



Artículos seleccionados

- Gammie T, Lu CY, Babar ZU-D. Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries. PLoS ONE. 2015; 10(10): e0140002. Disponible en: <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4599885/>

Incentivar el desarrollo y el uso de los fármacos huérfanos: ¿se puede hacer simultáneamente?

Jorge Mestre-Ferrandiz

Director de Consultoría. Office of Health Economics. Londres.

Sí. Creo que podemos incentivar el desarrollo y el uso de fármacos huérfanos al mismo tiempo. Desde la aparición de la legislación específica sobre fármacos huérfanos (1983 en EE.UU, 1993 en Japón, 1997 en Australia y 2000 en la UE), ha existido un debate político sobre si son adecuados los incentivos adicionales, aplicados como resultado de dicha legislación. Ya habíamos visto algo similar antes con las «enfermedades olvidadas», enfermedades que castigan especialmente a las poblaciones más pobres del mundo.

Gammie et al. (2015) realizan una revisión bibliográfica sistemática (1988-2014) de las legislaciones y políticas de fármacos huérfanos a nivel mundial. Es un trabajo muy consistente, muy bien presentado y resumido. Sin duda, una lectura obligatoria para cualquiera que esté interesado en medicamentos huérfanos/enfermedades raras. Los autores agrupan los puntos clave que han encontrado en la bibliografía en seis temas principales: planes nacionales de enfermedades raras, autorizaciones de comercialización de fármacos huérfanos, incentivos, exclusividad de comercialización, políticas de precios y reembolso.

En general, cabe considerar dos tipos de incentivos para animar al desarrollo y uso de fármacos huérfanos (y, naturalmente, los no huérfanos): incentivos *push* y *pull*. Los *push* pretenden reducir costes de I+D; los *pull* pretenden remunerar a los productores que han desarrollado fármacos con éxito. Los incentivos *push* y *pull* no son mutuamente excluyentes y, naturalmente, pueden existir abordajes híbridos (igual que para las «enfermedades olvidadas»). Se han introducido estos incentivos adicionales a causa de los «fallos del mercado», o sea, porque en ausencia de ellos el desarrollo y el consumo de estos fármacos no sería socialmente idóneo. Para los fármacos huérfanos podemos pensar en su legislación específica como incentivos *push*.

¿Pero qué hay de los incentivos *pull* para los fármacos huérfanos? Creo que es aquí donde existe mayor controversia. La cuestión subyacente es: ¿Los fármacos huérfanos se han de considerar de forma diferente? Y en caso afirmativo, ¿cómo? Creo que mucha gente piensa que los fármacos huérfanos son diferentes (respecto a los medicamentos no huérfanos). El hecho de que existan incentivos *push* lo avala. Las opiniones difieren en el cómo se han de tratar. Algunas personas argumentan que los fármacos huérfanos necesitan algún tipo de consideración especial con respecto a los no huérfanos y que, por lo tanto, o bien se les permite un precio más elevado, y/o se hace su proceso de evaluación menos insidioso (lo que podría permitir precios más elevados). Otros autores argumentan que los fármacos huérfanos no se deberían tratar de distinta forma.

Respecto a los precios, no se ha realizado ninguna comparación entre los fármacos huérfanos y los no huérfanos, pero parece ser que los precios por paciente para medicamentos huérfanos (y especialmente en los fármacos ultrahuérfanos, donde el número de pacientes aún es menor) son más elevados que para los no huérfanos.

En cuanto a la evaluación, algunos pagadores y agencias de evaluación de tecnologías sanitarias hacen (algunas) excepciones para los fármacos huérfanos. Eso incluye desde tener un proceso de evaluación explícitamente diferente, que reduce los requisitos de evidencias y/o aceptar una mayor incertidumbre, hasta favorecer los fármacos huérfanos con criterios que sí se tienen en cuenta en los procesos de evaluación estándar (p.ej. gravedad de la enfermedad, necesidad no satisfecha).

También existe una tercera vía de tratar los fármacos huérfanos de forma distinta: «fondos dedicados», donde existe una partida de presupuesto específica para financiarlos. Gammie et al. (2015) menciona algunos ejemplos; un caso interesante lo constituye el Scotland's New Medicines Fund (con 80 millones de £ en 2015/16), que ayuda a financiar el coste de los fármacos huérfanos, ultrahuérfanos y medicamentos usados en «final-de-vida» (*“end of life”*).

Sin embargo, existen algunos desafíos aún por resolver. Como argumentan con elegancia Drummond y Towse (2015): «Las políticas actuales sobre fármacos huérfanos son insatisfactorias cuando se contemplan desde casi todas las perspectivas». Se está restringiendo el acceso a los fármacos huérfanos ya que, si bien las compañías farmacéuticas han respondido a los incentivos, la financiación es insuficiente. Drummond y Towse (2015) proponen algunas soluciones. Estos autores están a favor del desarrollo de políticas coordinadas para los fármacos huérfanos (que yo apoyo). Asumiendo que la sociedad realmente quiera hacer sacrificios en otras áreas de la salud para proporcionar fondos para los fármacos huérfanos (concepto de «coste de oportunidad»), necesitamos señales (muy) claras de los decisores (que de facto representan las preferencias sociales) hacia las empresas. Si los decisores están de acuerdo en financiar los fármacos huérfanos, entonces hay que adoptar las disposiciones necesarias para satisfacer esta demanda de la sociedad.

Puntos clave

- **Es posible incentivar el desarrollo y el uso de fármacos huérfanos al mismo tiempo.**
- **Los incentivos *push* y *pull* no son mutuamente excluyentes y pueden existir abordajes híbridos.**
- **Se está restringiendo el acceso a los fármacos huérfanos ya que, si bien las compañías farmacéuticas han respondido a los incentivos, la financiación es insuficiente.**

Bibliografía

Drummond M, Towse A. Orphan drugs policies: a suitable case for treatment. *Eur J Health Econ.* 2014; 15: 335-340.