ESTIMACIÓN DE LA PREVALENCIA Y DEL IMPACTO ECONÓMICO DEL TRATAMIENTO FARMACOLÓGICO DE LAS ENFERMEDADES RARAS PARA EL SISTEMA SANITARIO PÚBLICO ESPAÑOL

Proyecto investigación

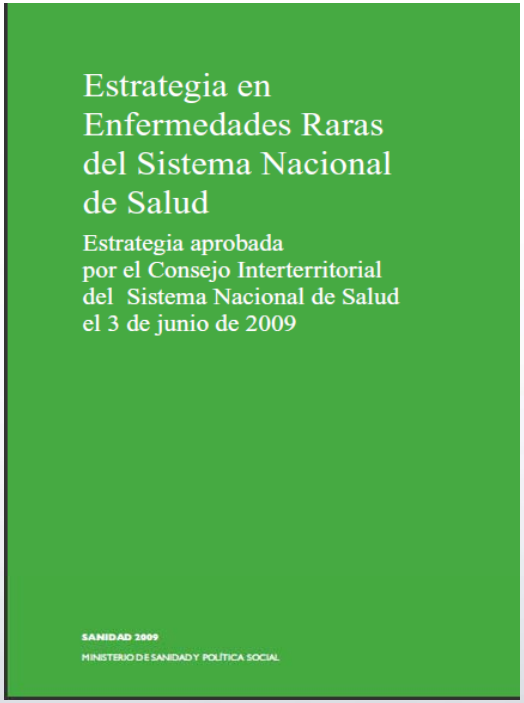
Avalado por: **Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria**

Financiado por: **Fundación SALUD 2000**

FARMACÉUTICOS PARTICIPANTES

- Reyes Abad Sazatornil. H. Universitario Miguel Servet. Zaragoza
- Miguel Ángel Calleja. H. Virgen de las Nieves Granada
- Amelia de la Rubia. H. Virgen de la Arrixaca. Murcia
- Carmen Encinas. H. General de Ciudad Real
- Benito García. H. Severo Ochoa Madrid
- Ramon Jódar. H. Universitari de Bellvitge
- Rafael Molero. H. Dr. Negrin Las Palmas.
- Guadalupe Piñeiro. Complejo Hospitalario Pontevedra
- José Luis Póveda. H. Universitario La Fe

INTRODUCCIÓN



La Unión Europea define como enfermedad rara:

Aquella que tiene una prevalencia de < 5 casos por 10.000 habitante. 6-8 % población Europea

Esto se traduce en una estimación de 29 millones de afectados en la UE-27 y de 3 millones en España

Si estimamos una media de 4 personas por familia, en España hay unos 12 millones de personas conviven diariamente con una enfermedad rara, bien por padecerla directamente ellos o alguno de sus familiares más cercanos.

ENFERMEDADES HUÉRFANAS Ó RARAS

Grupo muy heterogéneo pero….

CARACTERÍSTICAS COMUNES

- **Generalmente son enfermedades hereditarias que se manifiestan en la edad infantil.**
- **Enfermedades crónicas en su mayoría de carácter progresivo con elevada morbi-mortalidad y alto grado de discapacidad.**
- **De gran complejidad etiológica, diagnóstica, pronostica y terapéutica que requieren de un equipo multidisciplinar para su manejo y seguimiento.**

Descritas entre 6000-8000 Enfermedades Huérfanas distintas, algunas referidas a la misma entidad ➡ Necesidad de una buena clasificación

La mayoría presenta una prevalencia de 1 caso por 100.000 o menos

“PLAN DE SALUD PÚBLICA DE LA UNIÓN EUROPEA”

- Prevenir la morbilidad significativa y la mortalidad prematura evitable.
- Mejorar la calidad de vida y el potencial socioeconómico de la personas afectadas

Idiomas Français | English | Español | Deutsch | Italiano | Português

orphanet

Inserm

Portal de información de enfermedades raras y medicamentos huérfanos

Página principal
Ayuda
Contacte con nosotros

Enfermedades raras | Medicamentos huérfanos | Centros expertos | Tests diagnósticos | Proyectos y ensayos | Asociaciones de pacientes | Profesionales e instituciones | Otra información

BÚSQUEDA SIMPLE

Introduzca palabra clave → OK

> Lista alfabética de enfermedades raras

OTRAS OPCIONES DE BÚSQUEDA

> **Medicamentos huérfanos**
> **Proyectos y ensayos**
> **Tests diagnósticos**
> **Asociaciones de pacientes**
> **Centros expertos**
> **Profesionales e instituciones**

ORPHANET HOY

Enfermedades	:	5954
Centros expertos	:	4942
Laboratorios	:	5424
Profesionales	:	15019
Visitas diarias	:	12810

ENFERMEDADES RARAS

> Información acerca de una enfermedad
> Lista alfabética
> Búsqueda por signo
> Búsqueda por gen
> Guías de actuación de emergencia
> Enciclopedia para pacientes
> Enciclopedia para profesionales
> Clasificaciones
> Sobre las enfermedades raras
> Prevalencia de las enfermedades raras

Ninguna enfermedad es tan rara como para no merecer nuestra atención

Las enfermedades raras son minoritarias, pero sus pacientes numerosos

Sobre Orphanet | Estatuto de calidad
Registre su actividad

Idiomas Français | English | Español | Deutsch | Italiano | Português

Servicio para los profesionales

> Enciclopedia para profesionales

Servicio para los pacientes

> Información acerca de una

NOTICIAS DE ACTUALIDAD

Clinical Utility Gene Cards now

Internet | Modo protegido: activado

MEDICAMENTO HUÉRFANO

Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de Diciembre de 1999, sobre Medicamentos Huérfanos

- **Se destina a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar una enfermedad que afecte como máximo a cinco personas de cada diez mil dentro del territorio de la Comunidad.**

- **Se destina al tratamiento de una enfermedad grave o que produzca incapacidades cuya comercialización resulte poco probable sin medidas de estímulo. Debe presentar beneficios significativos para los afectados por la enfermedad de que se trate.**

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Política CE medicamentos huérfanos. Incentivos

- Acceso al procedimiento centralizado de comercialización
- Exclusividad comercial durante 10 años
- Asistencia en la elaboración de protocolos de ensayos clínicos y orientación en la preparación de expedientes para que cumplan todos los requisitos
- Exención de tasas: tasa de solicitud de autorización de comercialización, inspecciones, variaciones, y las de asistencia a la elaboración de protocolos
- Subvenciones: promover la investigación, desarrollo y comercialización

DESIGNACIÓN HUÉRFANA

- La designación de un medicamento como huérfano:
  - **No garantiza que el producto satisfaga los criterios de eficacia, seguridad y calidad, necesarios para la concesión de la autorización de comercialización.**
  - **Estos criterios sólo pueden se evaluados una vez que la solicitud de autorización de comercialización haya sido presentada**

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

La terapia farmacológica para estas enfermedades se enfrenta a varios problemas:

- **Desconocimiento de la fisiopatología de base de muchas de las enfermedades.**
- **Ausencia de apoyo en las primeras fases del desarrollo clínico.**
- **Inversiones económicas muy elevadas.**
- **Ensayos clínicos: nº reducido de pacientes, muy heterogéneos y ausencia de alternativas terapéuticas válidas lo que dificulta la obtención de evidencia**

Comercializados en "condiciones especiales":

Deben aportar datos de eficacia y seguridad de los pacientes tratados así como datos sobre la evolución natural de la enfermedad en los no tratados.

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Impacto económico

- Medicamentos muy caros: investigación muy costosa, baja prevalencia.
- Enfermedades crónicas que requieren tratamiento a largo plazo.
- Enfermedades que afectan a un numero importante de pacientes

JUSTIFICACIÓN DEL PROYECTO

ESTIMACIÓN DE LA PREVALENCIA Y DEL IMPACTO ECONÓMICO DEL TRATAMIENTO FARMACOLÓGICO DE LAS ENFERMEDADES RARAS PARA EL SISTEMA SANITARIO PÚBLICO ESPAÑOL

JUSTIFICACIÓN PROYECTO

- Aunque cada enfermedad rara presenta de manera individual una baja o muy baja prevalencia, son millones los individuos afectados por las mismas.
- Debido a que las características propias tanto de la enfermedad y del paciente suponen un elevado consumo de recursos sanitarios,
- Necesidad de estimar el número total de personas afectadas en tratamiento.

NO EXISTEN DATOS DEL IMPACTO REAL DEL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES RARAS EN EL SISTEMA SANITARIO PUBLICO ESPAÑOL

OBJETIVOS DEL PROYECTO

- Estimar la prevalencia de pacientes diagnosticados de Enfermedades Huérfanas en tratamiento **farmacológico.**
- Evaluar el impacto económico que supone el tratamiento farmacológico específico de cada enfermedad.
- Conocer el consumo anual de todos los Medicamentos Huérfanos seleccionados
- Conocer la variabilidad de pacientes tratados en función de la Comunidad Autónoma de residencia del paciente.
- Estimar el impacto económico global que supone para el estado español el tratamiento farmacológico de las enfermedades raras.
- Estimar la evolución en el tiempo del impacto del tratamiento de las Enfermedades Raras.

MATERIAL Y MÉTODOS

- **DISEÑO**: **ESTUDIO OBSERVACIONAL RETROSPECTIVO**
- **POBLACIÓN A ESTUDIO:** Se incluyen aquellos **pacientes diagnosticados de una Enfermedad Rara para la que han sido tratados durante el año 2010 Y 2011.**

  - **Criterios de inclusión: Pacientes en tto con fármacos huérfanos (aunque también se incluyen algunos no clasificados huérfanos) indicados para el tratamiento de una o varias Enfermedades Raras.**
  - **Criterios de exclusión**: **Pacientes tratados con fármacos autorizados también para el tratamiento de una enfermedad convencional'**

MATERIAL Y METODOS

- **ESTUDIO OBSERVACIONAL RETROSPECTIVO.**
- **PERIODO ANALIZADO: 2010 Y 2011**
- **FUENTE INFORMACIÓN: ENCUESTA**

VARIABLES DEL ESTUDIO

- **Datos hospital.**
  - Comunidad Autónoma
  - Dependencia
  - Finalidad asistencial
  - Nº camas: menos de <100, 101-200, 201-500, 501-800, > 800.
  - Docencia en FH
- **FÁRMACOS HUÉRFANOS SELECCIONADOS**
  - Nº unidades del medicamento
  - Nº pacientes
  - Coste total anual
  - Nº pacientes en EC
- **GASTO TOTAL MEDICAMENTOS**

FÁRMACOS SELECCIONADOS

Listados de Medicamentos Huérfanos en Europa

Con designación huérfana en Europa y autorización de comercialización europea*

Con autorización de comercialización europea*, sin previa designación huérfana en Europa

Listado de medicamentos huérfanos en Europa con designación huérfana europea y autorización de comercialización europea

1- Por nombre comercial en orden alfabético

NOMBRE COMERCIAL	SUSTANCIA ACTIVA	INDICACIÓN DE LA AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN (AC)	FECHA DE LA AC (DD/MM/AAAA)	TITULAR DE LA AC
AFINITOR	Everolimus (INN)	Treatment of patients with advanced **renal cell carcinoma**, whose disease has progressed on or after treatment with VEGF-targeted therapy	03/08/2009	Novartis Europharm Ltd
ALDURAZYME	Laronidase (INN)	Long-term enzyme replacement therapy in patients with a confirmed diagnosis of **Mucopolysaccharidosis I** (MPS I; a [alpha]-L-iduronidase deficiency) to treat the non-neurological manifestations of the disease	10/06/2003	Genzyme Europe B.V.
ARZERRA	Ofatumumab (INN)	Treatment of **chronic lymphocytic leukaemia** (CLL) in patients who are refractory to fludarabine and alemtuzumab	19/04/2010	Glaxo Group Ltd
ATRIANCE	Nelarabine (INN)	Treatment of patients with **T-cell acute lymphoblastic leukaemia** (T-ALL) and **T-cell lymphoblastic lymphoma** (T-LBL) whose disease has not responded to or has relapsed following	22/08/2007	Glaxo Group Ltd

MEDICAMENTOS DESIGNACIÓN HUÉRFANOS

2011
ESBRIET
TOBI PODHALER
2010
ARZERRA
REVOLADE
TEPADINA
VPRIV
2009
AFINITOR
CAYSTON
FIRDAPSE (ex-ZENAS)
ILARIS
MEPACT
MOZOBIL
NPLATE
PEYONA (ex-NYMUSA)
RILONACEPT REGEN-ERON (ex-ARCALYST)

2008
CEPLENE
FIRAZYR
KUVAN
THALIDOMIDE CELGENE
VIDAZA
VOLIBRIS
2007
ATRIANCE
CYSTADANE
DIACOMIT
ELAPRASE
GLIOLAN
INCRELEX
INOVELON
REVLIMID
SIKLOS
SOLIRIS
TASIGNA
TORISEL
YONDELIS

2006
EVOLTRA
EXJADE
MYOZYME
NAGLAZYME
NEXAVAR
SAVENE
SPRYCEL
2005
ORFADIN
PRIALT
REVATIO
2004
LITAK
LYSODREN
PEDEA
PHOTOBARR
WILZIN
XAGRID

2003
ALDURAZYME
BUSILVEX
CARBAGLU
VENTAVIS
2002
SOMAVERT
TRACLEER
TRISENOX
ZAVESCA
2001
FABRAZYME
GLIVEC
REPLAGAL

Listado de medicamentos huérfanos en Europa con autorización de comercialización europea, sin previa designación huérfana en Europa

1- Por nombre comercial en orden alfabético

NOMBRE COMERCIAL	SUSTANCIA ACTIVA	INDICACIÓN DE LA AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN (AC)	FECHA DE LA AC (JJ/MM/AAAA)	TITULAR DE LA AC
ADCIRCA	Tadalafil (INN)	Treatment of **pulmonary arterial hypertension** (PAH) classified as WHO functional class II and III, to improve exercise capacity. Efficacy has been shown in idiopathic PAH (IPAH) and in PAH related to collagen vascular disease	30/11/2009	Eli Lilly Nederland B.V.
ADVATE	Octocog alpha (INN)	Treatment and prophylaxis of bleeding in patients with **haemophilia A** (congenital factor VIII deficiency)	02/03/2004	Baxter AG
ALIMTA	Pemetrexed (INN)	In combination with cisplatin for the treatment of chemotherapy naïve patients with unresectable malignant pleural **mesothelioma**	20/09/2004	Eli Lilly Nederland B.V.
AMMONAPS	Sodium phenylbutyrate (INN)	Adjunctive therapy in the chronic management of **urea cycle disorders**, involving deficiencies of carbamyl phosphate synthetase, ornithine transcarbamylase, or argininosuccinate synthetase. It is indicated in all patients with neonatal-onset presentation (complete enzyme deficiencies, presenting within the first 28 days of life). It is also	08/12/1999	Swedish Orphan Internatio-nal AB

2011
CINRYZE
HIZENTRA
TEYSUNO
2010
NIVESTIM
OZURDEX
RUCONEST
VOTRIENT
2009
ADCIRCA
FERTAVID
FILGRASTIM HEXAL
IXIARO
SAMSCA
VEDROP
ZARZIO
ZUTECTRA
2008
BIOGRASTIM
FILGRASTIM RATIOPHARM
PRIVIGEN
RATIOGRASTIM
TEVAGRASTIM

2007
FLEBOGAMMA DIF
ORENCIA
2006
ATRYN
KIOVIG
OMNITROPE
SUTENT
VALTROPIN
2005
AVASTIN
NOXAFIL
TARCEVA
XYREM
2004
ADVATE
ALIMTA
DUKORAL
ERBITUX
VELCADE
ZEVALIN
2003
HUMIRA

2002
VFEND
2001
CANCIDAS
CEPROTIN
INOMAX
MABCAMPATH
XELODA
2000
ENBREL
HELIXATE NEXGEN
HERCEPTIN
INTRONA
KEPPRA
KOGENATE BAYER
PANRETIN
THYROGEN
1999
AMMONAPS
FERRIPROX
REFACTO AF
TEMODAL

1998
MABTHERA
1997
BENEFIX
CEREZYME
CYSTAGON
REFLUDAN
1996
CAELYX
HYCAMTIN
NOVOSEVEN
PUREGON
RILUTEK
1995
GONAL-F
TAXOTERE

Número de medicamentos huérfanos en Europa con autorización de

PA	Nombre Registrado	Indicacion	Presentacion
Acetato de Zinc dihidrato	Wilzin	Enfermedad de Wilson	Wilzin 25mg comp / 50 mg comp
Ácido 5-aminolevulínico	Gliolan	Visualización de tejidos malignos durante la cirugía del glioma maligno (de grados III y IV de la OMS).	Gliolan 30mg/ml vial
Ácido carglúmico	Carbaglu	Hiperamonemia por déficit de N-acetilglutamato sintasa	Carbaglu 200mg comp disp
Agalsidasa alfa	Replagal	Enfermedad de Fabry	Replagal 3,5mg vial
Agalsidasa beta	Fabrazyme	Enfermedad de Fabry	Fabrazyme 5 mg vial/35mg vial
Alitretinoin	Panretin	Sindrome Karposi	Panretin
Aglicosidasa alfa	Myozyme	Síndrome de Pompe	Myozyme 50mg vial
Ambrisentan	Volibris	Hipertensión pulmonar clase II y III, hipertension pulmonar primaria y hipertensión pulmonar asociada a enfermedad del tejido conjuntivo	Volibris 5mg comp/10 mg comp
Amifampridina	Firdapse	Síndrome miasténico de Lambert-Eaton	Firdapse 10mg comp
Anagrelide	Xagrid	Trombocitemia esencial	Xagrid 0,5 mg cap
Antitrombina alfa	Atrym	Profiliaxis tromboembolismo en pac. con deficiencia congenita de antitrombina	
Azacitidina	Vidaza	Tratamiento de sindromes mielodisplásicos, leucemia mieloide aguda y leucemia mielomonocitica crónica	Vidaza 25mg/ml iny
Aztreonam	Cayston	Infecciones pulmonares crónicas por Pseudomonas aeruginosa en pacientes con fibrosis quística	Cayston 75mg vial+amp sol inhal
Betaína anhidra	Cystadane	Homocistinuria	Cystadane 1g polvo oral
Bosentan	Tracleer	Hipertensión pulmonar III, hipertension pulmonar primaria, secundaria a la esclerodermia, hipertensión pulmonar asociada a cortocircuitos sistémico-pulmonares congénitos y fisiología de Eisenmenger y reducción del número de nuevas úlceras digitales en pac	Tracleer 62,5 mg/125mg comp
Busulfan	Busilvex	Tratamiento de acondicionamiento previo al trasplante de células progenitoras hematopoyéticas en adultos y pacientes pediátricos.	Busilvex 6mg/ml vial
Cafeina	Nymusa	Apnea primaria en prematuros.	Nymusa 20mg/ml vial
Canakimumab	Ilaris	Síndromes periódicos asociados a la criopirina.	Ilaris 150mg vial
Celecoxib	Onsenal	Reducción del número de pólipos adenomatosos intestinales en poliposis adenomatosa familiar.	Onsenal 400mg cap
Cladribina	Litak	Leucemia de células pilosas	Litak 2mg/ml vial
Clofarabina	Evoltra	Leucemia linfoblástica aguda en pacientes pediátricos que han presentado una recidiva o son refractarios al tratamiento tras haber recibido un mínimo de dos regímenes de tratamiento previos y para los que no existe ninguna otra opción terapéutica con la q	Evoltra 1 mg/ml vial

Dasatinib	Sprycel	Leucemia mieloide crónica y leucemia linfoblástica aguda con cromosoma Filadelfia positivo y crisis blástica linfoide procedente de LMC con resistencia o intolerancia al tratamiento previo.	Sprycel 20 mg/50 mg/70mg comp
Deferasirox	Exjade	Tratamiento de la sobrecarga férrica crónica	Exjade 125 mg comp
Dexrazosano	Savene	Extravasación de antraciclinas	Savene 20mg/ml vial
Dihidrocloruro de histamina	Ceplene	Leucemia mieloide aguda en primera remisión en tratamiento concomitante con IL-2.	Ceplene 0,5mg iny
Eculizumab	Soliris	Hemoglobinuria paroxística nocturna	Soliris 300mg iny
Eltrombopag	Revolade	Purpura trombocitopénica inmune	Revolade 25mg comp/50 mg comp
Everolimus	Afinitor	Carcinoma renal avanzado post tratamiento con una terapia dirigida al factor de crecimiento del endotelio vascular.	Afinitor 5 mg comp/10 mg comp
Fenilbutirato	Ammonaps	Alteraciones del ciclo de la urea, incluyendo deficiencias de carbamil fosfato sintetasa, ornitina transcarbamilosa o argininosucinato sintetasa.	Ammonaps 500 mg comp
Galsulfasa	Naglazyme	Síndrome de Maroteaux-Lamy	Naglazyme 5mg vial
Hidroxicarbamida	Siklos	Prevención de las crisis de oclusión de vasos dolorosas y recurrentes, como el síndrome torácico agudo en niños y adultos que padecen anemia drepanocítica sintomática	Siklos 1000mg comp
Ibritumomab	Zevalin	Terapia consolidación despues de inducir remisión en pacientes no tratados con linfoma folicular . Tratamiento con rituximab en linfoma no Hodgkin´s folicular celulas B o CD20 refractario.	Zevalin 1,6 mg/ml vial
Ibuprofeno	Pedea	Cierre del ductus arterioso persistente hemodinámicamente significativo en prematuros de menos de 34 semanas gestacionales.	Pedea 10mg amp
Icatibant	Firazyr	Crisis agudas de angiodemea hereditario en adultos con deficiencia del inhibidor de la esterasa C1.	Firazyr 30mg jga
Idursulfasa	Elaprase	Enfermedad de Hunter	Elaprase 2mg/ml vial
Iloprost	Ventavis	Hipertension pulmonar primaria clase III	Ventavis 10mcg amp inh
Imatinib	Glivec	Leucemia mieloide crónica Filadelphia +, síndrome hipereosinofílico, pacientes adultos con síndromes mielodisplásicos/mieloproliferativos, GIST, dermatofibrosarcoma protuberans	Glivec 100mg comp / 100 mg cap/400 mg cap
Imiglucerasa	Cerezyme	Enf Gaucher	Cerezyme 200 UI/ vial/ 400 UI vial
Inmunoglobulina H hepatitis B	Zutectra	Prevención de la reinfección por Hepatitis B en pacientes HBV-DNA negativos 6 meses después de un transplante de higado por Hepatitis B	Zutectra
Laronidasa	Aldurazyme	Enfermedad de Hurler	Aldurazyme 100U/ML vial
Lenalidomida	Revlimid	Mieloma multiple en combinación con dexametasona	Revlimid 5 mg cap/10 mg cap/15 mg/ 25mg cap

Lepirudina	Refludan	Anticoagulación en adultos con trombocitopenia tipo II inducida por Heparina	Refludan
Mecasermin	Increlex	Déficit primario grave del factor de crecimiento insulínico tipo 1	Increlex 10mg/ml vial
Mifamurtide	Mepact	Osteosarcoma de alto grado resecable no metastásico	Mepact 4mg polv perf
Miglustat	Zavesca	Enfermedad de Gaucher, enfermedad de Niemann Pick	Zavesca 100mg cap
Mitotano	Lysodren	Tratamiento sintomático del carcinoma adrenocortical avanzado	Lysodren 500mg comp
Nelarabina	Atriance	Leucemia linfoblástica aguda de células T y linfoma linfoblástico de células T que no hayan respondido o que hayan recaído tras el tratamiento con al menos dos regímenes de quimioterapia.	Atriance 5MG/ML vial
Nilotinib	Tasigna	Leucemia mieloide crónica cromosoma Filadelfia positivo	Tasigna 200mg cap
Nitisinona	Orfadin	Tirosinemia hereditaria de tipo 1 (HT-1)	Orfadin 2mg/ 5 mg/10mg cap
Ofatumumab	Arzerra	Leucemia linfocítica crónica en pacientes que son refractarios a fludarabina y alemtuzumab.	Arzerra 100MG vial
Oxibato sódico	Xyrem	Tratamiento de la narcolepsia con cataplegia en adultos	Xyrem 500mg/ml sol oral
Pazopanib	Votrient	Carcinoma renal avanzado en primera linea o en pacientes con terapia previa con citoquinas.	Votrient 200 mg / 400 mg comp
Pegvisomant	Somavert	Acromegalia	Somavert 10mg iny /15 mg /20 mg iny
Plerixafor	Mozobil	Potenciar la movilización de células madre hematopoyéticas a sangre periférica para su recogida y posterior trasplante autólogo en pacientes con linfoma y mieloma múltiple cuyas células se movilicen con dificultad	Mozobil 20mg/ml vial
Porfímero sódico	PhotoBarr	Ablación de la displasia de alto grado en pacientes con esófago de Barrett	PhotoBarr 15 mg/ 75mg iny

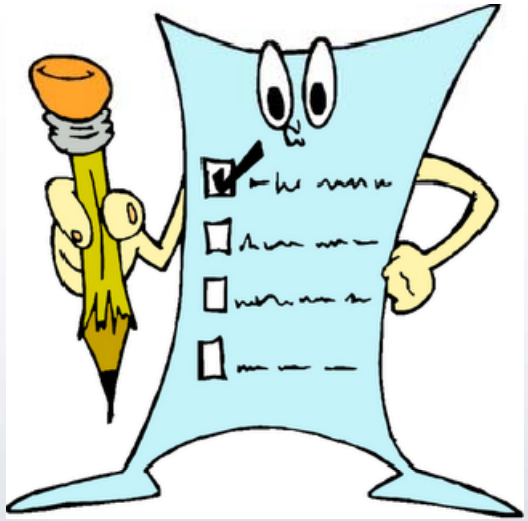
Proteina C humana	Ceprotin	En purpura fulminante o necrosis de piel inducida por cumarinicos en pacientes con deficiencia congenita severa de proteina C	Ceprotin 500 UI sol /1000 UI sol
Rilonacept	Arcalyst	Síndromes periódicos asociados a la criopirina con síntomas severos	Arcalyst 80mg/ml iny
Romiplostin	Nplate	Purpura trombocitopénica inmune	Nplate 250mg vial / 500 mg vial
Rufinamide	Inovelon	Síndrome de Lennox-Gastaut	Inovelon 100mg comp /200 mg/ 400 mg comp
Sapropterin	Kuvan	Déficit de 6-piruvil-tetrahidropterina sintasa, Déficit de dihidropteridina reductasa, fenilcetonuria	Kuvan 100mg comp
Sildenafilo	Revatio	Hipertensión arterial pulmonar (primaria o asociada a conectivopatía) de grado II y III.	Revatio 20mg comp
Sitaxetan	Thelin	Hipertensión pulmonar clase III, hipertension pulmonar primaria y hipertensión pulmonar asociada a enfermedad del tejido conjuntivo.	Thelin 100mg comp
Sorafenib	Nexavar	Carcinoma hepatocelular y de células renales.	Nexavar 200mg comp
Stiripentol	Diacomit	Convulsiones tónico-clónicas generalizadas refractarias en pacientes con epilepsia mioclónica grave de la infancia (EMGI, síndrome de Dravet).	Diacomit 250mg cap / 250 mg sobres/ 500 mg cap/ 500 mg sobres
Tadalafilo	Adcirca	Tratamiento de la hipertensión arterial pulmonar clase II y III	Adcirca 20 mg comp
Talidomida	Thalidomida Celgene	Mieloma múltiple	Thalidomida 50mg cap
Temsirólimus	Torisel	Carcinoma de células renales y del linfoma de células del manto.	Torisel 25mg/ml vial
Thiotepa	Tepadina	En combinación con otros medicamentos quimioterápicos:1) como tratamiento de acondicionamiento antes de un trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) alogénico o autólogo en pacientes con enfermedades hematológicas; 2) cuando la quimioterapia en dosis altas con soporte de TCMH está indicada para el tratamiento de tumores sólidos	Tepadina 15 mg/ 100 mg vial
Tetrahidrobiopterina			
Tocofersolan	Vedrop	Deficiencia de vitamina E debido a malaabsorcion digestiva en niños con colestasis crónica congénita	Vedrop50 mg/ ml sol oral
Tolvaptan	Samsca	Tratamiento de la hiponatremia secuandaria a SIADH	Samsca 15 mg comp/ 30 mg comp
Trabectedina	Yondelis	Sarcoma de tejidos blandos avanzado, cáncer de ovario recidivante	Yondelis 0,25 mg iny/1mg iny
Trióxido de arsénico	Trisenox	Leucemia promielocítica aguda recidivante/refractaria, caracterizada por la presencia de la traslocación t(15;17) y/o por la presencia del gen leucemia promielocítica/receptor alfa del ácido retinoico (PML/RAR-alfa).	Trisenox 10mg amp

FÁRMACOS SELECCIONADOS

Acetato de Zinc dihidrato	Cladribina	Imiglucerasa	Romiplostin
Ácido 5-aminolevulínico	Clofarabina	Inmunoglobulina H. hepatitis B (Zutrecta®)	Rufinamide
Ácido carglúmico	Dasatinib	Laronidasa	Sapropterin
Agalsidasa alfa	Deferasirox	Lenalidomida	Sildenafilo
Agalsidasa beta	Deferiprona	Lepirudina	Sitaxetan
Aglicosidasa alfa	Dexrazosano	Mecasermin	Sorafenib
Alitretinoin	Dihidrocloruro de histamina	Mifamurtide	Stiripentol
Ambrisentan	Eculizumab	Miglustat	Tadalafilo
Amifampridina	Eltrombopag	Mitotano	Talidomida
Anagrelide	Everolimus	Nelarabina	Temsirólimus
Antitrombina alfa	Fenilbutirato de sodio	Nilotinib	Tetrahidrobiopterina
Azacitidina	Galsulfasa	Nitisinona	Thiotepa
Aztreonam	Hidroxicarbamida	Ofatumumab	Tocofersolan
Betaína anhidra	Ibritumomab	Oxibato sódico	Tolvaptan
Bosentan	Ibuprofeno	Panozamib	Trabectedina
Busulfan	Icatibant	Pegvisomant	Trióxido de arsénico
Cafeina	Idebenona	Plerixafor	Velaglucerasa
Canakimumab	Idursulfasa	Porfímero sódico	Ziconotida
Celecoxib	Iloprost	Proteina C humana	
Cisteamina	Imatinib	Rilonacept	

METODOLOGÍA. PÁGINA WEB

1. Página de entrada tras identificarse con usuario y clave
2. Página de preguntas del cuestionario.



FEED-BACK INFORMACIÓN

1. Gráficos de evolución de consumos propios.
2. Comparación de los datos de consumo (nº unidades) de un hospital con los de su CA.
3. Coste medio/ paciente con coste medio/hospitales similares y coste medio nacional

PÁGINA DE ACCESO DEL HOSPITAL DESPUÉS DE IDENTIFICARSE CON USUARIO Y CLAVE

PÁGINA DE PREGUNTAS DEL CUESTIONARIO
LOS 4 TIPOS DE PREGUNTAS SE ENCUENTRAN EN EL MENÚ SUPERIOR DEL FORMULARIO

EJEMPLO DE COMPARACIÓN DE UN HOSPITAL RESPECTO A LA MEDIA NACIONAL

Fundación Salud 2000 | Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

Bienvenido Sra. Sánchez ➡ Salir

Cuestionario online de uso de fármacos huérfanos

Inicio | Gráficos

GRÁFICO DE COMPARACIÓN DE UN HOSPITAL CON LA MEDIA NACIONAL DE HOSPITALES DE UN TAMAÑO CONCRETO

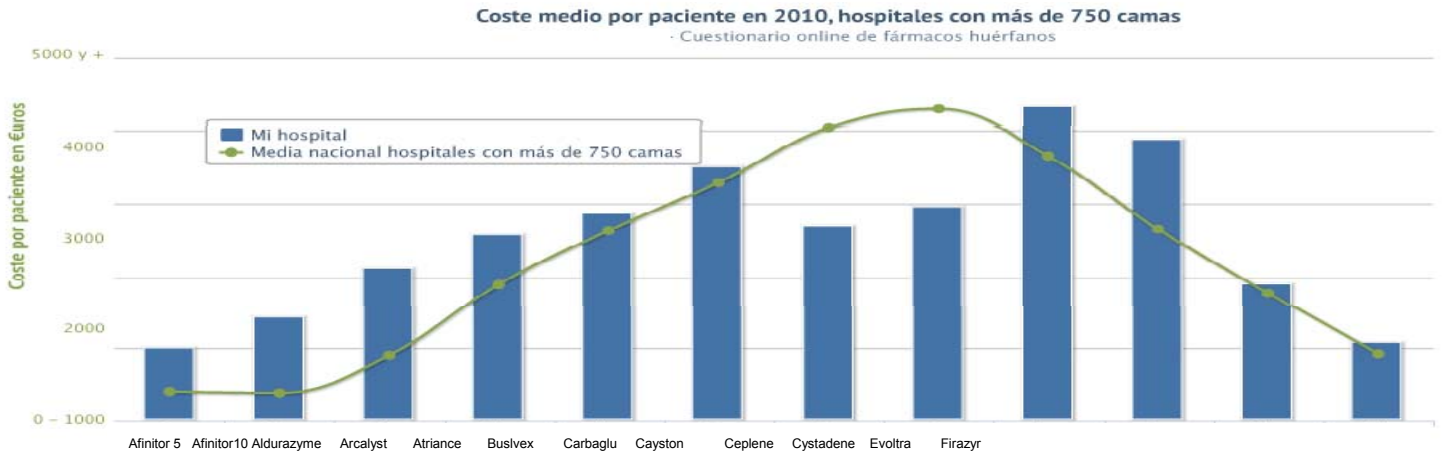
Filtro de gráficos

Año	Indicador del gráfico	Tamaño hospital
2010	Coste medio por paciente	> 750 camas

filtrar

descargar gráfico | imprimir

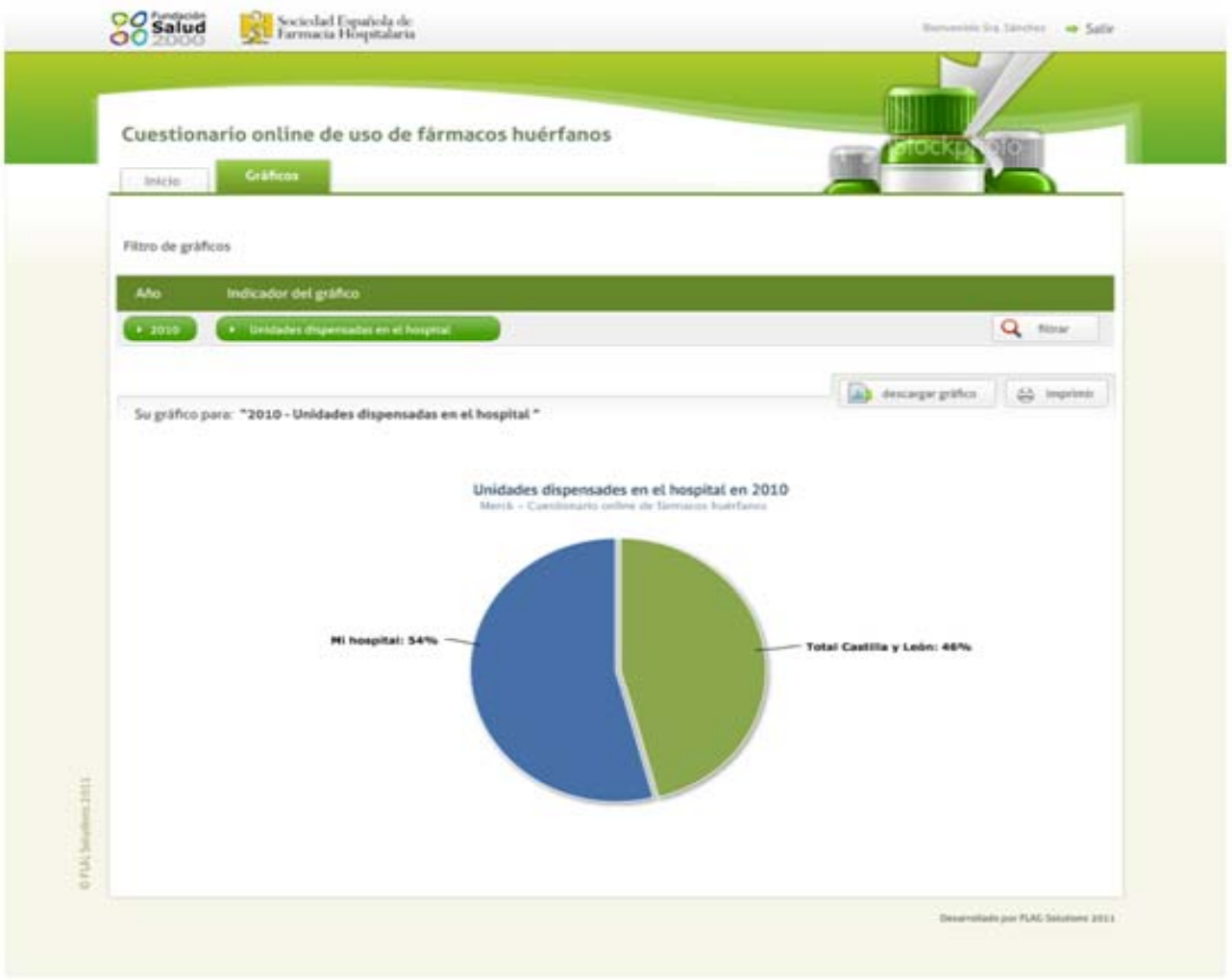
Su gráfico para: **"2010 - Coste medio por paciente - hospitales con más de 750 camas"**



© FLAG Solutions 2011

Desarrollado por FLAG Solutions 2011

GRÁFICO DE % DE UNIDADES DISPENSADAS / COMUNIDAD AUTÓNOMA



CRONOGRAMA

	2011			2012				2013
	enero- junio	julio-sept	oct-dic	enero-marzo	abril-junio	julio-sept	oct-dic	
Diseño del proyecto	X							
Selección de fármacos a estudio	X							
Proyecto Piloto	X							
Diseño herramienta informática tratamiento datos		X	X					
Presentación proyecto			X					
Difusión proyecto a los hospitales				X				
Recogida de información				X	X			
Evaluación de resultados						X		
Divulgación de resultados							X	
Seguimiento del proyecto								X

PROYECTO PILOTO

H. Virgen de la Arrixaca. Murcia

H. Universitario Miguel Servet. Zaragoza

H. Virgen de las Nieves Granada

H. General de Ciudad Real

H. Severo Ochoa Madrid

H. Universitari de Bellvitge. LHospitalet de Llobregat

H. Dr. Negrin Las Palmas.

Complejo Hospitalario Pontevedra

H. Universitario La Fe Valencia

Fármacos con denominación huérfana:

Nombre	PA	Indicación	Presentación
Afinitor	*Everolimus*	Carcinoma renal avanzado post tratamiento con una terapia dirigida al factor de crecimiento del endotelio vascular.	Afinitor 10 mg comp Afinitor 5 mg comp
Aldurazyme	*Laronidasa*	Enfermedad de Hurler	Aldurazyme 100U/ML vial
Arcalyst	*Rilonacept*	Síndromes periódicos asociados a la criopirina con síntomas severos	Arcalyst 80mg/ml iny
Arzerra	*Ofatumumab*	Leucemia linfocítica crónica en pacientes que son refractarios a fludarabina y alemtuzumab.	Arzerra 100MG vial
Atriance	*Nelarabina*	Leucemia linfoblástica aguda de células T y linfoma linfoblástico de células T que no hayan respondido o que hayan recaído tras el tratamiento con al menos dos regímenes de quimioterapia.	Atriance 5MG/ML vial
Busilvex	*Busulfan*	Tratamiento de acondicionamiento previo al trasplante de células progenitoras hematopoyéticas en adultos y pacientes pediátricos.	Busilvex 6mg/ml vial
Carbaglu	*Ácido carglúmico*	Hiperamonemia por déficit de N-acetilglutamato sintasa	Carbaglu 200mg comp disp
Cayston	*Aztreonam*	Infecciones pulmonares crónicas por Pseudomonas aeruginosa en pacientes con fibrosis quística	Cayston 75mg vial+amp sol inhal
Ceplene	*Dihidrocloruro de histamina*	Leucemia mieloide aguda en primera remisión en tratamiento concomitante con IL-2.	Ceplene 0,5mg iny
Cystadane	*Betaína anhidra*	Homocistinuria	Cystadane 1g polvo oral
Diacomit	*Stiripentol*	Convulsiones tónico-clónicas generalizadas refractarias en pacientes con epilepsia mioclónica grave de la infancia (EMGI, síndrome de Dravet).	Diacomit 250mg cap Diacomit 250mg sobres Diacomit 500mg cap Diacomit 500mg sobres

Elaprase	*Idursulfasa*	Enfermedad de Hunter	Elaprase 2mg/ml vial
Evoltra	*Clofarabina*	Leucemia linfoblástica aguda en pacientes pediátricos que han presentado una recidiva o son refractarios al tratamiento tras haber recibido un mínimo de dos regímenes de tratamiento previos y para los que no existe ninguna otra opción terapéutica con la que se prevea una respuesta duradera.	Evoltra 1 mg/ml vial
Fabrazyme	*Agalsidasa beta*	Enfermedad de Fabry	Fabrazyme 35mg vial Fabrazyme 5mg vial
Firazyr	*Icatibant*	Crisis agudas de angiodemea hereditario en adultos con deficiencia del inhibidor de la esterasa C1.	Firazyr 30mg jga
Firdapse	*Amifampridina*	Síndrome miasténico de Lambert-Eaton	Firdapse 10mg comp
Gliolan	*Ácido 5-aminolevulínico*	Visualización de tejidos malignos durante la cirugía del glioma maligno (de grados III y IV de la OMS).	Gliolan 30mg/ml vial
Glivec	*Imatinib*	Leucemia mieloide crónica Filadelphia +, síndrome hipereosinofílico, pacientes adultos con síndromes mielodisplásicos/mieloproliferativos, GIST, dermatofibrosarcoma protuberans	Glivec 100mg comp Glivec 100mg cap Glivec 400mg comp
Ilaris	*Canakimumab*	Síndromes periódicos asociados a la criopirina.	Ilaris 150mg vial
Increlex	*Mecasermin*	Déficit primario grave del factor de crecimiento insulínico tipo 1	Increlex 10mg/ml vial
Inovelon	*Rufinamide*	Síndrome de Lennox-Gastaut	Inovelon 100mg comp Inovelon 200mg comp Inovelon 400mg comp

Kuvan	*Sapropterin*	Déficit de 6-piruvil-tetrahidropterina sintasa, Déficit de dihidropteridina reductasa, fenilcetonuria	Kuvan 100mg comp
Litak	*Cladribina*	Leucemia de células pilosas	Litak 2mg/ml vial
Lysodren	*Mitotano*	Tratamiento sintomático del carcinoma adrenocortical avanzado	Lysodren 500mg comp
Mepact	*Mifamurtide*	Osteosarcoma de alto grado resecable no metastásico	Mepact 4mg polv perf
Mozobil	*Plerixafor*	Potenciar la movilización de células madre hematopoyéticas a sangre periférica para su recogida y posterior trasplante autólogo en pacientes con linfoma y mieloma múltiple cuyas células se movilicen con dificultad	Mozobil 20mg/ml vial
Myozyme	*Aglicosidasa alfa*	Síndrome de Pompe	Myozyme 50mg vial
Naglazyme	*Galsulfasa*	Síndrome de Maroteaux-Lamy	Naglazyme 5mg vial
Nexavar	*Sorafenib*	Carcinoma hepatocelular y de células renales.	Nexavar 200mg comp
Nplate	*Romiplostin*	Purpura trombocitopénica inmune	Nplate 250mg vial Nplate 500mg vial
Nymusa	*Cafeina*	Apnea primaria en prematuros.	Nymusa 20mg/ml vial
Onsenal	*Celecoxib*	Reducción del número de pólipos adenomatosos intestinales en poliposis adenomatosa familiar.	Onsenal 400mg cap
Orfadin	*Nitisinona*	Tirosinemia hereditaria de tipo 1 (HT-1)	Orfadin 10mg cap Orfadin 5mg cap Orfadin 2mg cap
Pedea	*Ibuprofeno*	Cierre del ductus arterioso persistente hemodinámicamente significativo en prematuros de menos de 34 semanas gestacionales.	Pedea 10mg amp

PhotoBarr	*Porfímero sódico*	Ablación de la displasia de alto grado en pacientes con esófago de Barrett	PhotoBarr 75mg iny
			PhotoBarr 15mg iny
Prialt	*Ziconotida*	Dolor grave crónico en pacientes que necesiten analgesia intratecal	Prial 100mcg vial
			Prial 500mcg vial
Replagal	*Agalsidasa alfa*	Enfermedad de Fabry	Replagal 3,5mg vial
Revatio	*Sildenafilo*	Hipertensión arterial pulmonar (primaria o asociada a conectivopatía) de grado II y III.	Revatio 20mg comp
Revlimid	*Lenalidomida*	Mieloma multiple en combinación con dexametasona	Revlimid 25mg cap
			Revlimid 15mg cap
			Revlimid 10mg cap
			Revlimid 5mg cap
Revolade	*Eltrombopag*	Purpura trombocitopénica inmune	Revolade 25mg comp
			Revolade 50mg comp
Savene	*Dexrazosano*	Extravasación de antraciclinas	Savene 20mg/ml vial
Siklos	*Hidroxicarbamida*	Prevención de las crisis de oclusión de vasos dolorosas y recurrentes, como el síndrome torácico agudo en niños y adultos que padecen anemia drepanocítica sintomática	Siklos 1000mg comp
Soliris	*Eculizumab*	Hemoglobinuria paroxística nocturna	Soliris 300mg iny
Somavert	*Pegvisomant*	Acromegalia	Somavert 10mg iny
			Somavert 15mg iny
			Somavert 20mg iny
Sprycel	*Dasatinib*	Leucemia mieloide crónica y leucemia linfoblástica aguda con cromosoma Filadelfia positivo y crisis blástica linfoide procedente de LMC con resistencia o intolerancia al tratamiento previo.	Sprycel 70mg comp
			Sprycel 50mg comp
			Sprycel 20mg comp
Tasigna	*Nilotinib*	Leucemia mieloide crónica cromosoma Filadelfia positivo	Tasigna 200mg cap

Thalidomida Celgene	*Talidomida*	Mieloma múltiple	Thalidomida 50mg cap
Thelin	*Sitaxetan*	Hipertensión pulmonar clase III, hipertension pulmonar primaria y hipertensión pulmonar asociada a enfermedad del tejido conjuntivo.	Thelin 100mg comp
Torisel	*Temsirólimus*	Carcinoma de células renales y del linfoma de células del manto.	Torisel 25mg/ml vial
Tracleer	*Bosentan*	Hipertensión pulmonar III, hipertension pulmonar primaria, secundaria a la esclerodermia, hipertensión pulmonar asociada a cortocircuitos sistémico-pulmonares congénitos y fisiología de Eisenmenger y reducción del número de nuevas úlceras digitales en pacientes con esclerosis sistémica con alteración digital ulcerosa activa	Tracleer 125mg comp Tracleer 62,5 mg comp
Trisenox	*Trióxido de arsénico*	Leucemia promielocítica aguda recidivante/refractaria, caracterizada por la presencia de la traslocación t(15;17) y/o por la presencia del gen leucemia promielocítica/receptor alfa del ácido retinoico (PML/RAR-alfa).	Trisenox 10mg amp
Ventavis	*Iloprost*	Hipertension pulmonar primaria clase III	Ventavis 10mcg amp inh
Vidaza	*Azacitidina*	Tratamiento de sindromes mielodisplásicos, leucemia mieloide aguda y leucemia mielomonocitica crónica	Vidaza 25mg/ml iny
Volibris	*Ambrisentan*	Hipertensión pulmonar clase II y III, hipertension pulmonar primaria y hipertensión pulmonar asociada a enfermedad del tejido conjuntivo	Volibris 10mg comp Volibris 5mg comp
Vpriv	*Velaglucerasa*	Enfermedad de Gaucher tipo I	Vprip 400UI iny
Wilzin	*Acetato de Zinc dihidrato*	Enfermedad de Wilson	Wilzin 25mg comp Wilzin 50mg comp
Xagrid	*Anagrelide*	Trombocitemia esencial	Xagrid 0,5 mg cap
Yondelis	*Trabectedina*	Sarcoma de tejidos blandos avanzado, cáncer de ovario recidivante	Yondelis 1mg iny Yondelis 0,25mg iny
Zavesca	*Miglustat*	Enfermedad de Gaucher, enfermedad de Niemann Pick	Zavesca 100mg cap

Fármacos sin denominación huérfana

Nombre	PA	Indicación	Presentación
Adcirca	*Tadalafilo*	Hipertensión pulmonar II y III, hipertensión pulmonar idiopática y asociada con enfermedades del tejido conectivo.	Adcirca 20 mg 56 comp
Ammonaps	*Fenilbutirato de sodio*	Deficiencia de enzimas del ciclo de la urea: carbamoil fosfato sintetasa, ornitina-transcarbamoilasa o argininosuccinato-sintetasa	Ammonaps 500 mg 250 comp
			Ammonaps 940mg/G 266G granulado
Atryn	*Antitrombina alfa*	Profilaxis del tromboembolismo venoso en cirugía de pacientes con deficiencia de antitrombina congénita	Atryn 1750UI vial polv sol perf
Ceprotin	*Proteina C humana*	Púrpura fulminante y en necrosis cutánea inducida por cumarinas en pacientes con deficiencia congénita grave de proteína C, profilaxis a corto plazo en pacientes con deficiencia congénita grave de proteína C si es inminente la cirugía o la terapia invasiva, mientras se inicia la terapia cumarínica, cuando la terapia cumarínica no es suficiente y cuando la terapia cumarínica no es posible	Ceprotin 500UI sol iny
Cerezyme	*Imiglucerasa*	Enfermedad de Gaucher tipo I y III	Cerezyme 200UI vial
			Cerezyme 400UI vial
Cystagon	*Cisteamina*	Cistinosis nefropática	Cystagon 150mg cap
			Cystagon 50mg cap

Ferriprox	*Deferiprona*	Sobrecarga de hierro en pacientes que presentan talasemia mayor cuando la terapia con deferoxamina está contraindicada o es inadecuada	Ferriprox 500mg comp
Mabcampath	*Alemtuzumab*	Leucemia linfocítica crónica de células B	Mabcampath 30mg/ml amp
Mnesis	*Idebenona*	Ataxia Friedreich, Distrofia muscular de Duchenne, Neuropatía óptica hereditaria de Leber	
Panretin	*Alitretinoin*	Tratamiento tópico de las lesiones cutáneas en pacientes con Sarcoma de Kaposi.	Panretin 0,1% gel 60g
Refludin	*Lepirudina*	Anticoagulación en pacientes adultos con trombocitopenia inducida por heparina tipo II y enfermedad tromboembólica	Refludin 50mg vial
Rilutek	*Riluzol*	Esclerosis lateral amniotrófica	Rilutek 50mg comp
Samsca	*Tolvaptan*	Hiponatremia secundaria al síndrome de secreción inadecuada de hormona antidiurética	Samsca 15mg comp
			Samsca 30mg comp
Sutent	*Sunitinib*	GIST y cáncer de células renales.	Sutent 50mg cap
			Sutent 25mg cap
			Sutent 12,5 cap
Temodal	*Temozolomida*	Glioblastoma multiforme, glioma maligno	Temodal 180mg cap
			Temodal 140mg cap
			Temodal 100mg cap
			Temdoal 20mg cap
			Temodal 5mg cap
			Temodal 2,5mg/ml vial
Tetrahidrobiopterina	*Tetrahidrobiopterina*	Hiperfenilalaninemia	

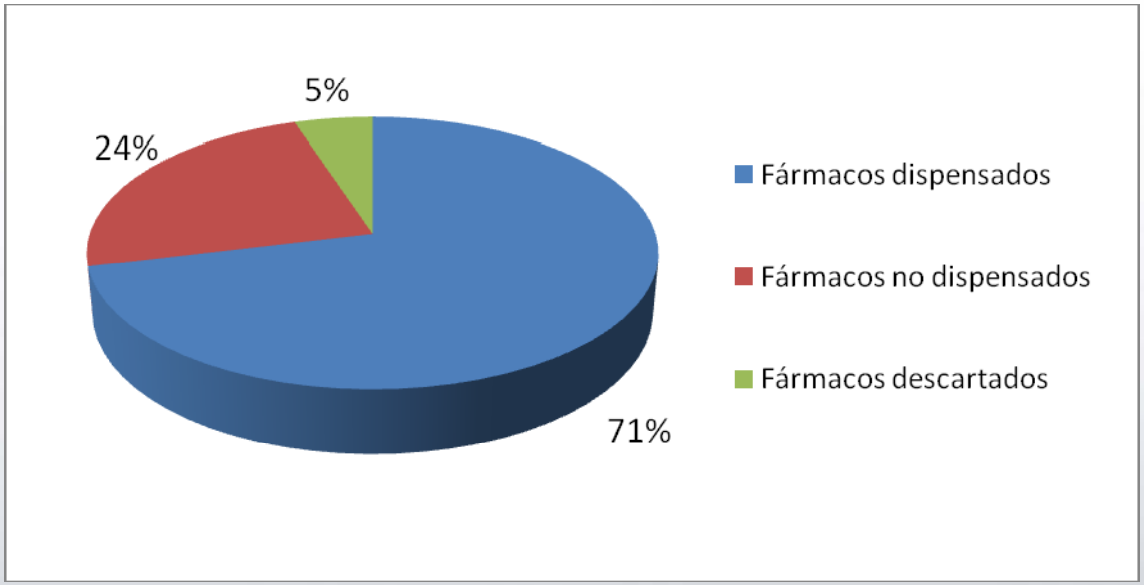
Thyrogen	*Tirotropina alfa*	Indicado junto con la determinación sérica de tiroglobulina (Tg) con o sin toma de imágenes con yodo radioactivo, para la detección de restos tiroideos y de cáncer de tiroides bien diferenciado en pacientes tiroidectomizados en tratamiento con terapia de supresión hormonal. Estimulación preterapéutica, en combinación con 100 mCi (3,7 GBq) de yodo radioactivo, para la ablación de restos de tejido tiroideo en pacientes que se han sometido a una tiroidectomía casi total o total por cáncer tiroideo bien diferenciado y que no presentan evidencias de metástasis a distancia del cáncer tiroideo	Thyrogen 0,9mg iny
Vedrop	*Tocofersolan*	Déficit de vitamina E producido por la malabsorción intestinal en pacientes pediátricos con colestasis congénita crónica o colestasis hereditaria crónica, desde el nacimiento (en los recién nacidos a término) hasta los 16 o 18 años de edad, dependiendo de la región	Vedrop 50mg/ml sol oral 60ml
Velcade	*Bortezomib*	Mieloma múltiple	Velcade 3,5mg iny
Votrient	*Panozamib*	Cáncer de células renales avanzado.	Votrient 200mg comp
			Votrient 400mg comp
Xyrem	*Oxibato sódico*	Narcolepsia	Xyrem 500mg/ml 180 ml
Zevalin	*Ibritumomab*	Linfoma no Hodgkin folicular de células B CD+20 y linfoma folicular.	Zevalin 1,6mg/ml equipo reactivo
Zutectra	*Inmunoglobulina humana contra la hepatitis B*	Prevención de la reinfección por el virus de la hepatitis B (VHB) en pacientes negativos para el ADN del VHB ≥ 6 meses después del trasplante de hígado por insuficiencia hepática inducida por la hepatitis B.	Zutrecta 500UI iny

Fármacos huérfanos no comercializados en España:

Nombre	P. Activo	Indicación
Ampyra	*Fampridina*	Guillain Barre
Artesunato	*Artesunate*	Malaria
Bosutinib	*Bosutinib*	LMC
Cimaher	*Nimotuzumab*	Ca pancreatico,gastrico
Dacogen	*Decitabina*	SMD,LMA
Defibrotide	*Defibrotide*	Prevencion de venooclusion hepatica
Flavopiridol	*Alvicidib*	LLC
Folotyn	*Pralatrexato*	Linfoma hodkin, linfoma t-cell periferico y cutaneo, ca vejiga,
Impavido	*Miltefosina*	leishmania,acantomoeba,linfoma t-cell
Mepolizumab	*Mepolizumab*	Sme hipereosinofilia
Midostaurin	*Midostaurina*	LMA,mastocitosis,
Ontak	*Denileukin*	Linfoma celulas T cutaneo
Pasreotido	*Pasireotido*	Acromegalia,cushing
Pomalidomida	*Pomalidomida*	MM, trombocitemia esencial,mielofibrosis primaria, PV
Remodulin	*Treprostinil*	Esclerosis sistemica, hipert pulmonar
Removab	*Catumaxomab*	Ca gastrico
Spanidin	*Gusperimus*	Granulomatosis de Wegener
Treosulfan	*Treosulfano*	ttto acondicionador de tx cel hematop
Zolinza	*Vorinostat*	Mesotelioma maligno
	Forodesina	LLC

RESULTADOS: FÁRMACOS DENOMINACIÓN HUERFANOS

- El total de fármacos con denominación huérfana seleccionados fueron 58, de ellos 41 fueron dispensados en algún hospital durante el año 2010.



Los 14 fármacos no dispensados en ningún hospital fueron: *Rinolacept, Ofatumumab, Aztreonam, Dihidrocloruro de histamina, Acido 5-aminolevulínico, Rufinamide, Cladribina, Mitotano, Galsulfasa, Cafeina, Porfímero sódico, Dexrazosano, Hidroxicarbamida y Celecoxib.*

Bosentan, Ambrisentan y *Velaglucerasa* han sido descartados debido a que la recogida de datos no es uniforme en todos los hospitales. En el caso de *Velaglucerasa* puede ser debido a las características especiales de comercialización (se comercializó a finales del 2010, anteriormente se dispensaba como uso fuera de indicación).

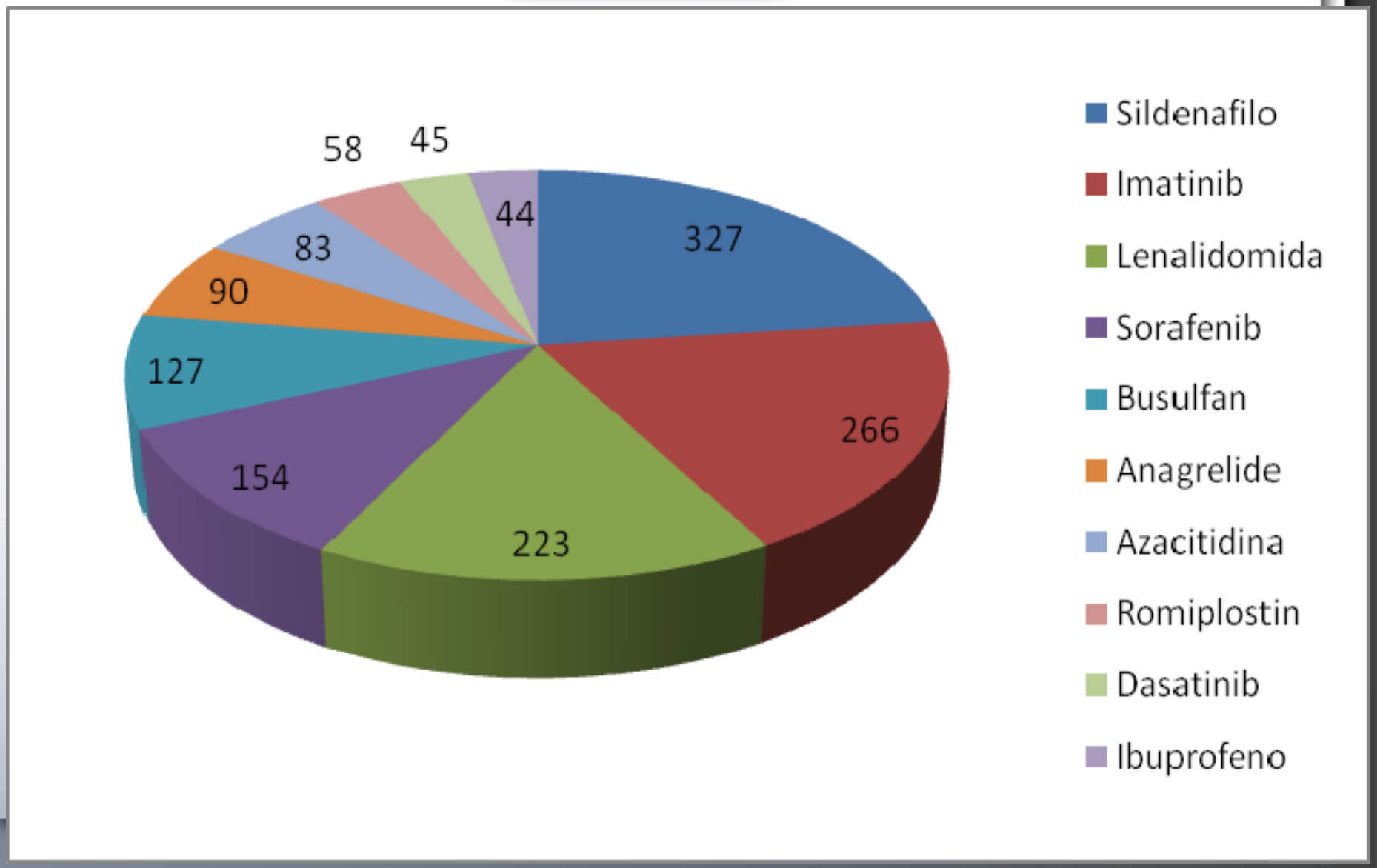
RESULTADOS POR HOSPITALES

	Bellvitge	Dr. Negrín	Arrixaca	Ciudad Real	Virgen de las Nieves	CH Ponteve dra	Severo Ochoa	La Fe	Miguel Servet	TOTAL
Unidades dispensadas	10123	50190	99673	33525	39809	49046	23256	178959	144477	**629058**
Nº Pacientes	11	120	254	101	108	99	92	562	449	**1796**
Coste	2.342.274	1.411.083	4.849.433	1.734.902	1.702.781,39	2.684.986	1.381.980	6.125.027	7.116.811	**29.349.277**
Nº Fármacos	6	18	27	17	13	15	16	34	32	

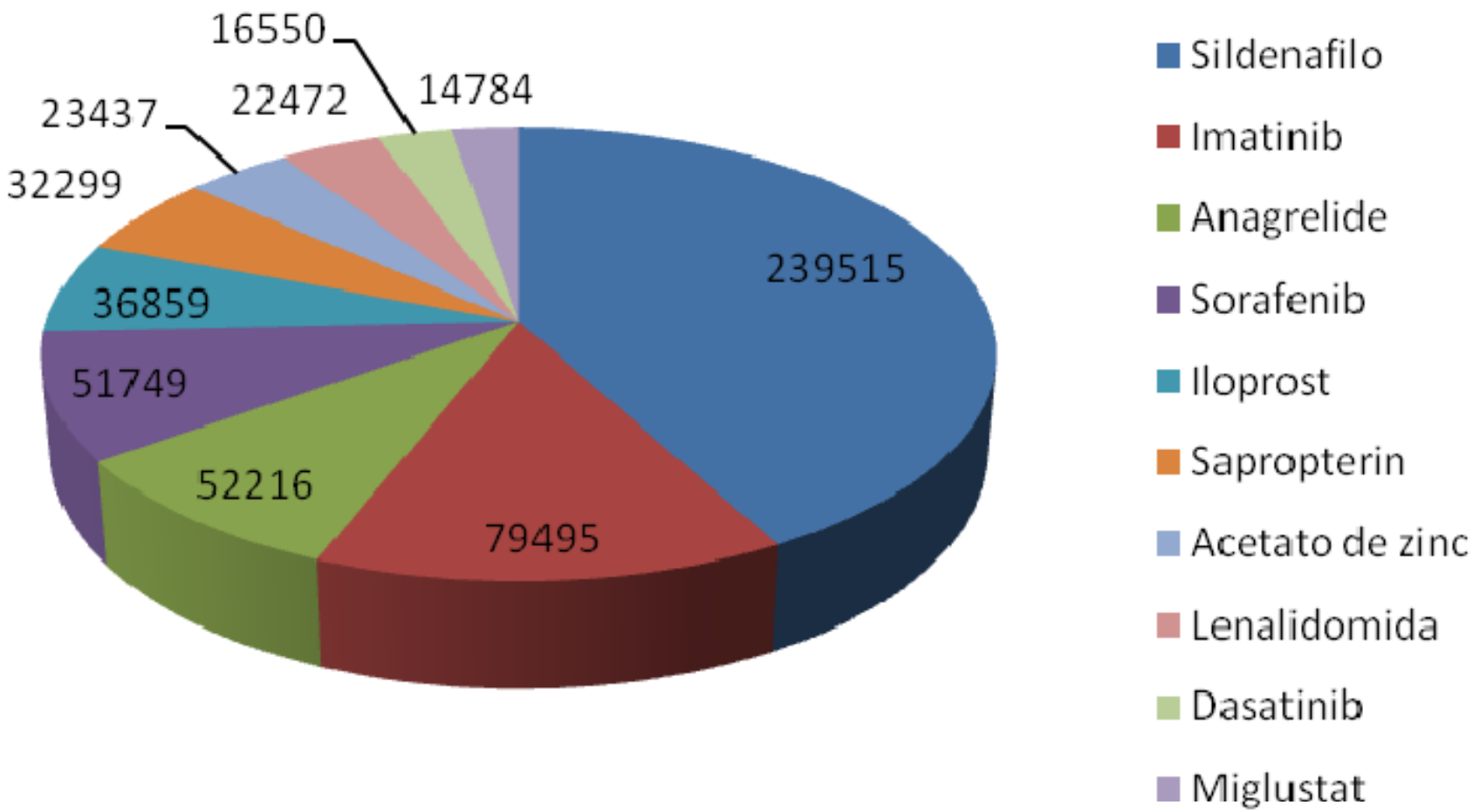
RESULTADOS

FARMACOS	Nº hospitales	Unidades dispensadas	Pacientes	Coste	Coste/unid	Coste /Pac
Lenalidomida	8	22472	223	6.246.995,06	277,99	28.013,43
Imatinib	8	79495	266	4.653.179,99	58,53	17.493,16
Agalsidasa alfa	5	1239	11	1.902.493,64	1.535,51	172.953,97
Sorafenib	7	51749	154	1.639.235,89	31,68	10.644,39
Eculizumab	5	326	12	1.466.477,40	4.498,40	122.206,45
Idursulfasa	3	465	9	1.269.537,56	2.730,19	141.059,73
Aglicosidasa alfa	3	2156	4	1.257.211,40	583,12	314.302,85
Sildenafilo	8	239515	327	1.255.254,48	5,24	3.838,70
Miglustat	4	14784	12	1.170.795,43	79,19	97.566,29
Azacitidina	8	3019	83	1.144.841,45	379,21	13.793,27
Dasatinib	6	16550	45	1.056.985,21	63,87	23.488,56
Trabectedina	8	520	42	851.317,68	1.637,15	20.269,47
Romiplostin	8	1170	58	746.259,88	637,83	12.866,55
Sapropterin	3	32299	26	701.071,54	21,71	26.964,29
Iloprost	7	36859	26	617.903,37	16,76	23.765,51
Nilotinib	7	13874	23	451.747,53	32,56	19.641,20
Sitaxentan	4	5066	21	386.110,20	76,22	18.386,20
Busulfan	5	1208	127	324.065,58	268,27	2.551,70
Amifampridina	1	10500	16	267.540,00	25,48	16.721,25
Canakimumab	1	24	5	263.577,60	10.982,40	52.715,52
Anagrelide	3	52216	90	217.822,70	4,17	2.420,25
Clofarabina	4	129	8	216.303,66	1.676,77	27.037,96
Pegvisomant	3	2102	6	196.278,55	93,38	32.713,09
Nitisinona	3	4495	5	146.998,67	32,70	29.399,73
Temsirolimus	6	68	14	125.497,66	1.845,55	8.964,12
Laronidasa	2	137	3	98.069,46	715,84	32.689,82
Mifamutide	1	31	2	94.044,08	3.033,68	47.022,04
Plerixafor	2	14	5	86.277,75	6.162,70	17.255,55
Everolimus	6	1161	19	79.614,28	68,57	4.190,23
Talidomida	7	8929	31	71.582,45	8,02	2.309,11
Icatibant	3	39	14	66.535,49	1.706,04	4.752,54
Betaina anhidra	3	151	12	62.100,20	411,26	5.175,02
Ibuprofeno	6	604	44	58.200,02	96,36	1.322,73
Trióxido de arsénico	2	157	1	54.263,95	345,63	54.263,95
Zicotonida	3	100	5	40.261,93	402,62	8.052,39
Acetato de zinc	5	23437	33	29.892,53	1,28	905,83
Acido carglumico	4	161	8	11.447,93	71,11	1.430,99
Agalsidasa beta	1	24	1	11.290,00	470,42	11.290,00
Stiripentol	2	1560	2	6.667,80	4,27	3.333,90
Mecasermin	1	3	1	1.918,00	639,33	1.918,00
Nelarabina	1	5	1	1.608,76	321,75	1.608,76
Eltrombopag	1	245	1		-	-
TOTAL		**629058**	**1796**	**29.349.276,76**	**46,66**	**16.341,47**

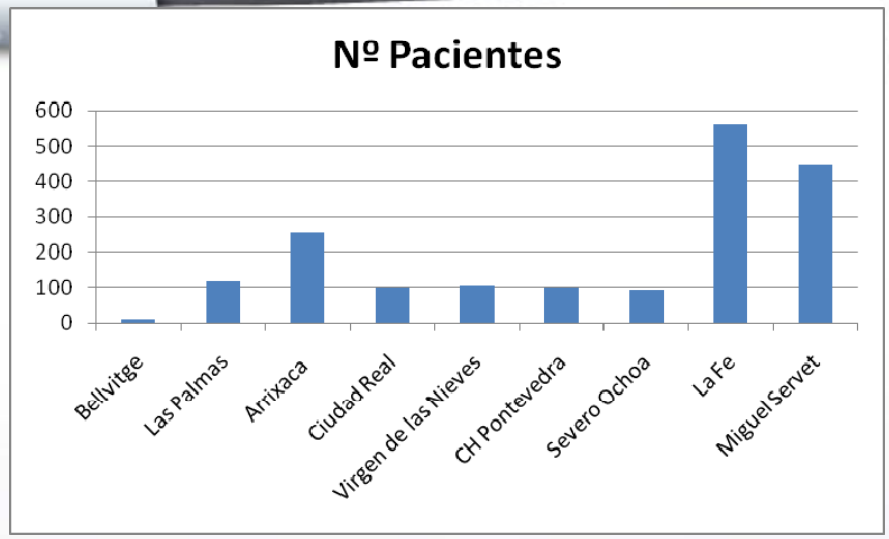
RESULTADOS: 10 fármacos con mayor nº pacientes

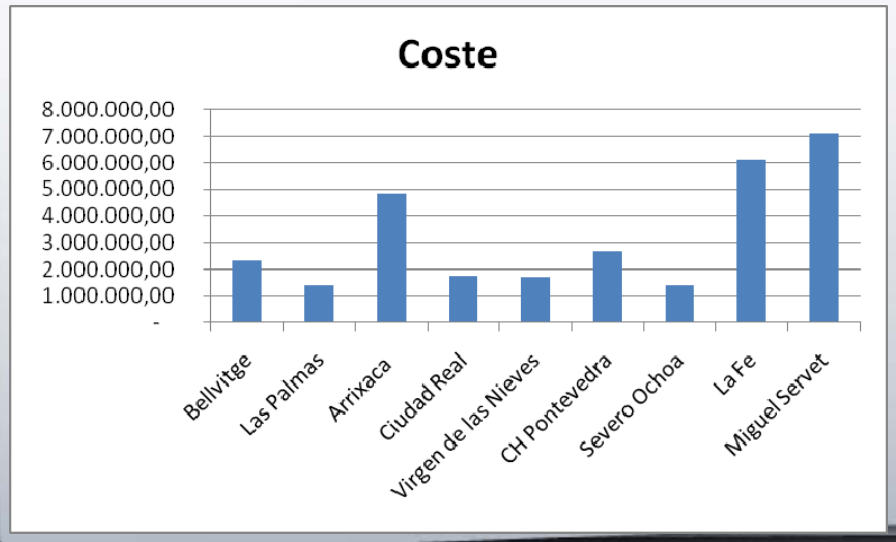


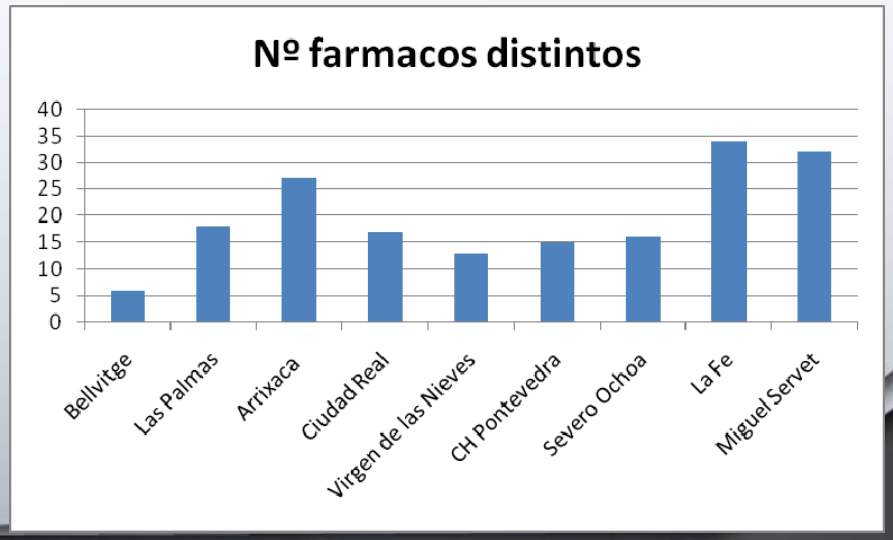
RESULTADOS: 10 fármacos con mayor nº unidades



Unidades dispensadas
200000
180000
160000
140000
120000
100000
80000
60000
40000
20000
0
Bellvitge
Las Palmas
Arrixaca
Ciudad Real
Virgen de las Nieves
CH Pontevedra
Severo Ochoa
La Fe
Miguel Servet


Nº Pacientes
600
500
400
300
200
100
0
Bellvitge
Las Palmas
Arrixaca
Ciudad Real
Virgen de las Nieves
CH Pontevedra
Severo Ochoa
La Fe
Miguel Servet


Coste
8.000.000,00
7.000.000,00
6.000.000,00
5.000.000,00
4.000.000,00
3.000.000,00
2.000.000,00
1.000.000,00
-
Bellvitge
Las Palmas
Arrixaca
Ciudad Real
Virgen de las Nieves
CH Pontevedra
Severo Ochoa
La Fe
Miguel Servet


Nº farmacos distintos
40
35
30
25
20
15
10
5
0
Bellvitge
Las Palmas
Arrixaca
Ciudad Real
Virgen de las Nieves
CH Pontevedra
Severo Ochoa
La Fe
Miguel Servet

Fármacos sin denominación Huérfana

FARMACOS	Nº hospitales	Unidades dispensadas	Pacientes	Coste	Coste/unid	Coste /Pac
Bortezomib	3	838	96	1074060,39	1.281,69	11188,1291
Imiglucerasa	4	562	7	770627,35	1.371,22	110089,621
Sunitinib	3	7025	48	608814,93	86,66	12683,6444
Riluzol	3	90751	63	395701,47	4,36	6280,97571
Temozolamida	3	7677	68	318442,29	41,48	4682,97485
Tirotropina alfa	4	376	113	134461,4	357,61	1189,92389
Ibritumomab	2	13	12	129691,64	9.976,28	10807,6367
Oxibato sódico	3	278	16	90104,14	324,12	5631,50875
Idebenona	2	28615	12	45695,47	1,60	3807,95583
Panozamib	1	754	3	24894,82	33,02	8298,27333
Tolvaptan	2	152	5	11794,39	77,59	2358,878
Deferiprona	2	5000	5	8009,84	1,60	1601,968
Alemtuzumab	1	5	1	1982,44	396,49	1982,44
Lepirudina	1	19	*	724	38,11	*
TOTAL	**34**	**142065**	**449**	**3615004,57**	**13.991,83**	**180603,93**

Resultados por hospitales. Fármacos sin designación huérfana

	Bellvitge	Las Palmas	Arrixaca	Severo Ochoa	Miguel Servet	TOTAL
Unidades dispensadas	75801	19541	156	1062	45505	**142065**
Nº Pacientes	4	167	1	45	232	**449**
Coste	465.910	900.563	224.256	310.090	1.714.185	**3.615.004**
Nº Farmacos	4	10	1	6	13	**14**

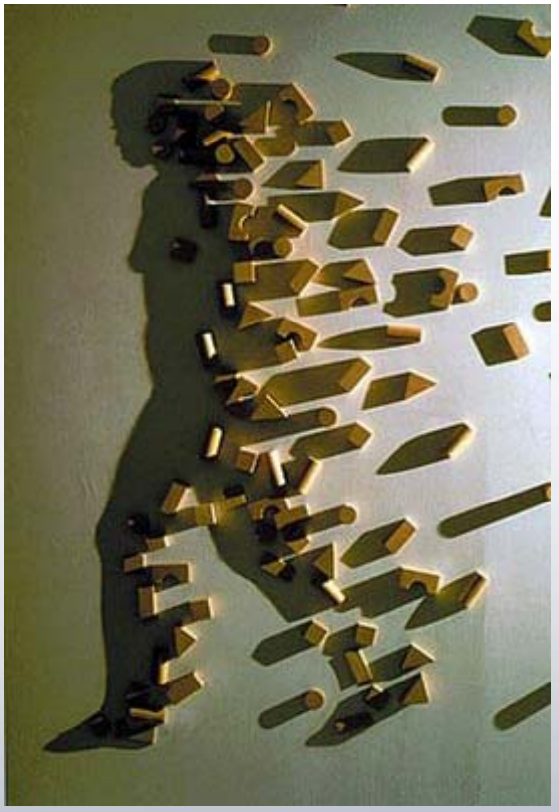
Fármacos extranjeros

	TREPROSTINIL			FAMPRIDINA			DEFIBROTIDE			MILTEFOSTINA		
	Nº unidades	Pacientes	Coste	Nº unidades	Pacientes	Coste	Nº unidades	Pacientes	Coste	Nº unidades	Pacientes	Coste
Las Palmas	25	2	163.280,00									
Arrixaca							1.085	1	183.162	154	1	7.086
Ciudad Real	15	1	122460,00	120	1	1.207,84						
Miguel Servet	10	1	137.155,20							56	1	2.095,58
TOTAL	**50**	**4**	**422.895,20**	**120**	**1**	**1.207,84**	**1.085**	**1**	**183.162**	**210**	**2**	**9.181,58**

Por Hospitales

	Las Palmas	Arrixaca	Ciudad Real	Miguel Servet	TOTAL
Unidades dispensadas	25	1239	135	66	**1465**
Nº Pacientes	2	2	2	2	**8**
Coste	163.280	190.248	123.668	139.251	**616.447**
Nº Farmacos	1	2	2	2	**4**

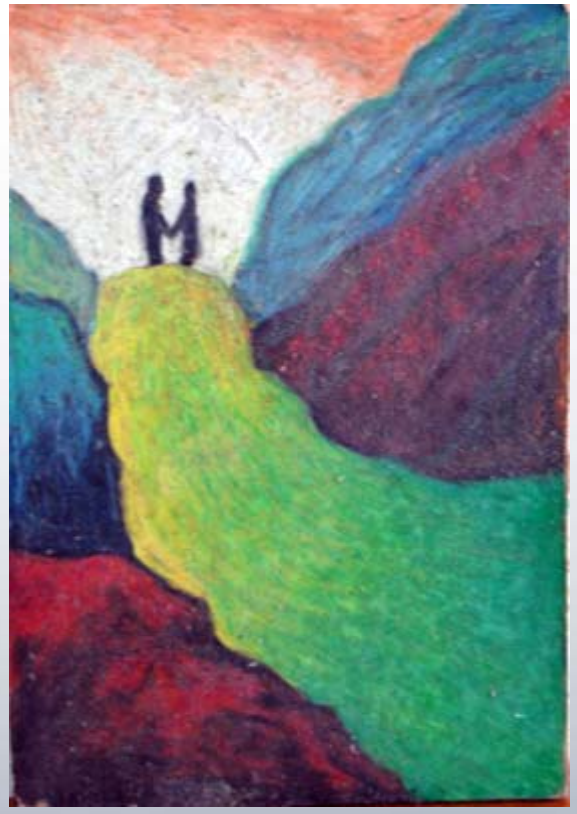
LIMITACIONES



- Faltan medicamentos extranjeros.
- Faltan medicamentos usados también en enfermedad convencional.
- No es real coste medio/paciente por variabilidad en la duración del tratamiento valorado

PERO……

- **PODEMOS CONOCER EL IMPACTO ECONÓMICO EN ESPAÑA DEL TRATAMIENTO DE LA ENFERMEDADES RARAS CON MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**



- **PONEMOS DE MANIFIESTO FRENTE A LA ADMINISTRACIÓN NUESTRO RELEVANTE PAPEL:**

DISPONEMOS DE INFORMACIÓN

Sólo es posible……..

COLABORACIÓN DE TODOS

- Reyes Abad
- Miguel Ángel Calleja
- Amelia De la Rubia
- Carmen Encinas
- Benito García
- Ramón Jódar
- Rafael Molero
- Guadalupe Piñeiro
- José Luis Poveda

Fundación Salud 2000

LOS RESULTADOS LOS

COMPARTIMOS EN BILBAO