

DOCUMENTO DE PREGUNTAS Y RESPUESTAS – Q&A

SOBRE AELMHU

¿Qué es AELMHU?

La Asociación Española de Laboratorios Huérfanos y Ultra-huérfanos (AELMHU) es una asociación sin ánimo de lucro creada en el 2011, que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por invertir en descubrir, investigar y desarrollar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras.

¿Por qué se crea AELMHU?

La creación de AELMHU se debe a la necesidad social de hacer visibles las características especiales de las enfermedades raras y ultra-raras y de sus tratamientos específicos, los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos, con el objetivo de mejorar la situación de personas que padecen EERR en España.

La creación de una plataforma desde la que aglutinar al sector de las empresas comprometidas con la lucha contra las EERR nos tiene que permitir convertirnos en un interlocutor válido ante las instituciones públicas y entidades privadas en el ámbito sanitario y científico, así como con las asociaciones de pacientes.

¿Cuál es la misión de AELMHU?

- Informar sobre el valor terapéutico y social que aportan los MMHH
- Mejorar el conocimiento de los tratamientos con MMHH y de las EERR
- Conciliar la innovación que aporta los MMHH con el acceso a los tratamientos
- Contribuir al conocimiento sobre el valor terapéutico y social que aportan los medicamentos huérfanos, mejorando la sensibilización de la sociedad y administración sobre los tratamientos con los MMHH y las enfermedades raras en general.

¿Cuál son sus retos?

Los principales retos de AELMHU son 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.

¿Cuáles son sus principales objetivos?

AELMHU tiene como objetivos principales:

- Promover el conocimiento de las Enfermedades Raras (EERR) y los Medicamentos Huérfanos y Ultra-Huérfanos (MMHH) ante comunidad médica y científica, las autoridades públicas, representantes políticos, las asociaciones de pacientes y

sociedad en general de cara a mejorar para mejorar el diagnóstico y el tratamiento de las EERR

- Defender la mejor y mayor accesibilidad para el paciente y las entidades sanitarias de MMHH evitando demoras innecesarias en los procedimientos administrativos.
- Garantizar la equidad en el diagnóstico y tratamiento de los pacientes con EERR
- Obtener un entorno normativo, administrativo y político estable, ágil, previsible y transparente para que las compañías que investigan y desarrollan MMHH puedan defender y promocionar los MMHH como categoría única, especial y diferenciada para el tratamiento de las EERR manteniendo en todo momento su claro compromiso con la I+D+i

¿Qué compañías forman parte de AELMHU?

Actualmente AELMHU está formada por 13 compañías farmacéuticas y biotecnológicas:

1. Actelion
2. Alexion
3. Amicus Therapeutics
4. BioMarin Europe Ltd.
5. Chiesi
6. CSL Behring
7. Sanofi Genzyme
8. Ipsen
9. Kyowa Kirin
10. Orphan Europe
11. Shire Pharmaceuticals Ibérica, S.L.
12. Swedish Orphan Biovitrum
13. Vertex

¿Quién componen la Junta Directiva de la asociación?

Desde octubre del 2016 el equipo directivo está formado por:

- Josep Maria Espinalt, Presidente de AELMHU y DG de Alexion Pharma Spain
- Francisco Vivar, Vicepresidente de AELMHU y DG de Sanofi Genzyme
- Javier Urcelay, Vicepresidente de AELMHU y DG de Shire
- Margarita Iniesta, Directora Ejecutiva
- Naciba Zetchi, Secretaria Técnica

La elección de los miembros del órgano de representación se hace por sufragio libre de los miembros de la Asamblea General y tiene un periodo de duración de dos años.

FINANCIACIÓN Y ALIANZAS

¿Cómo se financia AELMHU?

AELMHU es una entidad sin ánimo de lucro y se financia con recursos propios aportados por los laboratorios que lo integran.

¿Con qué otras compañías o instituciones mantienen acuerdos de colaboración AELMHU?

AELMHU colabora con la comunidad médica y científica, las autoridades públicas y políticas, asociaciones profesionales y de pacientes que prosiguen los mismos objetivos. Por ejemplo, AELMHU ha colaborado en diversas ocasiones con la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), el Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER) del Instituto de Salud Carlos III y la Fundación Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras (MEHUER).

Además, la asociación organiza encuentros periódicos en diferentes ciudades españolas (“Los Desayunos de AELMHU”) con la participación de representantes de instituciones públicas y privadas. También participa en diversos congresos, foros y eventos con la finalidad de aumentar la conciencia social y mejorar la calidad de vida y la situación de los afectados por EERR.

Desde el 2015 AELMHU lleva promoviendo un documento de “Recomendaciones sobre EERR” firmado por más de 71 organizaciones de pacientes, profesionales e industria para recabar voluntad política con el fin de alcanzar compromisos y soluciones conjuntas con los colectivos involucrados en el ámbito de las EERR.

SOBRE LOS MMHH Y EL SECTOR

¿Qué son los medicamentos huérfanos?

Los medicamentos huérfanos (MMHH) son fármacos destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar una enfermedad que carece de tratamiento alternativo y que puede poner en peligro la vida o conllevar una incapacidad grave y crónica de los pacientes. Las enfermedades raras, no afectan a más de 5 personas de cada 10.000 habitantes, y son pocos los laboratorios que se dedican a las I+D de este tipo de medicamentos que contribuyen, en la mayoría de los casos, a que los pacientes puedan acceder a un tratamiento de alta calidad.

¿Cómo se financian los medicamentos MMHH en España?

Los MMHH están subvencionados por el Sistema Nacional de Salud. La decisión sobre su financiación y precio dependen del Ministerio de Sanidad.

¿Por qué hay pocos laboratorios que apuesten por desarrollar MMHH?

La investigación científica supone un desafío, económico y de tiempo. Gran parte de los beneficios de las compañías que forman parte de AELMHU reinvierten en investigación y

desarrollan esfuerzo en I+D que les llevan varios años y les supone hasta el 25% del beneficio neto. Por lo tanto, rentabilizar los esfuerzos en investigación es muy difícil, en enfermedades que se caracterizan por su baja prevalencia.

Además, ante esta situación, en la mayoría de las ocasiones existen muy pocas oportunidades para aprovechar economías de escala ya que el coste/efectividad de los nuevos fármacos es muy difícil de conseguir. Sólo una pequeña proporción de los medicamentos designados como huérfanos llega a obtener la Autorización de Comercialización (1 de cada 100.000 moléculas investigadas).

¿De dónde provienen los beneficios de las compañías que comercializan MMHH?

Como cualquier otra compañía farmacéutica, los beneficios de los laboratorios asociados a AELMHU provienen de las ventas de los fármacos que desarrollan y comercializan.

El sector goza de una especial protección por parte de las Autoridades Sanitarias que, a partir de la Normativa europea (Reglamento 141/2000), ha impulsado una serie de medidas que permiten el desarrollo del sector. De no ser así, éste no podría existir y dejaría a las personas afectadas por estas enfermedades en una situación de indefensión y agravio comparativo respecto al resto de la población.

Entre estas medidas, está la autorización mediante procedimiento centralizado en la Agencia Europea del Medicamento, gracias al cual un medicamento queda autorizado automáticamente en todos los países miembros, derecho de exclusividad comercial de 10 años, asesoramiento científico y reducción de las tasas de registro.

¿Cuántas compañías farmacéuticas en total se dedican a MMHH en España Y Europa?

Hay pocas compañías especializadas en medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos. Algunas compañías tienen una línea MMHH aunque no sea su especialidad.

En Europa, con el objetivo de paliar el bajo conocimiento científico existente en el campo de las enfermedades raras, se aprobó hace unos años el Reglamento de la UE 141/2000, que establece incentivos para promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos por parte de la industria farmacéutica. Esta normativa ha tenido un impacto positivo y ha impulsado el desarrollo de nuevos medicamentos en la UE.

¿Qué patologías cubren estas compañías? ¿Por qué estas y no otras?

Actualmente, se estima que existen más de 7.000 EERR, y la mayoría aún no tienen ninguna opción terapéutica. Sólo se dispone de un mínimo conocimiento científico para un 10% de ellas, por lo que existen más de 5.000 enfermedades raras que no tienen ningún tratamiento farmacológico. Por este motivo, es necesario continuar apoyando la investigación desde todos los sectores, públicos y privados.

Si bien es cierto que la legislación impulsada desde la UE y en España (con la creación de la Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud) ha buscado sentar las bases

para facilitar el desarrollo y la puesta a disposición de los medicamentos, todavía son pocos los tratamientos eficaces y, en todo caso sólo para un número reducido de patologías, por lo que queda mucho por hacer.

¿Cuál es la situación de acceso de lo MMHH en España?

Según un estudio de AELMHU, en los últimos 4 años en España los MMHH han obtenido precio y financiación (P&R) tres veces menos. Se ha cuadruplicado el número de MMHH no financiados, y se ha quintuplicado el número de MMHH pendientes de decisión de P&R.

Actualmente, hay autorizados 94 medicamentos huérfanos en Europa, pero sólo 80 están aprobados en nuestro país y, de éstos, tan sólo 50 se comercializan en España. A día de hoy sólo el 6% de los afectados por EERR en nuestro país dispone de tratamiento específico.

¿Por qué no están disponibles todos los medicamentos aprobados por la EMA en España?

A pesar de la existencia de una normativa común a nivel europeo, las políticas de acceso, como la fijación del precio, evaluación de tecnologías y condiciones de reembolso y utilización, son competencia exclusiva de los Estados Miembros y de las CCAA.

En España, no existe un presupuesto específico, y las CCAA tienen que hacer disponibles sus propios recursos financieros, por lo que hay varias Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias autonómicas y comités hospitalarios que re-evalúan el fármaco forzando diferentes criterios de acceso según la CCAA. En la práctica, la diferente regulación entre territorios ha dado lugar a situaciones de inequidad y diferencias entre países y regiones.

Según un estudio desarrollado por AELMHU, se ha detectado que, durante los últimos 4 años (2012-2015), se ha producido un alarmante descenso en los MMHH que llegan al mercado, debido a la decisión por parte de la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos (CIPM) de no financiar un gran número de ellos. Además, la existencia de los Comités Autonómicos de Evaluación (CAE) e innumerables comités hospitalarios que re-evalúan el fármaco y sus condiciones de uso, tiene como consecuencia que se establezcan criterios de acceso distintos. Estas diferencias en la disponibilidad de medicamentos, ha motivado que muchos afectados por EERR tengan que enfrentarse a graves dificultades para acceder a la medicación que necesitan. Según el estudio de AELMHU a España tan sólo llegan un 25% de MMHH menos y se comercializan un 46% de MMHH menos que en la UE.

¿Por qué existen tantas diferencias en el acceso a los MMHH?

A pesar de la existencia de una normativa común a nivel europeo, que establece incentivos con el objetivo de impulsar el sector de los MMHH, las políticas de acceso, como la fijación del precio, evaluación de tecnologías y condiciones de reembolso y utilización, son competencia exclusiva de los Estados Miembros y de las Regiones.

En la práctica, la diferente regulación entre territorios ha dado lugar a una situación de inequidad, tanto desde el punto de vista de la situación normativa en los diferentes territorios, como a nivel práctico, por las diferencias de tratamiento que se dan incluso entre centros hospitalarios.

¿Cuál es la situación normativa en España?

Como en el resto de la UE, la normativa aplicable es el Reglamento 141/2000 que regula la autorización los medicamentos huérfanos y establece incentivos para su desarrollo y comercialización. Sin embargo, las políticas de acceso (fijación del precio, evaluación de tecnologías, condiciones de reembolso y utilización) son competencia exclusiva de los Estados Miembros.

En España, la existencia de 8 Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias autonómicas y diversos comités hospitalarios que re-evalúan el fármaco, tiene como consecuencia que a menudo se establezcan criterios de acceso distintos. Esta diferencia en la disponibilidad de medicamentos ha motivado que muchos afectados por enfermedades raras se tengan que enfrentar a graves dificultades para acceder a la medicación que necesitan. Además, las diferencias en el acceso a los tratamientos, ha motivado que cerca de la mitad de los pacientes se haya visto obligada a viajar fuera de su provincia en los últimos años a causa de su enfermedad, según el estudio EnSerio2 de FEDER.

¿Cuáles son las principales problemáticas a abordar en nuestro país?

Las asociaciones de pacientes se quejan principalmente de la dificultad de acceder de forma precoz a diagnóstico y a tratamiento adecuados y, posteriormente, de la dificultad para mantener los tratamientos. Esta dificultad se ve incrementada por la situación de inequidad existente entre las diferentes Comunidades Autónomas e incluso, entre distintos centros hospitalarios.

Otra problemática es que muchos medicamentos no están financiados por nuestro Sistema Nacional de Salud como apunta el estudio de AELMHU. En general, casi la mitad de los pacientes no recibe tratamiento alguno, y de los que reciben alguno, en muchos casos no es el específico para su enfermedad.

¿Cómo afectan las crisis económicas al sector de las EERR?

Las crisis económicas aumentan las dificultades en el acceso a los distintos recursos de atención sanitaria, y dificulta todavía más el acceso a los MMHH ya que los presupuestos de las distintas administraciones y centros hospitalarios, por lo general, se ven afectados contando con recursos insuficientes para estos tratamientos.

¿Cree que se hace buena investigación en España? ¿Cree que los recursos son suficientes?

La investigación en las EERR es la única esperanza que tienen las personas con enfermedades poco frecuentes, muy graves y potencialmente mortales de poder mejorar su calidad de vida y, en algunos casos, incluso de llevar una vida prácticamente normal.

Los tratamientos persiguen controlar las consecuencias de la enfermedad y de proporcionar a los pacientes la mejor calidad de vida posible. Desgraciadamente, el número de enfermedades

minoritarias es muy elevado y todavía estamos lejos de poder dar una esperanza a la mayoría de ellas. Hemos de seguir investigando, y para ello se requieren recursos y apoyos, y aunque el nivel de los investigadores españoles es muy bueno, disponemos de recursos insuficientes para poder desarrollar más y mejores proyectos.

¿Debería haber mayor apoyo público a la investigación?

En España se debería invertir mucho más en investigación básica, algo que sería fundamental para que en el futuro podamos desarrollar fármacos específicos con mayores garantías, y ampliar el abanico de enfermedades curables.

En Europa, con el objetivo de paliar el bajo conocimiento científico existente en el campo de las enfermedades raras, se aprobó hace unos años el Reglamento de la UE 141/2000, que establece incentivos para promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos por parte de la industria farmacéutica. Esta normativa sin duda ha tenido un impacto positivo en la investigación de MMHH.

¿Por qué los miembros de AELMHU han apostado por la I+D en este tipo de enfermedades?

La investigación en enfermedades raras es un reto a todos los niveles, porque son muy poco frecuentes, complicadas de diagnosticar, difíciles de investigar y porque la gran mayoría de ellas no tienen ningún tratamiento que sea efectivo.

Es importante satisfacer las necesidades de estos pacientes, y es por ello, que las compañías que forman parte de AELMHU han apostado por la investigación en EERR, para mejorar la calidad de vida de todas estas personas y la de sus familiares.

¿De qué dependen los recursos para que cada paciente acceda al tratamiento? ¿De quién es la responsabilidad?

En este caso, son las autoridades sanitarias quienes deben garantizar que todos los pacientes acceden al diagnóstico y mejor tratamiento posible, sea cual sea la enfermedad que tengan y su coste.

¿Qué soluciones propone AELMHU para mejorar la situación de los MMHH en España?

Desde hace tiempo AELMHU viene solicitando:

- Equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento en las CCAA
- Financiación garantizada/ presupuesto para los MMHH
- Consensos en las evaluaciones de los MMHH

En AELMHU junto a casi un centenar de organizaciones de pacientes, profesionales y de la industria ha firmado un documento de recomendaciones sobre EERR con medidas y soluciones

prácticas para defender, promover y mejorar la situación que padecen las personas afectadas por estas enfermedades en España.

El documento es abierto y genérico, y pide al gobierno y al Congreso de los Diputados crear un foro institucional permanente que cuente con la participación de diferentes actores del ámbito de las EERR con el fin de encontrar soluciones para:

- La promoción del conocimiento general sobre las enfermedades raras;
- El apoyo a la Investigación favoreciendo la viabilidad y sostenibilidad de los laboratorios que investigan las enfermedades raras
- La consecución de un acceso rápido y equitativo al diagnóstico y tratamiento con los medicamentos apropiados en las distintas CCAA, proporcionado la financiación necesaria para ello
- Evitar demoras en las decisiones sobre financiación y precio de los MMHH.