



**Dossier de prensa 2015**

## **AELMHU une a los laboratorios de medicamentos huérfanos para potenciar la investigación en España**

**La inversión media para desarrollar un medicamento huérfano es de más de 1.500M€ y se tarda unos 12 años desde la síntesis hasta su comercialización**

**Sólo un 10 % de las más de 7.500 enfermedades raras que existen disponen de un mínimo conocimiento científico**

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos (AELMHU) es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con el compromiso de invertir en descubrir y desarrollar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras.

AELMHU está formada por los laboratorios Actelion, Alexion, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Genzyme, Ipsen, Orphan Europe, Shire, SOBI y Vertex. A día de hoy, los medicamentos desarrollados por estos laboratorios tratan alrededor de 50 enfermedades raras, como las inmunodeficiencias primarias; las Mucopolisacaridosis, el Síndrome Hemolítico Urémico atípico (SHUa), la Fenilcetonuria; el síndrome de Lambert-Eaton; el Angioedema Hereditario; la Enfermedad de Fabry o la Enfermedad de Gaucher, entre otras.

En nuestro país, son muy pocos los laboratorios que se dedican a la I+D de medicamentos huérfanos y ultra huérfanos. Los que sí lo hacen, contribuyen no sólo al desarrollo y comercialización de estos fármacos, sino también al mejor conocimiento científico de la propia enfermedad, ya que muchas veces son los únicos que investigan una patología concreta.

La mayoría de los miembros de AELMHU están desarrollando un esfuerzo en I+D continuado y sistemático, que puede llegar hasta el 25% del beneficio neto.

Como explica el presidente de AELMHU, Luis Cruz *“queremos unir esfuerzos con las asociaciones de pacientes, el ámbito médico, sanitario, y las administraciones públicas para lograr una mayor concienciación sobre la importancia de destinar mayores recursos a esta causa y lograr que los afectados reciban un trato más equitativo en el conjunto del Estado”*.

Desde AELMHU hacen especial hincapié en difundir el conocimiento científico y médico de estas patologías y en su importancia para conseguir un diagnóstico precoz. Así, todos los socios de AELMHU organizan programas de formación continuada y colaboran con sociedades médicas y asociaciones de pacientes.

Los principales objetivos de AELMHU son dar visibilidad a las características especiales de las enfermedades raras y ultra-raras; informar sobre el valor que aportan los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos para el tratamiento de estas patologías, y facilitar el acceso de estos medicamentos a los afectados por enfermedades minoritarias.

## **Los laboratorios invierten una media de 1.500M€ para desarrollar un medicamento huérfano**

El riesgo y el coste del desarrollo de un nuevo medicamento es muy elevado, y más aún en el caso de las enfermedades raras, ya que no existe conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico. Tanto es así que sólo una de cada 100.000 moléculas investigadas llega finalmente al mercado.

*“Uno de nuestros retos es conseguir que las autoridades sanitarias inviertan en nuevos diagnósticos y tratamientos de forma sostenibles para todos. Hemos de asegurar que, a la hora de asignar recursos financieros, las enfermedades raras se encuentran en el nivel de prioridad que merecen”,* detalla Cruz.

Además, pasan más de 12 años de media desde la síntesis de un fármaco hasta su comercialización y el coste medio de pre-comercialización de un nuevo tratamiento supera los 1.500 millones de euros de media, entre un rango muy amplio que va desde los 1.200 a los 15.000 millones de euros. A esto se le tiene que añadir que se está entre seis y nueve meses desde que los laboratorios tienen la materia prima hasta que la elaboran, teniendo que superar más de 400 controles de calidad.

## **Sólo un 10% de enfermedades raras disponen de un mínimo conocimiento científico**

Las enfermedades raras son aquellas que afectan a un máximo de 5 de cada 10.000 habitantes en Europa. En caso de que la enfermedad afecte a menos de 1 cada 50.000 personas, estaríamos hablando de una enfermedad ultra-rara.

En España, más de 3 millones de personas sufren enfermedades raras o ultra-raras, pero sólo el 6% disponen de tratamiento específico.

Se estima que existen cerca de 7.500 enfermedades raras diferentes que afectan a un 7% de la población mundial. De estas, sólo existe un mínimo conocimiento sobre el 10% de ellas, por lo que actualmente hay más de 5.000 enfermedades raras que no tienen ningún tratamiento farmacológico. Por ello, es necesario continuar apoyando la investigación desde todos los sectores, públicos y privados.

El 80% de las enfermedades raras son de origen genético y afectan tanto a niños como adultos. En general, se caracterizan por ser progresivas, debilitantes y degenerativas, y suelen provocar dolores crónicos a quienes las padecen, con el consiguiente deterioro de la calidad de vida que ello supone.

## **Más equidad en el diagnóstico y tratamiento**

Uno de los principales retos de AELMHU es asegurar la equidad en el diagnóstico, tratamiento y financiación de los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos, ya que existen grandes diferencias entre CCAA, así como que los nuevos productos autorizados en Europa lleguen a los pacientes españoles lo antes posible.

De los 81 medicamentos autorizados en Europa con designación de medicamento huérfano, 69 están aprobados por la Agencia Española del Medicamento y de éstos, sólo 47 están comercializados actualmente en España.

La causa suele encontrarse en retrasos en el proceso de la decisión de financiación y precio por parte del Ministerio de Sanidad, que tarda una media de 17 meses en completar, bien sea por el propio retraso en el proceso o por la falta de acuerdo entre el *Ministerio de Sanidad* y el laboratorio titular en la fijación del precio financiado del medicamento por el Sistema Nacional de Salud.

Como explica el presidente de la asociación, Luis Cruz, *"desde AEMHU proponemos que las CCAA tengan presupuestos específicos para los tratamientos de las enfermedades raras para evitar que las economías de algunos centros hospitalarios se vean afectados"*.

### **Los desayunos AELMHU**

AELMHU organiza, desde 2012, encuentros periódicos con la presencia de las principales asociaciones de pacientes y entidades políticas y sanitarias, con el objetivo de aumentar la conciencia sobre las enfermedades raras y ultra-raras, impulsar el desarrollo de fármacos que las traten reconociendo su valor terapéutico y social, y defender el acceso rápido y equitativo tanto al diagnóstico como a los tratamientos.

Los desayunos de AELMHU se realizan en distintas ciudades españolas, con la presencia de un ponente destacado.

#### **Para más información:**

Atrevia

Laura Puig

[lpuig@atrevia.com](mailto:lpuig@atrevia.com)

93.419.06.30/ 636.51.64.48

Pol Masdeu

[b2b.bcn@atrevia.com](mailto:b2b.bcn@atrevia.com)

93.419.06.30

## ANNEXO: LABORATORIOS DE AELMHU

---



Actelion Ltd. es una compañía biofarmacéutica, con sede principal cerca de Basilea (Suiza). Fundada en 1997, la compañía está especializada en la investigación de terapias relacionadas con el endotelio, habiendo desarrollado un fármaco para la hipertensión arterial pulmonar, que comercializa a través de sus delegaciones situadas en Estados Unidos, la Unión Europea, Japón, Canadá y Australia. Actelion cuenta con 2.400 empleados centrados en la I+D en el campo de las enfermedades minoritarias que no cuentan con terapia médica.



Compañía biofarmacéutica internacional fundada en 1992 en Estados Unidos, focalizada en la investigación y el desarrollo de nuevas terapias para enfermedades raras, que son muy poco frecuentes, graves y potencialmente mortales y que, actualmente, no disponen de ningún tratamiento efectivo.



Compañía biofarmacéutica fundada en 1997 con sede central en Estados Unidos. Ha desarrollado y comercializado 4 productos para el tratamiento de enfermedades como la Mucopolisacaridosis, la Fenilcetonuria y el síndrome de Lambert-Eaton.



Fundada en Italia en 1935, la compañía opera en todo el mundo a través de 24 filiales, incluyendo la producción, investigación y distribución de sus productos farmacéuticos en más de 60 países. Chiesi está presente en España desde el año 1995, país en el que cuenta con una amplia cartera de productos, que se concentran principalmente en tres áreas terapéuticas: cardiovascular, respiratorio y neonatología.

## CSL Behring

Compañía farmacéutica internacional con plantas en Suiza, Alemania y Estados Unidos, especializada en la producción de productos de origen plasmático, para el tratamiento de enfermedades como la hemofilia y otras alteraciones de la coagulación, trastornos inmunológicos, agentes cicatrizantes utilizados en procesos de cirugía mayor y expansores del plasma. Adicionalmente CSL Behring gestiona una de las mayores redes de recolección de plasma a nivel mundial de la que es propietaria.



Compañía biofarmacéutica pionera en la investigación, desarrollo y comercialización de tratamientos para pacientes afectados por enfermedades poco frecuentes y debilitantes. Se centra en enfermedades de depósito lisosomal y en esclerosis múltiple, dedicándose a ejercer un impacto positivo en las vidas de los pacientes así como de sus familias. Como empresa Sanofi, Genzyme se beneficia del alcance y los recursos de una de las mayores empresas farmacéuticas del mundo, con el compromiso común de mejorar las vidas de los pacientes.



Compañía farmacéutica de biotecnología orientada a soluciones de salud especializadas para determinadas enfermedades debilitantes en el campo de la neurología, endocrinología y uro-oncología. Con cerca de 4.800 empleados en todo el mundo, Ipsen tiene una política de alianzas activa con una alta inversión en I+D que, en 2011, representó más de un 21% de las ventas del grupo. La I+D está enfocada en plataformas tecnológicas orientadas al paciente, innovadoras y diferenciadas en péptidos y toxinas. La compañía está implantada en España desde hace 25 años.



Fundada en 1990, Orphan Europe es una compañía dedicada exclusivamente a proveer tratamientos a pacientes de enfermedades raras. Actualmente la compañía suministra 9 productos a pacientes en todo el mundo. Orphan Europe cuenta con 130 colaboradores en 15 países y una infraestructura adaptada a la producción y distribución a pequeña escala. La compañía colabora con Orphan Europe Academy y en la difusión del conocimiento sobre las enfermedades raras entre los profesionales de la salud.



Shire es una compañía biofarmacéutica dedicada a la investigación y desarrollo de tratamientos en el área de las neurociencias, enfermedades raras (Enfermedad de Fabry, el Síndrome de Hunter, la Enfermedad de Gaucher y el Angioedema Hereditario), así como de la medicina interna y la gastroenterología.

Shire centra su actividad en áreas terapéuticas concretas con el fin de brindar un servicio de excelencia a pacientes, cuidadores y profesionales de la salud y cumplir con su misión de mejorar la calidad de vida de las personas que padecen estas patologías.



Empresa biofarmacéutica sueca especializada en el desarrollo y la producción de terapias innovadoras y servicios orientados a mejorar la calidad de vida de pacientes de enfermedades raras y sus familias. Las áreas claves terapéuticas en las que Sobi centra su actividad son Inflamación, y Genética y Metabolismo. Los productos de Swedish Orphan Biovitrum se comercializan a nivel internacional.



Vertex es una empresa biotecnológica que tiene como objetivo descubrir, desarrollar y comercializar nuevas medicinas innovadoras para que personas con problemas graves puedan tener una calidad de vida mejor. Se fundó en el año 1989 en la localidad de Cambridge, Estados Unidos y actualmente está presente en Estados Unidos, Canadá, Europa y Australia.