasto farmacéutico.
3. El tercer pilar para la mejora del impacto presupuestario es la **coordinación de las administraciones públicas con la industria farmacéutica**. Se podría establecer un precio condicional y una financiación selectiva de acuerdo al beneficio clínico demostrado. Otra fórmula sería establecer un diálogo entre las empresas farmacéuticas y las entidades financiadoras para el establecimiento de acuerdos de pago, riesgo compartido y acuerdos de precio por volumen de compra. A nivel de

compras de podría favorecer la compra centralizada y en algunos casos aplicar el concepto de equivalencia terapéutica.

El sistema actual se representa por un triángulo en cuyos vértices están los pacientes, el sistema sanitario y la industria farmacéutica. Los gestores sanitarios deben mantener un equilibrio entre las necesidades y expectativas tanto de la industria farmacéutica, que ha apostado por la investigación, innovación y desarrollo de estos medicamentos, como de los pacientes que esperan la curación de su enfermedad. No obstante hay que tener muy presente la sostenibilidad del sistema sanitario, dado que si éste fallara, no se podrían satisfacer las expectativas de los otros vértices del triángulo.