

*“Jornadas de Medicamentos Huérfanos
y
Enfermedades Raras”*

**“Dificultades del desarrollo clínico de los
Medicamentos Huérfanos en España”**

Juan Gabriel Ferrero Bolonio
*Presidente de la Asociación Española de
Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra Huérfanos
AELMHU*

Valencia
12 de Abril de 2013

¿Qué es AELMHU?

- Cooperación de **empresas farmacéuticas** expertas en enfermedades raras (EERR).
- Comprometidas en invertir, descubrir y desarrollar **tratamientos innovadores**.
- Cambiar el curso de EERR y ultra raras.



Asociados AELMHU

- Actelion
- Alexion Pharma Spain
- BioMarin Europe Ltd.
- Casen Fleet
- CSL Behring
- Intermune
- Ipsen
- Orphan Europe
- Shire Pharmaceuticals Ibérica, S.L.
(Human Genetic Therapies)
- Swedish Orphan Biovitrum



Propósitos generales AELMHU

- **Reconocimiento** del valor de terapéutico y social de MH y MUH.
- **Asegurar el acceso rápido y equitativo** de los pacientes al diagnóstico precoz y tratamiento con Medicamentos Huérfanos:
 - Asegurar la financiación de los tratamientos
 - Agilizar el proceso de fijación de Precio y Reembolso
 - Lograr un presupuesto centralizado para la financiación de los MH
- **Coordinación** de acciones ante instituciones sociales y políticas.
- **Visibilidad y concienciación** de la problemática específica de estas patologías.

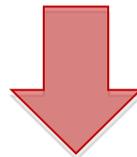
Compañías invirtiendo en la I + D de los MH y MUH

- Compañías relativamente **pequeñas** en cuanto a infraestructura.
- Con un **esfuerzo en I + D** continuado y sistemático (hasta el 25% del beneficio neto).
- Compañías que proporcionan empleo de **alto valor y cualificación**
- La mayoría son empresas **biotecnológicas** (El impacto macroeconómico de la biotecnología en 2010 ascendió ya al 1,2% del PIB nacional).

Situación actual de MH en la UE

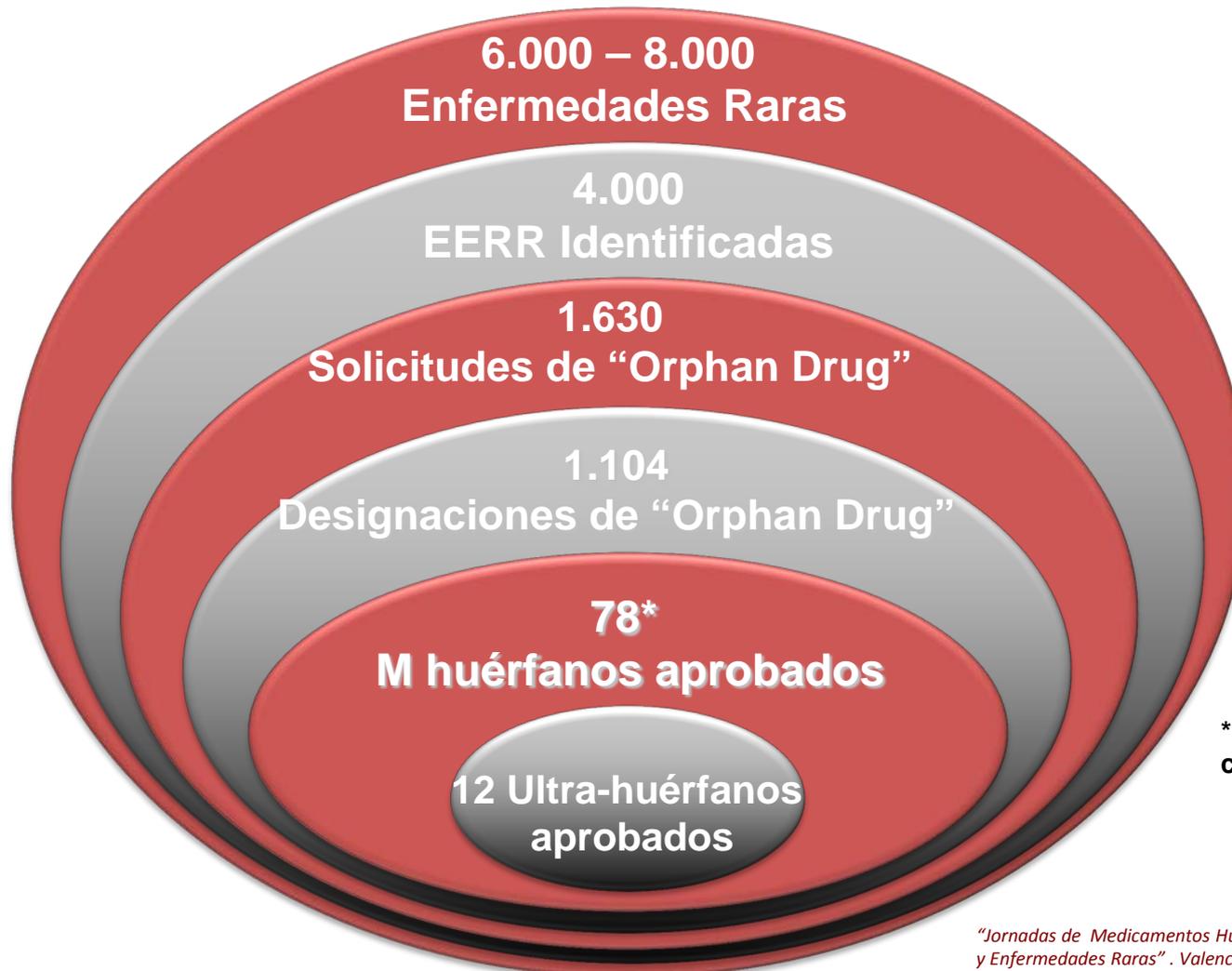


2000: Debido a la escasa investigación en EERR, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE establece el **Reglamento de la UE 141/2000** para favorecer el desarrollo, investigación y comercialización de MH (a similitud de lo existente en la FDA desde 1983).



2013: La Agencia Europea del Medicamento desde la puesta en marcha del Reglamento 2000 tiene autorizados 78 MH de los cuales 12 son Medicamentos Ultra-huérfanos.

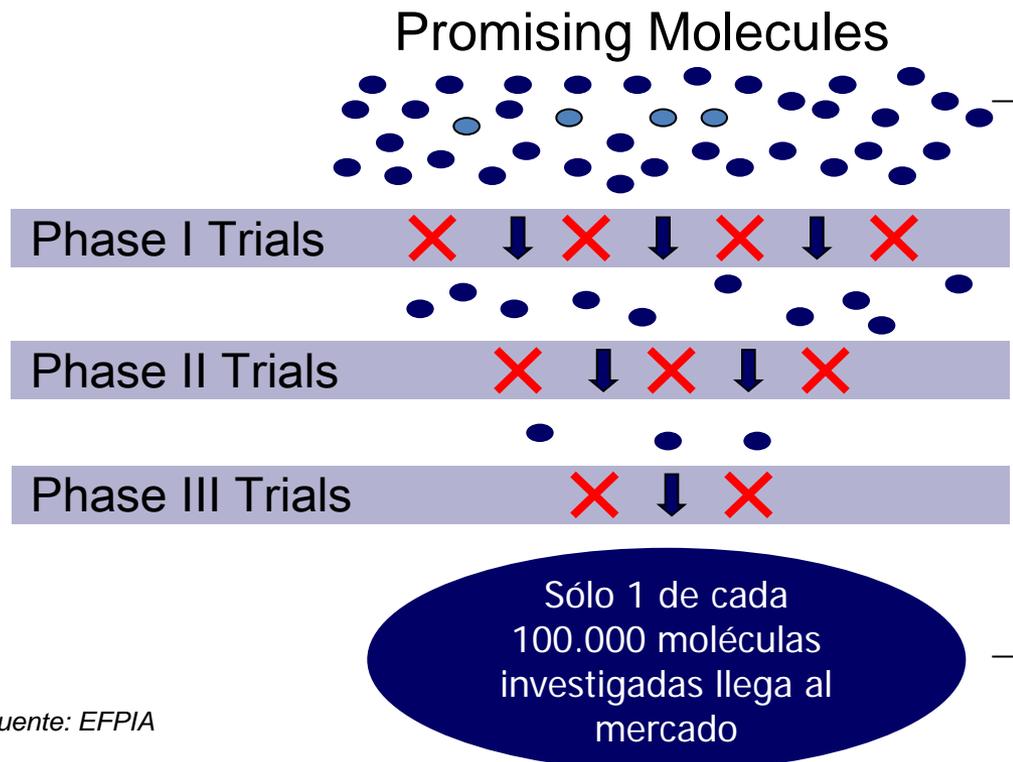
Situación actual de MH y MHU en la UE (marzo 2013)



* En España 55 comercializados

Desarrollo de MH y MUH

El **riesgo** y el **coste** del desarrollo de un nuevo producto es muy alto, más aún en EERR ya que no existe conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico.



Tiempo:
12-13 años desde la síntesis de un fármaco potencial hasta su comercialización

Coste:
La media del coste pre-comercialización de un nuevo tratamiento es € 1.000/1.500 Millones

Peculiaridades en el desarrollo de MH y MUH (I)

- Son muy pocos los laboratorios que se dedican a la I+D de estos medicamentos. Los que sí lo hacen, **contribuyen no sólo al desarrollo del fármaco sino también al mejor conocimiento de la propia enfermedad.**
- Las cohortes de pacientes son muy pequeñas:
 - la investigación debe prolongarse después de la autorización de registro (normalmente se autorizan los MH y UH bajo “circunstancias especiales”).
 - seguimiento continuado, controlado y documentado a la largo de la vida del producto: **Registro de pacientes.**

Peculiaridades en el desarrollo de MH y MUH (II)

- El paradigma que actualmente se exige por las autoridades reguladoras y financiadoras respecto al **coste/efectividad de los nuevos fármacos es muy difícil de conseguir con los MH y MUH por la escasa incidencia de las patologías.**
- Los diseños metodológicos convencionales **deben adaptarse de manera fiable a la realidad de estas patologías sin comprometer la evidencia de eficacia y seguridad.**

Dificultades para la investigación

- Las enfermedades raras son enfermedades con gran **complejidad etiológica, diagnóstica y evolutiva**. Heterogeneidad clínica y genética.
- Con **muy baja prevalencia** (escaso nº de pacientes disponibles para estudios).
- **Edades y situación clínica muy diferentes** (dificultad estratificación).
- **Escasez de expertos clínicos y centros de referencia.**

Dificultad para la investigación en España

- No existen prácticamente centros de referencia (hay patologías pendientes de designación de los CSUR).
- Retraso en el diagnóstico, por lo que los pacientes son diagnosticados tardíamente y con afectación avanzada.
- *Estrategia en EERR del SNS Junio 2009 (Atención Sanitaria Objetivo 2: Proponer al Comité de Designación de CSUR del SNS que estudie la posibilidad de establecer CSUR en el SNS para la atención de pacientes con ER)*

Estudio "Cribado Neonatal Actualización y Futuro" Dra A. Fernandez , Murcia 2012

CCAA	Nº Patologías	CCAA	Nº Patologías
Andalucía	29	Galicia	26
Aragón	30	Islas Baleares	3
Cantabria	4	Islas Canarias	3
Castilla y León	3	La Rioja	3
Castilla La Mancha	15*	Navarra	4
Cataluña	22	País Vasco	4
Com. Madrid	18	Principado de Asturias	2
Com. Valenciana	9	Región de Murcia	29
Extremadura	32		

* En Castilla La Mancha el cribado neonatal ampliado se ha suspendido en el año 2012. No se sabe cuando se va a reiniciar.

Bajo atractivo para la I + D de MH y MUH en España

- Ninguna protección legal añadida para los MH y MUH.
- Ninguna prioridad en la fijación de precio y reembolso.
- Reevaluaciones del fármaco por las Agencias de las CCAAs.
- Revisión del inicio, uso y seguimiento de los tratamientos por los Comités de expertos de las CCAAs.
- Inequidad en el acceso*.

** Estrategia en EERR del SNS Junio 2009 (M huérfanos, coadyuvantes y productos sanitarios, Objetivo 1: Garantizar la accesibilidad en tiempo y forma de los medicamentos huérfanos necesarios para el tratamiento de las enfermedades raras en todo el territorio nacional)*

Resultados preliminares del proyecto:

“Equidad en el acceso a medicamentos huérfanos entre comunidades autónomas españolas”

Prof. Dr. Eduardo L. Mariño Hernández

Director de la Unidad de Farmacia Clínica y Farmacoterapia, Universidad de Barcelona (UFCF-UB)

OBJETIVO:

Describir la percepción sobre el acceso a los medicamentos huérfanos por parte de diferentes colectivos y, en concreto, a los autorizados y comercializados para el tratamiento de 4 enfermedades raras: angioedema hereditario, enfermedad de Fabry, hemoglobinuria paroxística nocturna y mucopolisacaridosis, a nivel del estado español.

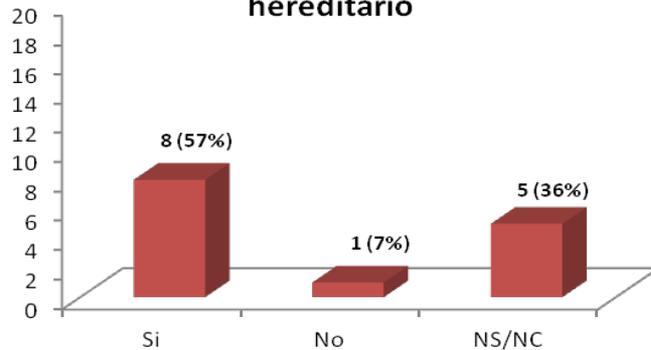
RESULTADOS PRELIMINARES ENCUESTAS REALIZADAS POR MÉDICOS DE HOSPITAL:

De los 172 médicos participantes en el estudio, 65 han finalizado la encuesta y 3 han pedido su retirada del estudio.

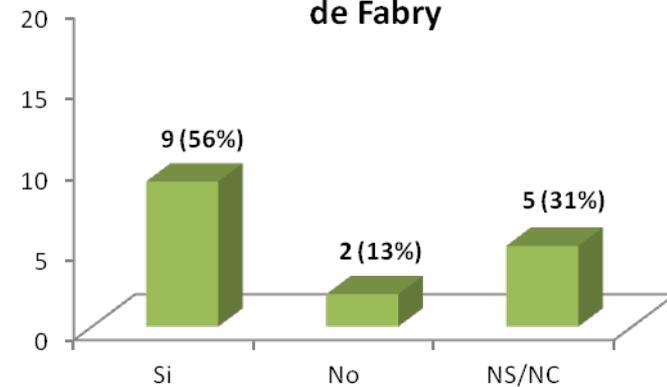
“Equidad en el acceso a medicamentos huérfanos entre comunidades autónomas españolas”

¿Considera que existen diferencias en el acceso a los medicamentos huérfanos destinados a los pacientes con enfermedades raras entre CCAA? (+) ¿En caso afirmativo, nos podría indicar la causa principal?

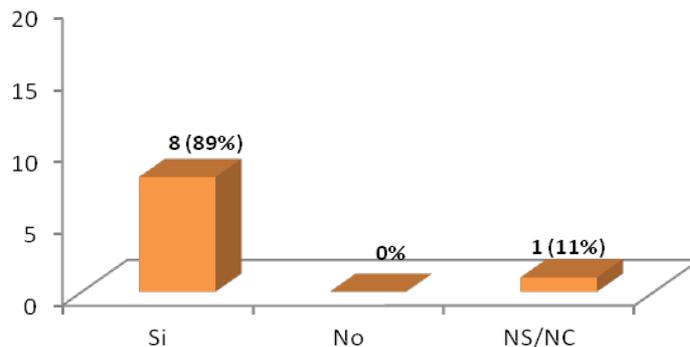
Angioedema hereditario



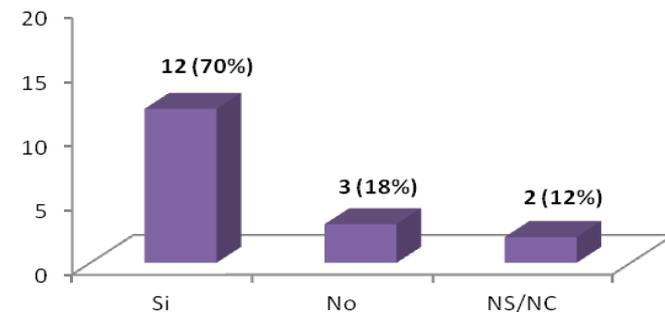
Enfermedad de Fabry



Hemoglobinuria paroxística nocturna



Mucopolisacaridosis



Conclusiones:

- Dotación de fondos para la financiación de Plan Estratégico de EERR.
- Necesidad de Centros de Referencia para las patologías de EERR.
- Equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento en las CCAA.
- Financiación garantizada para los MH y MUH.
- Presupuesto centralizado para los MH y MUH.
- 1 sola Agencia evaluadora/ 1 solo criterio.

Muchas gracias

informacion@aelmhu.es

Telf. 681 384 549

www.aelmhu.es