



Artículos seleccionados

- **Giannuzzi V, Conte R, Landi A, Ottomano SA, Bonifazi D, Baiardi P, et al. Orphan medicinal products in Europe and United States to cover needs of patients with rare diseases: an increased common effort is to be foreseen. Orphanet J Rare Dis. 2017; 12: 64**

Legislación e incentivos para primar los medicamentos huérfanos: experiencias en Europa y Estados Unidos

Jaime Espín

Profesor de la Escuela Andaluza de Salud Pública

Diferentes legislaciones e incentivos sobre los medicamentos huérfanos dan como resultado un número distinto de este tipo de fármacos en el mercado. Ésta es una de las conclusiones principales de este artículo, que analiza el número de medicamentos con designación huérfana existentes en Estados Unidos y la Unión Europea (UE).

El artículo plantea, principalmente, las dificultades a la hora de conseguir retorno para la inversión en los medicamentos que tienen la designación de huérfanos. Los incentivos surgidos en los últimos años han servido para animar a la investigación en este ámbito, aunque todavía existen lagunas terapéuticas que cubrir.

El artículo comentado plantea un buen análisis del número y las características de los medicamentos con designación huérfana lanzados al mercado tanto en Estados Unidos como en la UE. Para comenzar, hay que resaltar que existe una diferente consideración de enfermedad rara en la UE (no más de 5/10.000 personas) y en Estados Unidos (si afecta a menos de 200.000 personas, lo que da como resultado una prevalencia del 7,5% por cada 10.000 personas). En Estados Unidos, en la propia definición de la ley (Orphan Drugs Act de 1983) se señala que también se considerará rara una enfermedad cuando afecte a más de 200.000 personas pero no haya expectativas razonables de que el coste de desarrollo compense las ventas.

Tanto en la UE como en Estados Unidos el hecho de que el fármaco reciba la designación de huérfano conlleva un conjunto de incentivos, ya sean fiscales o de recepción de fondos públicos, de exención de tasas de registro, exención de periodo de exclusividad, etc.

Existen registros que nos ayudan a conocer algo más de las enfermedades raras; sin embargo, se dispone de pocos registros sobre medicamentos huérfanos, más allá de algunos ejemplos puntuales, como EuOrphan, utilizado como una de las referencias del artículo.

Los resultados de este estudio demuestran que hay un mayor número de medicamentos con designación huérfana en Estados Unidos en comparación con la UE, aunque también debemos señalar que la legislación de referencia en Estados Unidos es de 1983 y la de la UE de 2000 (aunque existen medicamentos aprobados con designación huérfana antes de esta legislación).

Asimismo, como se señala en el artículo, cuando se comparan las distintas enfermedades para las que han sido lanzados al mercado medicamentos con designación huérfana, el área de oncología es la que lidera, con diferencia, el mayor número.

Del total de medicamentos aprobados en 2015 en la UE, el 10,5% tenía designación huérfana, cifra que ascendía hasta el 13,5% en Estados Unidos, lo que confirma que este país sigue teniendo hegemonía tanto en la aprobación como en la designación de medicamentos huérfanos. Sin duda alguna, esta diferencia en número de aprobaciones viene determinada por determinados elementos, como los criterios de designación de enfermedad rara (que como vimos anteriormente difiere entre las 2 áreas geográficas) o que la propia legislación europea ha surgido 20 años después que la de Estados Unidos. En el caso de la UE, un segundo

criterio para que un fármaco tenga una designación huérfana es la falta de retorno suficiente por la comercialización del medicamento que permita salvar vidas o se emplee para el tratamiento de enfermedades que deterioran gravemente la salud; sin embargo, sólo un medicamento con designación huérfana ha sido aprobado en la UE en función de este segundo criterio.

Otro dato interesante que plantea el artículo es la falta de medicamentos huérfanos con indicación pediátrica en el mercado: lo son sólo el 50% (a pesar de ser una prioridad). En este ámbito, el resultado muestra un predominio por parte de la UE.

En ambas legislaciones podemos encontrar dos grandes diferencias adicionales. En primer lugar, el periodo de exclusividad de comercialización es superior en la UE (10 años) que en Estados Unidos (7 años). Sin embargo, los autores señalan que la gran diferencia viene motivada por el apoyo económico que aportan en el desarrollo clínico: en Estados Unidos los préstamos están libre de impuestos (antes éstos suponía un 50% del coste del desarrollo clínico), elemento que no está regulado en la UE, aunque los distintos programas de investigación (programas marco, H2020, etc.) han financiado el desarrollo de medicamentos con designación huérfana, que adicionalmente pueden ser completados con fondos aportados por los Estados Miembros.

Por último, cabe señalar que en el ámbito de la UE, el programa PRIME (Priority Medicines), de próximo lanzamiento, intentará incentivar la comercialización de medicamentos donde existan grandes necesidades médicas insatisfechas.

Puntos clave

- **El número de medicamentos huérfanos es aún limitado y existen muchas enfermedades raras cuyas necesidades terapéuticas no se han resuelto.**
- **Existen distintos incentivos para el desarrollo y la comercialización de medicamentos huérfanos tanto en la UE como en Estados Unidos, ya sean de índole económica o no (como la extensión del periodo de exclusividad, por ejemplo).**
- **Como resultado de las distintas legislaciones de registro y de diversos sistemas de incentivos, actualmente hay más medicamentos con designación huérfana en Estados Unidos que en la UE.**