APLICACIÓN DE LA DISPOSICIÓN ADICIONAL SEXTA DEL ANTEPROYECTO DE LEY DE LOS MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

La Asociación **comparte plenamente el objetivo de garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salu**d y reconoce la necesidad de disponer de instrumentos que permitan compatibilizar el acceso a la innovación con una utilización eficiente de los recursos públicos.

Asimismo, AELMHU **valora positivamente que el Anteproyecto incorpore diversas medidas que la Asociación ha venido promoviendo en los últimos años** y que contribuyen a reforzar el acceso a la innovación y el reconocimiento de las especificidades de los medicamentos huérfanos. Entre ellas, destacan la exclusión de los medicamentos con designación huérfana de los precios de referencia; la incorporación de procedimientos de acceso acelerado, condicional o provisional para medicamentos destinados a cubrir necesidades médicas no cubiertas y la incorporación de nuevos criterios de valoración en la financiación de los medicamentos que consideran, entre otros aspectos, su impacto social, su contribución a la productividad y competitividad o su valor para el sistema sanitario.

La asociación considera que **estos avances reflejan la voluntad del Ministerio de Sanidad de seguir desarrollando un marco regulatorio que favorezca la incorporación de la innovación** farmacéutica y de mantener un diálogo constructivo con los distintos agentes del sector. Precisamente por ello, las consideraciones recogidas en este documento no cuestionan el Anteproyecto en su conjunto, sino que se centran en aquellos aspectos que, a juicio de la Asociación, aún pueden mejorarse antes de su tramitación parlamentaria para reforzar la coherencia del texto con las especificidades de los medicamentos huérfanos.

No obstante, cualquier medida que introduzca nuevas obligaciones económicas debe sustentarse en una justificación técnica, económica y regulatoria suficientemente acreditada, especialmente cuando afecta a una categoría de medicamentos que ya está sometida a un elevado nivel de evaluación, financiación condicionada y control económico.

La exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos de la Disposición Adicional Sexta no responde al actual Anteproyecto, sino a una **posición institucional que AELMHU mantiene desde 2022**. Esta propuesta busca preservar la coherencia del marco regulatorio aplicable a una categoría de medicamentos cuya singularidad está reconocida por la normativa europea y española.

Esta posición se fundamenta en **cinco razones.**

1. Los medicamentos huérfanos ya están sometidos al control económico del SNS

Uno de los argumentos que fundamentan la aplicación de la Disposición Adicional Sexta es la necesidad de disponer de un mecanismo adicional para gestionar la incertidumbre clínica y económica asociada a los medicamentos innovadores.

Sin embargo, en el caso de los medicamentos huérfanos, esa incertidumbre ya se gestiona mediante un conjunto de instrumentos individualizados de financiación, seguimiento y control económico que forman parte del propio procedimiento de financiación pública.

Los datos correspondientes a los medicamentos huérfanos financiados durante 2025 ponen de manifiesto esta situación:

- El 100 % de los medicamentos financiados están sujetos a mecanismos específicos de financiación y seguimiento.
- Solo el **30 % obtuvo financiación sin restricciones específicas, mientras que el 70 % restante incorpora condiciones de acceso o financiación**.

Estos datos reflejan que los medicamentos huérfanos constituyen una de las categorías terapéuticas con mayor nivel de financiación condicionada y control económico dentro del Sistema Nacional de Salud.

En este contexto, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta **no incorpora un nuevo instrumento para gestionar la incertidumbre, sino una nueva obligación económica** sobre medicamentos cuya incertidumbre clínica y presupuestaria ya ha sido evaluada y gestionada mediante acuerdos individualizados entre la Administración y las compañías titulares.

2. La evolución del gasto no evidencia un problema específico de sostenibilidad

La aplicación de una medida económica adicional debería responder a la existencia de un problema objetivo que justifique un tratamiento diferenciado.

Entre 2020 y 2024, tal y como señalan los datos Informes monográficos Prestación Farmacéutica elaborados por el Ministerio de Sanidad y de los Informes Anuales de Acceso de AELMHU:

- Los medicamentos huérfanos han mantenido **una participación estable dentro del gasto farmacéutico hospitalario**, situándose en torno al 10 % del total.
- El número de medicamentos huérfanos financiados aumentó de 46 a 85 entre 2020 y 2024, lo que representa un **incremento del 84,8 %**, lo que pone de manifiesto el **éxito de las políticas de incentivos de medicamentos huérfanos**.
- Durante el mismo periodo, el consumo de medicamento huérfanos hospitalarios aumentó un 52,8 %.
- El consumo medio estimado por medicamento huérfano financiado se redujo de 19,1 millones de euros a 15,8 millones de euros **(reducción del 17,3 %**).

Por tanto, **estos datos reflejan que el incremento del gasto responde a la incorporación progresiva de nuevas alternativas terapéuticas y no a un incremento desproporcionado del coste medio por medicamento.**

Por ello, con la información actualmente disponible, no se identifica un problema específico de sostenibilidad asociado a los medicamentos huérfanos que justifique la aplicación de un mecanismo económico adicional.

3. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta requiere una mayor definición técnica

La aplicación de la Disposición Adicional Sexta plantea, además, cuestiones técnicas que convendría aclarar para garantizar su correcta aplicación en el ámbito de los medicamentos huérfanos.

El Ministerio dispone de información sobre las ventas hospitalarias de estos medicamentos. Sin embargo, dichos datos corresponden al **Precio de Venta del Laboratorio (PVL) y no reflejan necesariamente el coste neto finalmente asumido por el Sistema Nacional de Salud ni el ingreso efectivamente percibido por las compañías.**

En la práctica, la mayoría de los **medicamentos huérfanos financiados está sujeta a acuerdos específicos de financiación que incorporan devoluciones económicas**: techos máximos de gasto, revisiones de precio o modelos de pago por resultados. Como consecuencia, la facturación inicial puede diferir del importe económico finalmente consolidado una vez aplicadas las regularizaciones previstas en los acuerdos de financiación.

Por ello, resultaría conveniente definir con mayor precisión cuál será la base económica utilizada para calcular la aportación prevista en la Disposición Adicional Sexta y cómo se incorporarán, en su caso, las regularizaciones económicas que se producen con posterioridad a la facturación inicial.

En ausencia de una regulación específica sobre estas cuestiones, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta presenta **incertidumbres metodológicas, operativas y de seguridad jurídica** que deberían resolverse con carácter previo a su entrada en vigor.

4. La proporcionalidad de la medida requiere una evaluación específica

AELMHU considera que la aplicación de una nueva obligación económica debe ir acompañada de una evaluación que permita valorar adecuadamente su necesidad, su proporcionalidad y sus efectos sobre el conjunto del ecosistema de innovación.

Hasta la fecha, no se ha hecho público el análisis económico específico que sustenta la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos. En particular, **no se conocen la estimación de la recaudación prevista, la metodología utilizada para su cálculo ni la evaluación de su impacto sobre la innovación, la investigación clínica o la competitividad.**

Asimismo, el Anteproyecto establece que los recursos obtenidos contribuirán a reforzar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y favorecer el acceso a la innovación. No obstante, el texto no desarrolla el mecanismo jurídico o presupuestario que permitirá asegurar

esa afectación específica ni los instrumentos de seguimiento que permitan verificar el destino efectivo de dichos recursos.

Debe recordarse que, con carácter general, la ejecución de los Presupuestos Generales del Estado se rige por el principio de unidad de caja, por lo que resulta necesario identificar el **instrumento jurídico o presupuestario que garantice que los recursos obtenidos mediante esta aportación se destinarán efectivamente a los fines previstos en el Anteproyecto.**

En ausencia de esta información, resulta difícil acreditar que la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos responde a los principios de necesidad, proporcionalidad y buena regulación que el propio Anteproyecto invoca expresamente.

5. La exclusión de los medicamentos huérfanos es coherente con el marco regulatorio europeo y con la estrategia de innovación de España

Los medicamentos huérfanos constituyen **una categoría regulatoria singular reconocida** tanto por la normativa europea como por el ordenamiento jurídico español.

Esta singularidad se refleja en medidas como su exclusión del sistema de precios de referencia, el tratamiento específico previsto en el Real Decreto-ley 8/2010 o el propio Anteproyecto de Ley, que reconoce la posibilidad de adoptar medidas económicas diferenciadas para garantizar su abastecimiento cuando concurran circunstancias que puedan comprometer su disponibilidad.

La aplicación de la Disposición Adicional Sexta a esta categoría **supone introducir una nueva obligación económica** en un ámbito para el que el legislador ha venido estableciendo, de forma constante, mecanismos regulatorios diferenciados adaptados a sus particularidades.

A ello se añade que el **mecanismo de minoración previsto mediante el Programa PROFARMA no refleja** plenamente **el modelo de innovación de las compañías especializadas en enfermedades raras**. De las 29 compañías que integran actualmente AELMHU, únicamente 8 participan en la convocatoria PROFARMA 2025-2026; ninguna ha obtenido la calificación de "Excelente", no por una menor capacidad innovadora, sino porque los indicadores actualmente utilizados priorizan un modelo industrial diferente al de las compañías especializadas en enfermedades raras.

Esta realidad resulta especialmente relevante si se tiene en cuenta que España autorizó en 2025 un total de 216 ensayos clínicos en enfermedades raras, que representan aproximadamente el 22 % del total nacional, siendo el 98 % promovidos por la industria farmacéutica.

Las **enfermedades raras constituyen hoy uno de los principales ámbitos de innovación biomédica, investigación clínica y atracción de inversión para nuestro país**. En este contexto, resulta especialmente importante que el marco regulatorio preserve los incentivos que han permitido consolidar este ecosistema y mantenga la coherencia con las políticas europeas y nacionales de impulso a la innovación.

POSICIONAMIENTO DE AELMHU

AELMHU considera que la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta constituye la solución más coherente desde la perspectiva regulatoria, económica y estratégica.

Esta posición se fundamenta en **cinco elementos principales**:

- No existe evidencia de un problema específico de sostenibilidad asociado a los medicamentos huérfanos que justifique la aplicación de un mecanismo adicional de aportación económica.
- La incertidumbre clínica y económica ya se gestiona de forma individualizada mediante condiciones específicas de financiación, seguimiento y revisión económica acordadas para cada medicamento, lo que limita el valor añadido de un mecanismo general como el previsto en la Disposición Adicional Sexta.
- La base económica sobre la que se aplicaría la aportación requiere una mayor definición técnica, ya que los datos de ventas hospitalarias no reflejan el coste neto finalmente asumido por el Sistema Nacional de Salud ni el ingreso efectivamente percibido por las compañías tras la aplicación de los acuerdos de financiación.
- La inclusión de los medicamentos huérfanos rompe la coherencia del régimen regulatorio diferenciado que la Unión Europea y el propio ordenamiento jurídico español han construido para favorecer el desarrollo, la disponibilidad y el acceso a tratamientos destinados a enfermedades raras.
- La medida puede afectar negativamente al ecosistema de innovación en enfermedades raras, introduciendo un desincentivo para la inversión, la investigación clínica y el desarrollo de nuevas terapias en un ámbito que tanto la Unión Europea como el Gobierno de España consideran estratégico para la competitividad y el progreso biomédico.

Los argumentos expuestos permiten concluir que, con la información actualmente disponible, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos plantea dudas desde tres perspectivas fundamentales:

- **Necesidad**, al no identificarse un problema específico de sostenibilidad que justifique la aplicación de un mecanismo adicional de aportación económica.
- **Proporcionalidad**, al tratarse de una categoría de medicamentos cuya incertidumbre clínica y económica ya se gestiona mediante mecanismos individualizados de financiación, seguimiento y revisión.
- **Coherencia regulatoria**, al introducir una obligación económica adicional sobre una categoría para la que la normativa europea y el propio ordenamiento jurídico

español han previsto un tratamiento diferenciado atendiendo a sus particularidades.

Por todo ello, AELMHU solicita que, antes de la tramitación parlamentaria del Anteproyecto, se reconsidere la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, incorporando una solución coherente con el marco regulatorio europeo, con la política farmacéutica desarrollada por España y con el objetivo compartido de garantizar tanto la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud como el impulso a la innovación en enfermedades raras.