

Memoria
ANUAL
2023
aelmhu

1. Carta de la Presidenta

2. Órganos de Gobierno y Representación

- **2.1 Órgano de Gobierno**
 - Reuniones del Órgano de Gobierno
 - Nuevos asociados
- **2.2 Órgano de Representación: Junta Directiva**

3. Actividades

- **3.1 Informes**
 - Informes de Acceso
 - Informe de Ensayos Clínicos
- **3.2 Aportaciones al Ministerio de Sanidad**
- **3.3 Encuentros AELMHU**
- **3.4 Jornada “El futuro de las terapias avanzadas para enfermedades raras”**
- **3.5 Actividades de colaboración con FEDER**
- **3.6 Premios AELMHU**

4. Grupos de trabajo

5. Relaciones Institucionales

- **5.1 Participación pública en proyectos normativos**
 - Autonómicas:
 - Observatorio de Farmacoeconomía de la Comunidad de Madrid
 - Cribado Neonatal de Castilla La Mancha
 - Cribado Neonatal de las Islas Baleares
 - Comisión Cribado Neonatal Andalucía
 - Nacionales:
 - Consulta Pública previa del Proyecto de RD de ETS
 - Europeas:
 - Reforma de la legislación farmacéutica de la UE
- **5.2 Reuniones Institucionales**

6. AELMHU en eventos externos

- **6.1 Eventos con participación de AELMHU**
- **6.2 Otros eventos del sector**

7. Comunicación

- **7.1 AELMHU en medios de comunicación**
- **7.2 Entrevistas**
- **7.3 Digital**

8. Agradecimientos

1. Carta de la Presidenta



La presente Memoria nos invita a reflexionar juntos sobre los logros conseguidos en 2023 y los retos que tenemos por delante para poder brindar a los pacientes las mejores opciones de tratamiento cuando se necesitan. Si bien el año pasado estuvo marcado por el calendario político electoral y un contexto global complejo de conflictos bélicos y tensiones económicas, nos sentimos orgullosos de seguir avanzando en las líneas de acción fundamentales de AELMHU.

En este balance anual, queremos destacar de forma positiva el pasado ejercicio, enfocándonos en los avances registrados, el incremento y continuidad de nuestras actividades y la incansable apuesta por la colaboración y el entendimiento con las administraciones sanitarias y el resto de los agentes sanitarios y sociales en torno a las cuestiones que nos preocupan, en un momento, además, en el que se está decidiendo un nuevo marco regulatorio para el sector.

A nivel nacional, los distintos procesos electorales celebrados en 2023, tanto autonómicos como los generales del 23 de julio, condicionaron en buena medida la agenda política y sanitaria. La renovación de los equipos que conforman las distintas administraciones ha requerido, por parte de todos agentes del sector, un esfuerzo de adaptación, siempre desde el compromiso de una colaboración reforzada, la continuidad de los proyectos y la búsqueda conjunta de soluciones efectivas. Nuestros grupos de trabajo han desempeñado un papel fundamental en este proceso. Gracias a la implicación de sus miembros, hemos ampliado nuestro alcance para asegurar nuestra participación en los debates importantes sobre cuestiones clave, como la revisión de la legislación general farmacéutica de la Unión o el nuevo modelo nacional de evaluación de tecnologías sanitarias.

No solo hemos intervenido en las distintas consultas públicas abiertas a nivel autonómico, nacional y europeo, también **hemos participado en encuentros y jornadas formativas de referencia que nos han dado la oportunidad de aportar nuestra experiencia** y mantener un diálogo fluido y constructivo con expertos y autoridades para trabajar juntos en la mejora de un marco legal y económico que promueva la inversión en investigación y desarrollo de nuevos tratamientos y facilite el acceso y la disponibilidad de los pacientes de una gama más completa de nuevas terapias.

Los esfuerzos para reducir los tiempos de acceso a los medicamentos para tratar enfermedades poco frecuentes y aumentar el número de tratamientos financiados se reflejan en los datos del Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2022 de AELMHU y en los informes cuatrimestrales de 2023. Estos avances son el resultado directo del compromiso y la colaboración de todos los actores involucrados y marcan el inicio de lo que esperamos sea una tendencia positiva en la aprobación de medicamentos huérfanos.

Fruto de esta acción desplegada por parte de la Asociación es el refuerzo de **nuestra posición como interlocutor de referencia en los distintos ámbitos político, económico y social.**

Esta labor de representación se ha visto fortalecida, además, con la incorporación de cinco nuevos asociados, que nos permite unir fuerzas y consolidar nuestra propia voz sectorial dentro de la sanidad para seguir trabajando en beneficio de

En conclusión, 2023 ha sido un ejercicio exigente para todos, pero también gratificante. En todo momento, hemos avanzado con la convicción de que nuestros esfuerzos están bien respaldados por un conjunto amplio de actores que contribuyen diariamente a ampliar el conocimiento sobre las patologías minoritarias en nuestro país.

Por eso, en nombre de todas las compañías que forman parte de AELMHU, **queremos expresar nuestro más sincero agradecimiento a las asociaciones de pacientes, la comunidad científica, las instituciones, los expertos y los medios de comunicación** por su plena disposición a contribuir en la consecución de nuestros objetivos compartidos.

Finalmente, como presidenta, quiero expresar mi más profundo agradecimiento a cada uno de los asociados de AELMHU. Vuestra dedicación y entusiasmo a la hora de sumar esfuerzos para impulsar las distintas iniciativas puestas en marcha han sido fundamentales para alcanzar las metas de este año y seguir avanzando en nuestros objetivos.

Mirando al futuro, reafirmamos nuestro compromiso de contribuir a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras, dando visibilidad a las patologías y poniendo en valor la investigación que realiza el sector para descubrir y desarrollar nuevos tratamientos.

María José Sánchez Losada
Presidenta de AELMHU

2. Órganos *de* Gobierno y Representación

2.1 ÓRGANO de GOBIERNO

La **Asamblea General** es el órgano de gobierno de la Asociación, integrado por los asociados por derecho propio y en igualdad absoluta, que adopta sus acuerdos por el principio mayoritario o de democracia interna.



Reuniones del Órgano de Gobierno

La Asamblea celebró **2 reuniones de actualización** y **2 asambleas** a lo largo de 2023, para tratar los asuntos de interés para el sector y los *stakeholders*, hacer seguimiento del plan de acción y de la actividad de los grupos de trabajo, así como para abordar todos los temas que podían afectar a la organización y sus asociados.

DÍA	MES	CONVOCATORIA	TEMAS TRATADOS	FORMATO
14	Marzo	Reunión actualización	Actualización trimestral trabajo de la Asociación	Online
30	Mayo	Asamblea General	- Memoria actividades 2022 - Aprobación de cuentas 2022 - Actualización Presupuesto 2023 - Actualización actividades - Cuotas 2024	Híbrido
26	Septiembre	Reunión actualización	Actualización trimestral trabajo de la Asociación	Online
30	Noviembre	Asamblea General	- Actualización trabajo - Proyecto reflexión estratégica	Híbrido

Nuevos asociados

Durante el 2023, AELMHU incorporó 5 nuevos asociados, llegando a un total de 26 miembros, lo que supone un **incremento del 22,7 % del número de socios respecto al año anterior.**

A lo largo del año se integraron las siguientes empresas, por orden alfabético:

- **ARGENX**, compañía global de inmunología que desarrolla medicamentos basados en anticuerpos para pacientes que sufren de enfermedades autoinmunes graves y cáncer.
- **BIOGEN**, empresa biotecnológica líder a nivel global que se dedica a la investigación y desarrollo de productos para tratar enfermedades complejas y devastadoras. Su enfoque abarca áreas como la neurología, neuropsiquiatría, inmunología especializada y enfermedades raras.



- **HORIZON THERAPEUTICS**, una compañía de biotecnología que se esfuerza por ofrecer medicamentos innovadores a los pacientes, comprendiendo los desafíos que enfrentan. Su enfoque se centra en investigar, desarrollar y comercializar medicamentos que aborden necesidades críticas para personas afectadas por enfermedades raras y reumáticas.
- **IMMUNOCORE**, compañía de biotecnología comercial a nivel global, con sede en Oxfordshire, que investiga y desarrolla medicamentos biológicos utilizando la tecnología de receptores de células T solubles.
- **ITALFARMACO**, laboratorio farmacéutico internacional fundado en Milán en 1938. Su objetivo es cubrir con la máxima eficiencia las necesidades de fármacos para mejorar la salud. A través de la innovación y el talento farmacéutico, Italfarmaco se esfuerza por ofrecer soluciones médicas eficientes y mejorar la calidad de vida de las personas.

2.2 ÓRGANO de REPRESENTACIÓN: JUNTA DIRECTIVA

El órgano de representación de la Asociación es la Junta Directiva, un órgano colegiado formado durante el 2023 por las siguientes personas:



**Mª José
Sánchez
Losada**

PRESIDENTA

**Directora
general de CSL
Behring en
España y
Portugal**



**José Luis
Moreno
Sánchez**

VICEPRESIDENTE

**Director general
de Ultragenyx
en España y
Portugal**



**Beatriz
Perales
Zamorano**

SECRETARIA Y
VOCAL

**Directora de
Acceso al
Mercado,
Relaciones
Institucionales y
Comunicación
para Sobi Iberia***



**Sergio
Bullón
Avendaño**

TESORERO Y
VOCAL

**Director general
de Alnylam
Pharmaceuticals
en España**

* Beatriz Perales ejerce como secretaria de AELMHU.

Durante este ejercicio, la Junta Directiva de AELMHU, liderada por María José Sánchez, se ha enfocado en contribuir a **mejorar la salud y la calidad de vida** de las **personas afectadas por enfermedades raras/poco frecuentes**. Para ello, ha centrado su plan de acción en dar **visibilidad a estas patologías**, poner en valor la **investigación y facilitar el acceso** a los nuevos tratamientos.

La Asociación **colabora con las asociaciones** de pacientes, las administraciones públicas y otros agentes del sector con el objetivo de trasladar su conocimiento y experiencia sobre estas enfermedades minoritarias. Uno de sus fines es **formar e informar** sobre el valor que aportan los medicamentos huérfanos, **concienciando** así a la sociedad sobre estas enfermedades y **visibilizando** el impacto que los nuevos tratamientos tienen en la mejora de los resultados en salud. Juntos contribuimos a mejorar la salud y calidad de vida de los pacientes.



3. Actividades

3.1 INFORMES

AELMHU tiene como **misión** contribuir a mejorar **la salud y la calidad de vida** de las **personas afectadas por enfermedades** poco frecuentes, dando visibilidad social a estas patologías y poniendo en valor la **investigación** y el acceso rápido a los nuevos tratamientos. Con este objetivo, la Asociación promueve la **generación y difusión** de información precisa, veraz y objetiva, que permita realizar un **seguimiento periódico de los avances registrados** en torno a la investigación de nuevas alternativas terapéuticas, así como analizar las barreras que existen para mejorar el acceso de los pacientes a medicamentos más eficaces.

En el año 2023, la Asociación tuvo una actividad destacada y extensa en el ámbito de la información al promover **cuatro informes**: el Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos de 2022, los informes del primer y segundo cuatrimestre de 2023 y el Informe de Ensayos Clínicos 2022.

Estas fuentes de información se han convertido en **documentos fundamentales** para entender la evolución de las enfermedades raras y la situación de los medicamentos huérfanos en nuestro país.

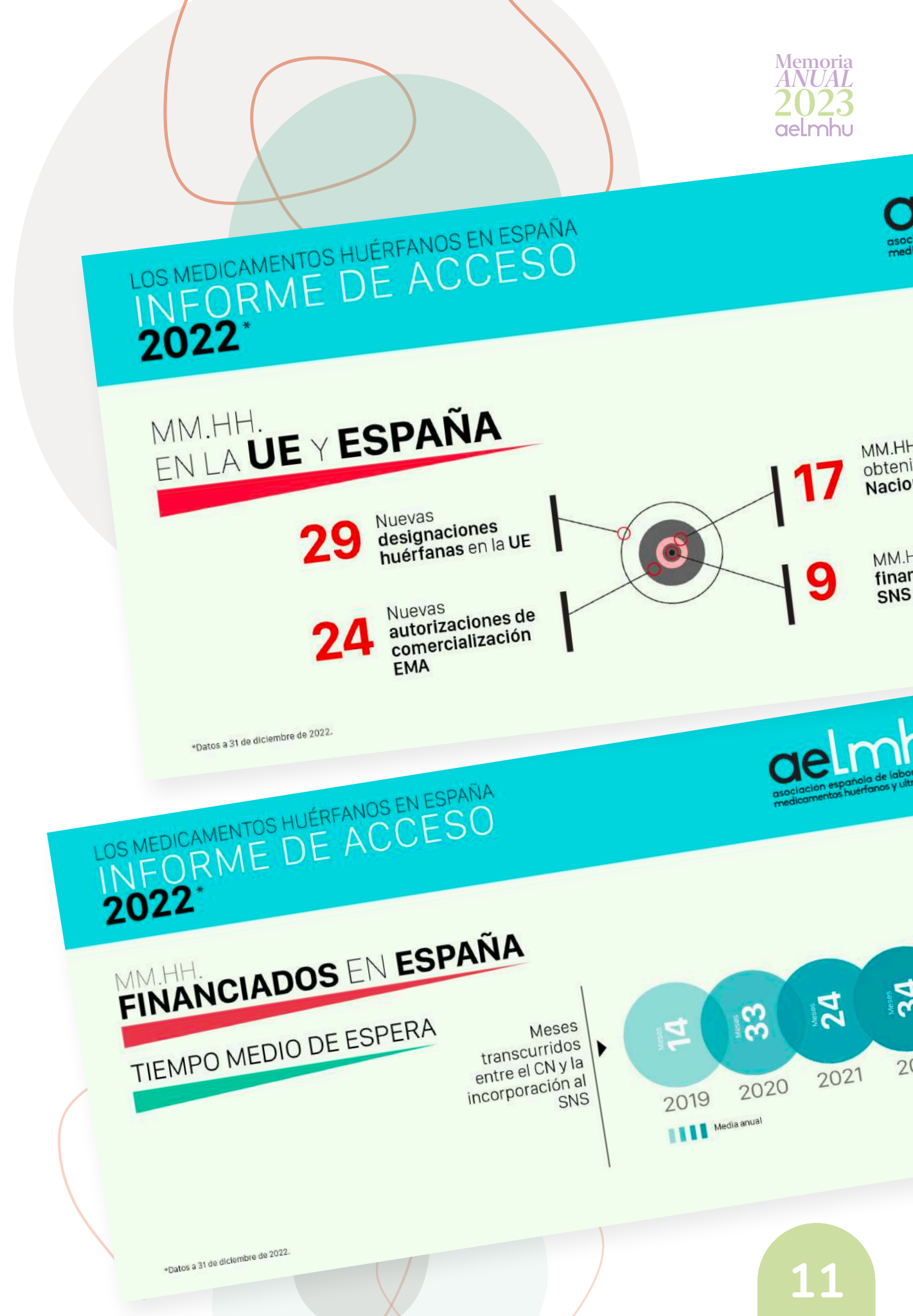


Informes de Acceso

AELMHU presenta, de manera regular, el **Informe de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España**. Este análisis es en la actualidad un referente en el sector farmacéutico y en el ámbito de las enfermedades raras.

El informe sobre terapias huérfanas en España se centra en el **número de tratamientos**, los **tiempos de aprobación** y su **financiación** en nuestro país, como objetivo principal del estudio. Los datos de este análisis se nutren de fuentes públicas de la Unión Europea y del Ministerio de Sanidad del Gobierno de España.

Estas actualizaciones sobre la situación de los medicamentos huérfanos ofrecen una visión detallada sobre el acceso a tratamientos huérfanos en el país. Aunque se observan mejoras en el ámbito comunitario, como el notable aumento en el número de designaciones huérfanas y de autorizaciones de comercialización en la Unión Europea, subyacen desafíos importantes dentro de la gestión nacional, tal y como pone en evidencia la disminución de las solicitudes registradas de Código Nacional y del número de nuevos tratamientos financiados.



Esta información revela la **necesidad de acortar** los **tiempos de espera** para la resolución sobre el precio y reembolso por parte del Sistema Nacional de Salud (SNS).

Las **publicaciones** realizadas por parte de la Asociación sobre esta temática han generado un **gran interés** entre los expertos, líderes de opinión, comunidad científica, asociaciones e instituciones de diferentes ámbitos, además de obtener una notable repercusión a través de los medios de comunicación que ha contribuido a posicionar a AELMHU como un actor fundamental en al ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA INFORME DE ACCESO SEGUNDO CUATRIMESTRE 2023*

Situación del acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) con designación huérfana vigente a 31 de agosto de 2023 por la EMA y nombre comercial

aelmhu
asociación española de laboratorios
medicamentos huérfanos y ultrahúrfanos

MM.HH. EN LA UE Y ESPAÑA

202
Productos con
designación
huérfana y nombre
comercial

148
MM.HH. con
autorización de
comercialización
(AC)

126
Tienen Código
Nacional (CN) en
España
(85%)

77
Están financiados
por el SNS
(52%)

2º CUATRIMESTRE 2023

MM.HH. SIN FINANCIAR EN ESPAÑA

57 Medicamentos huérfanos con CN
sin financiar por el SNS

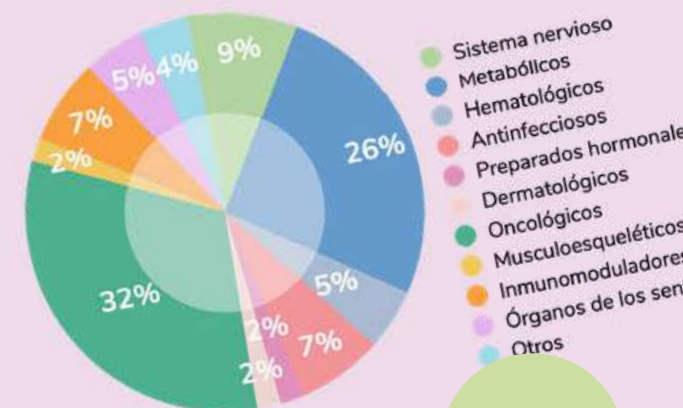
29 No financiados por resolución

28 En estudio o sin petición de
financiación

Nº DE MM.HH. SIN FINANCIAR
POR AÑO DE CN



MM.HH. SIN FINANCIAR
POR ÁREA TERAPÉUTICA



Informe de Ensayos Clínicos (EE.CC.)

El Informe de Ensayos Clínicos sobre Enfermedades Raras en España refleja un **compromiso firme y continuo** de la industria farmacéutica en la **investigación de enfermedades raras**, evidenciando un claro impulso hacia la innovación, el conocimiento y la búsqueda de soluciones terapéuticas en este campo.

Uno de cada cuatro ensayos clínicos autorizados en España en 2022 se centró en enfermedades raras. En total se alcanzó un máximo histórico de 233 ensayos sobre estas patologías minoritarias, según el informe presentado por la Asociación.

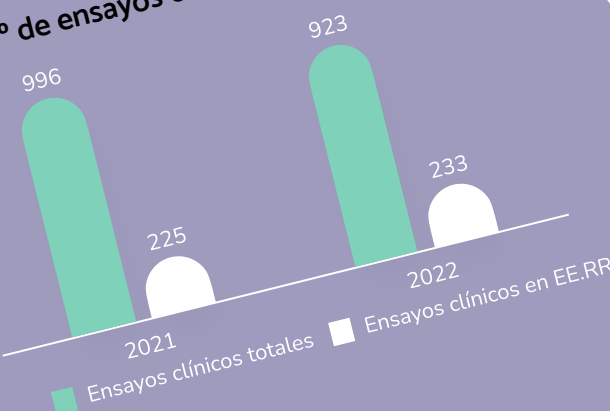
Aunque se haya registrado un descenso del 8% en el número de ensayos clínicos totales autorizados en España, la investigación en el ámbito de las enfermedades raras experimentó un repunte del 3%.

La participación de pacientes en ensayos centrados en EE.RR. se redujo, en cambio, un 5%, hasta representar el 9% del total de participantes.

deten...
los medicamentos

Actu...
raras no tienen
diagnóstica o tratamiento

Nº de ensayos clínicos (2021-2022)

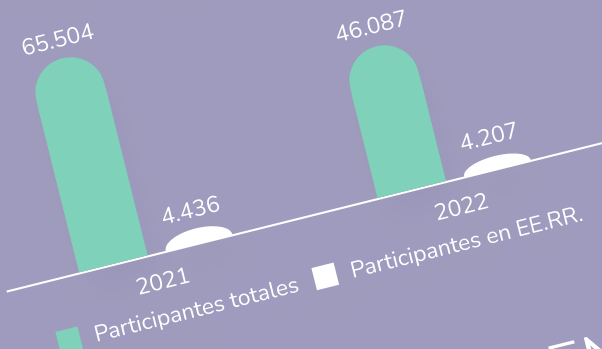


El 25% de los ensayos clínicos autorizados en España en 2022, son para investigar tratamientos para enfermedades raras



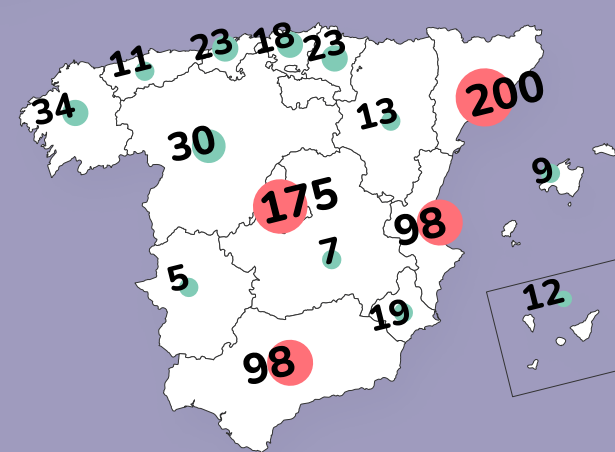
Crece el nº de EE.CC. en EE.RR. desde 2021

Nº de participantes en ensayos clínicos (2021-2022)



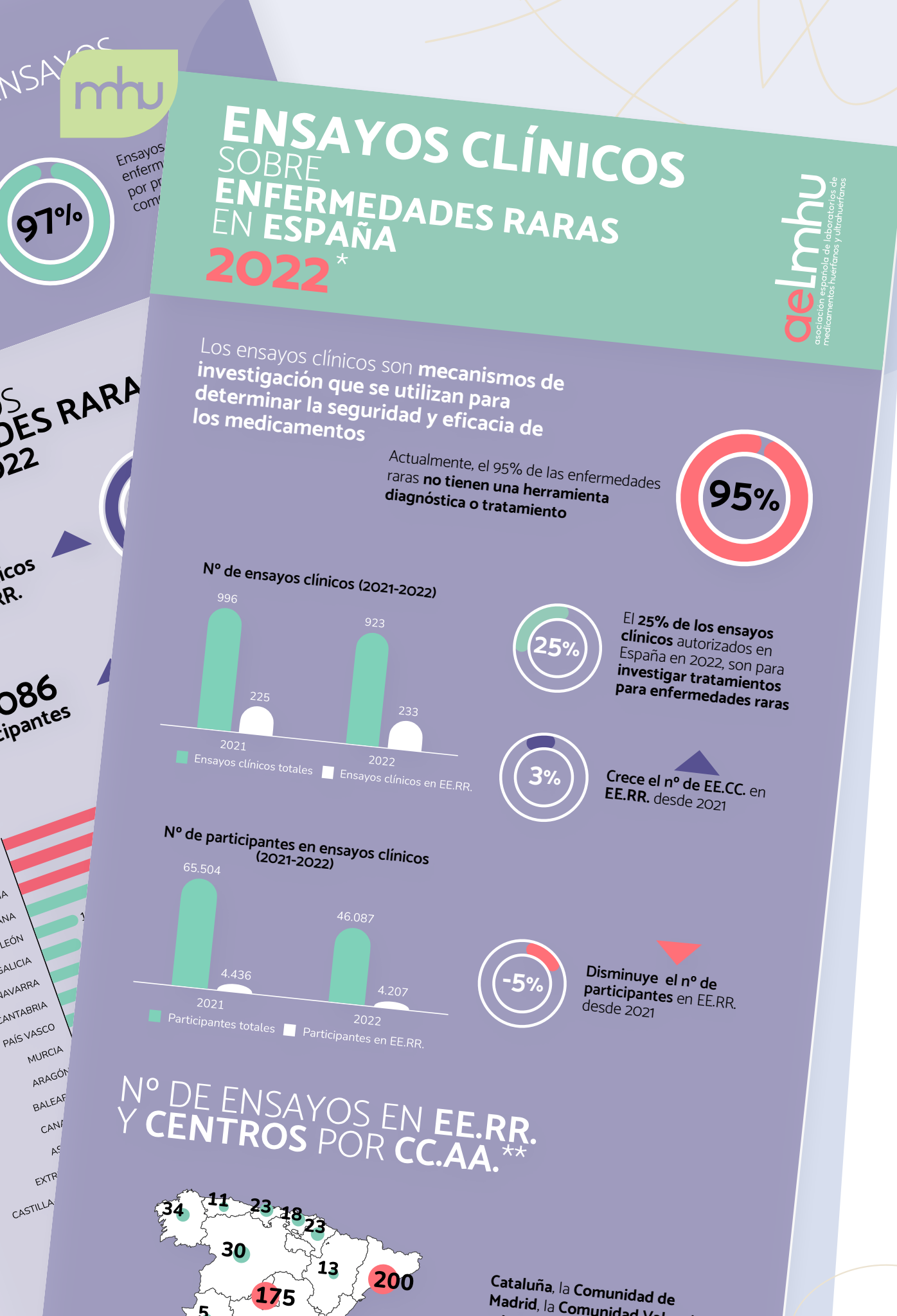
Disminuye el nº de participantes en EE.RR. desde 2021

Nº DE ENSAYOS EN EE.RR. Y CENTROS POR CC.AA.**



Cataluña, la Comunidad de Madrid, la Comunidad de Valencia y Andalucía son las CC.AA. con mayor número de ensayos clínicos en EE.RR.

164 centros acogieron ensayos de enfermedades raras: Comunidad de Madrid, 37; Andalucía, 13; Cataluña, 13; País Vasco, 13; Galicia, 13; Castilla y León, 13; Castilla-La Mancha, 13; Extremadura, 13; La Rioja, 13; Navarra, 13; Canarias, 13; Islas Baleares, 13; Islas Canarias, 13.



En el ámbito terapéutico, la investigación en oncología, sistema nervioso, hematología y sistema inmunitario fue destacada. Es reseñable también el aumento del 30% en las investigaciones de fenómenos genéticos, con 10 ensayos clínicos en esta área terapéutica.

El **97%** de los ensayos clínicos fueron **promovidos por la industria farmacéutica**, en un fiel reflejo del esfuerzo invertido por el sector para disponer de nuevos tratamientos en enfermedades poco frecuentes.

Con la publicación de este informe, AELMHU promueve la necesidad de seguir impulsando la innovación en España en el ámbito específico de los análisis clínicos y subraya el firme compromiso de los miembros de la Asociación con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos.

3.2 APORTACIONES al MINISTERIO de SANIDAD

La **colaboración** entre la industria farmacéutica, las autoridades reguladoras y los profesionales de la salud resulta fundamental para garantizar el acceso oportuno y seguro a los tratamientos innovadores para enfermedades raras y minoritarias en España.

El proceso de aprobación de medicamentos refleja este objetivo compartido al comenzar con la decisión positiva del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP), que insta a las compañías farmacéuticas a comunicar su decisión de comercialización en España a la **Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)**.

En este contexto, el año 2023 estuvo marcado por la expectativa de la publicación de dos Reales Decretos en España relacionados con el **Precio y Financiación** y la **Evaluación de Tecnologías Sanitarias**. Estos decretos buscan establecer un **marco regulatorio** que promueva un **acceso adecuado** a los medicamentos huérfanos (MM.HH.). Para lograr este objetivo, la Asociación propuso recomendaciones estructuradas en torno a guías, criterios y procesos.



aeLmhu

Recomendaciones
para un programa de
**“ACCESO
TEMPRANO”** en
España para
medicamentos con
designación huérfana o
medicamentos para
enfermedades
minoritarias

Una de las propuestas presentadas fue la **sugerencia de desarrollar guías oficiales específicas para estudios de evaluación económica y de impacto presupuestario relacionadas con MM.HH.**

La creación de una comisión mixta entre la Administración y la industria farmacéutica respalda dicha contribución para **desarrollar modelos de evaluación específicos para enfermedades raras.**

También se recomendó el uso de metodologías que tengan en cuenta la singularidad de estos fármacos, como la evaluación de ensayos clínicos de un solo brazo, donde todos los pacientes reciben el tratamiento experimental, así como el empleo de evidencia generada a partir de datos del mundo real en España.

Otra propuesta planteada en esta misma línea es **diferenciar la evaluación de la incertidumbre clínica y financiera**, teniendo en cuenta las limitaciones en la generación de evidencia debido a la disponibilidad limitada de pacientes en los estudios clínicos.

La visibilización del procedimiento del protocolo farmacoclínico, especialmente para estos medicamentos de baja prevalencia, y la inclusión de la posibilidad de crear grupos de expertos ad-hoc fueron otras conclusiones válidas, según el criterio de los expertos.

Igualmente, se propuso evaluar un límite anual de impacto presupuestario y establecer una nueva categoría de **medicamentos en situación temporal de financiación**, cuando la autorización tenga carácter condicional. Todo ello con el fin de recopilar datos en vida real durante este periodo para la toma de decisiones sobre el precio definitivo.

Para mejorar el proceso de precio y financiación de los fármacos huérfanos, se sugirió establecer un proceso de diálogo temprano y continuo entre la Administración Pública y las compañías farmacéuticas que desarrollan estos tratamientos.

Asimismo, se planteó el uso de análisis de decisión multicriterio, la inclusión de la perspectiva del paciente en el proceso de decisión y el desarrollo del Registro Estatal de Enfermedades Raras (ReeR).



3.3 ENCUENTROS AELMHU

Durante este año se han organizado un total de **nueve Encuentros**, cinco de ellos presenciales y cuatro en formato online. Dichas reuniones han permitido promover el **diálogo** entre los agentes del sector e **intercambiar opiniones y experiencias** sobre cuestiones de actualidad que afectan al futuro del sector y que han sido previamente analizadas por los distintos grupos de trabajo de la Asociación. Una muestra del interés generado por estas sesiones ha sido la **alta participación** registrada al reunir a más de 200 asistentes, miembros de los grupos de trabajo de AELMHU.



Los encuentros celebrados han sido:

- Marzo: **Raquel Ballesteros** (abogada), **José Javier Castrodeza** (exsecretario general de Sanidad y Consumo) y **Jorge Mestre** (economista de la salud).
- Abril: **Igor Beitia**, senior director de Market Access Southern Europe Region PTC.
- Dos encuentros en mayo:
 - **Margarita de la Pisa**, eurodiputada de Vox.
 - **Elena Casaus**, jefa de División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid.
- Julio: **Carlos Martín Saborido**, vocal asesor de la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia del Ministerio de Sanidad.
- Octubre: **Despacho Faus & Moliner**, con Lluís Alcover y Joan Carles Bailach, abogados especializados en Derecho Farmacéutico.
- Dos encuentros en noviembre:
 - **Antonio Blázquez**, jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS.
 - **Sol Ruiz**, jefa de División de Biológicos, Biotecnología y Terapias Avanzadas de la AEMPS.
- Diciembre: **Daniel de Vicente**, miembro de la Junta Directiva de EURORDIS y miembro de la Junta Directiva de FEDER.



3.4 JORNADA “El futuro de las terapias avanzadas para enfermedades raras”

Impulsada por el grupo de Terapias Avanzadas de AELMHU, con el respaldo de Bioinnova, la jornada “El futuro de las Terapias Avanzadas en Enfermedades Raras” contó con una alta asistencia de stakeholders del sector sanitario. Miembros destacados de la Administración Pública, las asociaciones nacionales, las patronales, profesionales de la salud y representantes de los medios de comunicación participaron en la sesión celebrada en la Universidad Carlos III de Madrid, donde se destacó la necesidad de adoptar un **enfoque colaborativo** para abordar los desafíos regulatorios y económicos que limitan el **acceso a tratamientos innovadores**.



Los ponentes de la jornada coincidieron en la necesidad de acometer una mayor inversión en investigación, dotarse de una regulación más eficiente y flexible, adoptar políticas de compra que garanticen precios accesibles y considerar los factores no económicos en la evaluación de estas terapias. También se hizo patente la urgencia de establecer mecanismos que aseguren un acceso equitativo y sostenible a los tratamientos para los pacientes que los necesitan, promoviendo la colaboración entre los actores del sistema sanitario para alcanzar este objetivo compartido.



La presencia de reconocidos expertos y líderes en el ámbito de la salud ofreció una gran proyección al encuentro. Entre ellos, participaron **Cesar Hernández**, Director General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia del Ministerio de Sanidad; **Eva Bermejo**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, del Instituto de Salud Carlos III; **María Luz de los Mártires**, Directora General de Investigación y Docencia de la Comunidad de Madrid; **Sol Ruiz**, jefa de la División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios; **Andrés Nascimiento**, coordinador de la Unidad de Patología Neuromuscular del Hospital Sant Joan de Déu; **Elena Casaus**, jefa de División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid; **Nekane Murga**, coordinadora del Área de Medicina Personalizada de Precisión y Terapias Avanzadas de Osakidetza; **José Luis Poveda**, coordinador del Grupo de Terapias Avanzadas y del Grupo de Enfermedades Raras de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH) y jefe del servicio de Farmacia del H.U.P. La Fe de Valencia; entre otros.

3.5 ACTIVIDADES de COLABORACIÓN con FEDER

Durante el año 2023, desde AELMHU se llevaron a cabo 4 acciones formativas junto a FEDER, divididas en dos temáticas:

- Tres sesiones de formación orientadas a ayudar al movimiento asociativo a entender el proceso que deben seguir los medicamentos para las enfermedades raras; se expuso un overview del transcurso de acciones de estos medicamentos, desde su desarrollo clínico, la designación de huérfano, la autorización de comercialización a nivel europeo y nacional, hasta la decisión de precio-reembolso y su final con la puesta en el mercado.

Estas sesiones se desarrollaron de forma separada y específica con el equipo técnico de FEDER en primer lugar, después con representantes del movimiento asociativo y una última con la Junta Directiva y Dirección de FEDER.



- La **cuarta acción** estuvo centrada en el desarrollo de competencias para portavoces de la federación. El objetivo de esta sesión fue la de proporcionar habilidades necesarias de comunicación, a un grupo integrado por miembros de la Junta Directiva, representantes del movimiento asociativo y la dirección de FEDER, para ejercer la labor de portavoz.

La iniciativa de estas acciones de formación tiene su origen en el **convenio de colaboración** que desde hace años se mantiene con FEDER y que, en esta ocasión, lideró el grupo de trabajo de Cocreación de Pacientes.

De esta manera, AELMHU afianza su compromiso con el fomento de la concienciación y visibilización de las enfermedades raras y el acceso a sus tratamientos, así como la colaboración estrecha y cercana con las asociaciones de pacientes con estas patologías.



3.6 PREMIOS AELMHU

Los Premios AELMHU son el resultado del trabajo desarrollado por la Asociación durante el año para distinguir los **mejores proyectos asistenciales, trayectorias profesionales, divulgación y sensibilización** sobre las patologías minoritarias. La ceremonia de entrega es el colofón de un proceso donde se dedican los mejores esfuerzos para garantizar el éxito de estos galardones. Durante este camino, se evalúan cuidadosamente las candidaturas, se selecciona a los ganadores y se coordinan los detalles logísticos de la ceremonia.

La celebración anual de los Premios refleja el compromiso de AELMHU con la promoción del conocimiento sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos, así como reconoce el trabajo excepcional de profesionales y organizaciones en este ámbito de tanta relevancia social y sanitaria.



En la edición de 2023 se establecieron las siguientes categorías:

- Mejor Proyecto Asistencial sobre Enfermedades Raras.
- Mejor Trayectoria Profesional en el Campo de las Enfermedades Raras.
- Mejor Labor de Divulgación, Difusión y/o Sensibilización sobre Enfermedades Raras.
- Premio Honorífico AELMHU por su Labor o Contribución para Mejorar la Vida de Personas con Enfermedades Raras.

La participación estuvo abierta a personas físicas y jurídicas dedicadas a la investigación, divulgación o sensibilización sobre este tipo de enfermedades, con residencia o actividad en España.

Además de la distinción, los ganadores tuvieron la oportunidad de seleccionar una entidad beneficiaria pública o privada sin ánimo de lucro a la que destinar una donación económica para proyectos de investigación en enfermedades raras y/o medicamentos huérfanos.

La entrega de estos premios sirve para mejorar el conocimiento y conciencia sobre las enfermedades raras, además de distinguir el trabajo destacado en este ámbito durante el año.



La V Edición contó con un jurado externo e independiente, formado por los siguientes profesionales de reconocido prestigio en la investigación de estas enfermedades, en el ámbito de la salud y de la comunicación:

- **D. Jesús Aguilar**, presidente del Consejo General de Colegios Farmacéuticos (CGCF).
- **Dña. Eva Bermejo**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII).
- **D. Emilio de Benito**, vicepresidente de la Junta Directiva de la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS).
- **D. Javier García**, presidente de la Federación de Asociaciones Científico Médicas Españolas (FACME).
- **D. Antoni Gilabert**, director de Innovación y Partenariado en el Consorcio de Salud y Social de Cataluña.

- **Dña. María Esperanza Marcos**, presidenta de Sección de Derecho Sanitario del Ilustre Colegio de Abogados de Madrid.
- **D. Jorge Mestre**, economista de la salud.
- **D. José María Millán**, vocal de la Asociación Española de Genética Humana (AEGH).
- **D. Jordi Nicolás**, vicepresidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH).
- **D. Manuel Pérez**, presidente de la Fundación Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras (Mehuer).
- **Dña. Marian Corral**, directora de AELMHU (sin voto).

La reunión para el fallo de jurado tuvo lugar el 27 de septiembre y, tras hacer públicos los ganadores, se comenzó a trabajar en la organización de la ceremonia de entrega.



Ceremonia de Entrega

La periodista María Rey fue la encargada de conducir la ceremonia de entrega de premios el día **7 de noviembre** en el **Espacio Bertelsmann** de Madrid.

En la inauguración, María José Sánchez Losada, presidenta de AELMHU, aprovechó para agradecer el **alto grado de participación**, así como la labor desempeñada por el jurado. Además, reconoció y valoró positivamente el papel de los asociados durante el año 2023 y resaltó la necesidad de centrar la atención pública y sanitaria en las enfermedades raras. Finalmente destacó la importancia de las reformas legislativas que han de ser acometidas en los niveles europeo, nacional y autonómico.



De explicar el proceso de evaluación y elección de los premiados se encargó **Eva Bermejo**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII), en representación del jurado. Durante su intervención aprovechó para felicitar a los premiados por la calidad de los proyectos, instándoles a seguir dando el máximo en la investigación para mejorar la vida de los pacientes.

La V Edición de los Premios AELMHU reconoció las siguientes iniciativas:

- En la categoría de **Mejor Proyecto Asistencial sobre enfermedades raras**, la **Asociación Duchenne Parent Project España** fue galardonada por el servicio de Atención Integral Telemática a las personas afectadas de Distrofia Muscular de Duchenne y Becker. Este proyecto, dirigido a enfermos, familiares, profesionales e instituciones públicas y privadas, ofrece respuesta a las demandas sanitarias, educativas, jurídico-administrativas y sociales derivadas de la enfermedad, mejorando la inclusión social, autonomía y calidad de vida de los pacientes. **Eva Bermejo** y **Emilio de Benito**, miembros del jurado, hicieron entrega del premio a la **Directora de la Asociación, Esther Sabando**.





- **Dravet Foundation** (delegación España) fue distinguida por RetoDravet de Syndrome, como **Mejor proyecto de divulgación, difusión y/o sensibilización sobre Enfermedades Raras**. RetoDravet es una plataforma solidaria que nació con la vocación de difundir, sensibilizar y visibilizar el Síndrome de Dravet en la sociedad a través del deporte solidario y de otros eventos culturales y sociales impulsados y apoyados por las propias familias de la Fundación. El premio lo recogieron **Luis Enrique Villanueva** y **Magali Sánchez** en nombre de la delegación española, de manos de **María Esperanza Marcos** y **Antoni Gilabert**, miembros del jurado.



- El doctor **Ángel María Carracedo Álvarez** obtuvo el reconocimiento a la **Mejor trayectoria profesional en el campo de las Enfermedades Raras**. El doctor Carracedo es, entre otros cargos, director de la Fundación Pública Galega de Medicina Xenómica, coordinador del Grupo de Medicina Genómica de la Universidad de Santiago de Compostela (USC), catedrático de Medicina Legal de la Universidad de Santiago de Compostela y presidente de la International Academy of Legal Medicine (IALM). **María Jesús Lamas**, directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, entregó el premio junto a **Manuel Pérez** presidente de Mehuer, tras rendir un sentido homenaje a la trayectoria, tanto profesional como personal, del Dr. Carracedo. Además, sus compañeros quisieron unirse desde Galicia a la felicitación por el reconocimiento a su trayectoria profesional a través de un vídeo proyectado en ese momento de la ceremonia.



- Por último, el Premio honorífico 2023, a título póstumo, se entregó a **D. Julio Sánchez Fierro**, por su dedicación, compromiso y contribución para mejorar la vida de las personas con enfermedades raras. **César Hernández**, Director General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, acompañado de la **Junta Directiva** de AELMHU, en nombre de todos sus asociados, entregó el Premio a **Raquel Sánchez**, hija de D. Julio Sánchez Fierro. Durante la entrega de este premio honorífico tuvo nuevamente lugar la proyección de un vídeo, en el que compañeros y amigos de Sánchez Fierro compartieron diversas anécdotas con él y recordaron su labor en favor de la mejora de la calidad de vida de las personas con enfermedades minoritarias. Para finalizar, Raquel Sánchez quiso agradecer en su nombre y el de su familia el homenaje realizado a su padre y recordó los valores que él mismo transmitía: honor, lucha, compromiso y vida.





Los galardonados coincidieron en la necesidad de seguir impulsando la investigación en materia de enfermedades raras y colaborar para avanzar en el ámbito de las enfermedades minoritarias y los medicamentos huérfanos, reafirmando el compromiso de la comunidad médica y científica con estas importantes causas

César Hernández clausuró el acto recalcando el compromiso social de todas las partes implicadas con las personas que sufren enfermedades raras. El Director General de Cartera Común de Servicios del SNS y de Farmacia destacó que el Ministerio de Sanidad trabaja para incorporar los nuevos medicamentos con mayor celeridad a la cartera pública y facilitar así su acceso a los pacientes, si bien reconoció desafíos pendientes, como el diagnóstico y cribado de estas enfermedades, así como la mejora de la atención asistencial a estas personas.

Para finalizar el evento, el atleta **Álex Roca** compartió su experiencia personal en una intervención titulada *El límite te lo pones tú*. Repasó los principales hitos de su vida y de su trayectoria profesional, desde que los médicos les comunicaron a sus padres cuando apenas tenía seis meses que, de sobrevivir, quedaría postrado en una cama toda su vida, hasta que consiguió completar la maratón en menos de seis horas. A través de su historia de superación,

👉 *Vídeo completo de la ceremonia*

Álex Roca trata de concienciar a quiénes lo escuchan de que vivir con una discapacidad o una enfermedad minoritaria no implica necesariamente dejar de cumplir los retos que una persona se propone. Con su testimonio, Roca transmitió a los asistentes la necesidad de perseverar en los objetivos y las metas, de que los límites los ponga uno mismo, a través del trabajo duro y la constancia, un mensaje de esperanza para los pacientes con enfermedades raras y sus familias.











4. Grupos de Trabajo

En el año 2020, AELMHU creó los grupos de trabajo cuyo objetivo es dinamizar la actividad de la Asociación, teniendo en cuenta tanto los desarrollos del sector sanitario como los distintos avances políticos e institucionales que sean de interés para los asociados.

Durante 2023, AELMHU ha mantenido activos cuatro grupos de trabajo:

- Acceso
- Terapias Avanzadas
- Asuntos Políticos y Agenda Legislativa
- Cocreación con las Asociaciones de Pacientes de EE.RR.

Cada grupo de trabajo dispone de un portavoz, salvo el grupo de Acceso, que cuenta con dos. Dentro de su actividad, se celebran **reuniones mensuales** para definir estrategias y compartir información que permita **impulsar distintos proyectos** y **elaborar los documentos** que se difunden a lo largo del año.

Durante este periodo, se ha confirmado el interés de las compañías por formar parte de estos grupos de trabajo, que se han visto reforzados con la entrada de 16 nuevos miembros, hasta sumar un total de 53 integrantes.



A través de los distintos grupos de trabajo se han desarrollado diferentes documentos, como las *Recomendaciones sobre el Acceso y Evaluación de los Medicamentos Huérfanos*, *Recomendaciones para un Acceso Temprano a estos medicamentos o retos y oportunidades para las Terapias Avanzadas con designación huérfana*. Igualmente, se han puesto en marcha actividades como la primera Jornada en Madrid sobre este tipo de tratamientos o la actualización de los mensajes clave institucionales que han definido la posición de la organización en los eventos y reuniones institucionales donde han participado los miembros de la Asociación.





Gracias al impulso de estas iniciativas, se mantuvieron **encuentros** con miembros de las **administraciones públicas** especializados en el ámbito de las Terapias Avanzadas, con **representantes del Ministerio de Sanidad** y el **Parlamento Europeo**. Dichas reuniones permitieron transmitir las propuestas de AELMHU a los principales partidos políticos de cara a las distintas elecciones celebradas durante 2023.

Asimismo, a través de varios grupos se desarrollaron y consensuaron **documentos de recomendaciones** para poder participar en consultas y audiencias públicas, en los ámbitos autonómico, nacional y europeo.

De otro grupo de trabajo nació el acuerdo alcanzado con la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), un marco de colaboración para poner en marcha varias actividades de formación para su equipo técnico, junta directiva y movimiento asociativo, así como mantener reuniones trimestrales entre ambas organizaciones y celebrar el encuentro con EURORDIS.

En este sentido, y gracias al impulso y desarrollo de nuevas iniciativas, documentos, eventos y colaboraciones que se han desarrollado en los distintos grupos de trabajo, AELMHU ha continuado su labor de **concienciar** a las administraciones públicas de la **importancia de seguir investigando** en las enfermedades raras, conseguir un **diagnóstico y acceso**, tanto **rápido** como **equitativo** a los **medicamentos huérfanos**.

También, ha colaborado con otras asociaciones para extender el conocimiento general sobre estas enfermedades minoritarias, mejorando así la calidad de vida de los pacientes y sus familiares. Por todo esto, y visto el interés que generan las iniciativas desarrolladas en los distintos grupos de trabajo, la Asociación seguirá impulsando y dando visibilidad a la actividad desarrollada en el seno de estos grupos, que se han convertido en una referencia dentro y fuera de la organización por su alto nivel y grado de conocimiento.



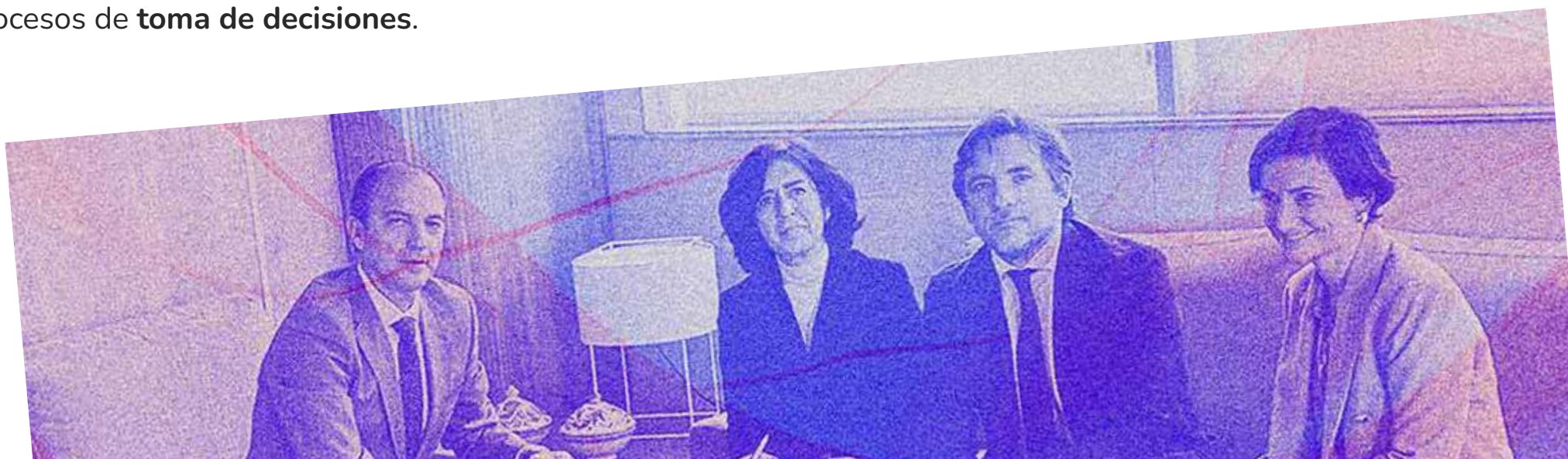
5. Reuniones institucionales

AELMHU ha contribuido, de forma significativa, a sensibilizar sobre la realidad de la investigación de las enfermedades poco frecuentes y la importancia de facilitar el acceso a los nuevos tratamientos disponibles y mejorar el diagnóstico precoz, como eje de una política sanitaria integradora, capaz de atender las necesidades de todos los pacientes.

En 2023, la Asociación **consolidó las relaciones institucionales** con los actores claves de las distintas administraciones públicas, como portavoz principal y cualificado del sector y de los intereses que representa.

El principal cometido de este trabajo institucional fue asegurar que la Asociación desempeñara un **papel crucial** en los procesos de **toma de decisiones**.

Con este objetivo, y teniendo en cuenta el nuevo contexto político surgido de las urnas, AELMHU intensificó su agenda política para conocer las **prioridades y líneas de acción** marcadas por los nuevos equipos de gobierno, tanto de la administración central como autonómica, dar continuidad a los trabajos y proyectos iniciados, así como buscar nuevos espacios de colaboración institucional que redunden en el beneficio de los pacientes y familias afectadas por enfermedades raras.



**COMENTARIO DE
AELMHU
A LA REVISIÓN
DE LA
LEGISLACIÓN
GENERAL
FARMACÉUTICA
DE LA UNIÓN**

aelmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

**RESPUESTA A LA
CONSULTA PÚBLICA
PREVIA**

**PROYECTO DE REAL
DECRETO POR EL QUE SE
REGULA LA EVALUACIÓN DE
LAS TECNOLOGÍAS
SANITARIAS**

5.1 PARTICIPACIÓN PÚBLICA *en* PROYECTOS NORMATIVOS

En este sentido, la Asociación participó en diversas consultas y audiencias públicas a nivel autonómico, nacional y europeo.

Autonómicas:

Observatorio de Farmacoeconomía de la Comunidad de Madrid

En el mes de abril, AELMHU participó en la Consulta pública del Proyecto de Orden de la Consejería de Sanidad por la que se crea el Observatorio de Farmacoeconomía de la Comunidad de Madrid y constató el interés de este nuevo ente en el acceso a la innovación.

Desde la Asociación se recomendaba:

- La **participación efectiva de los actores involucrados, incluyendo la industria farmacéutica**, con el objetivo de permitir una colaboración institucional abierta y efectiva, integrando las perspectivas de las asociaciones de pacientes e industria, de modo que nos permita situar al paciente en el centro de las decisiones a corto, medio y largo plazo.
- Realizar un **análisis económico – financiero específico para MM.HH.**, en el cual se tuviera en cuenta las particularidades de los MM.HH. y se incorporasen parámetros multicriterio en la evaluación de los nuevos tratamientos, como la mejora en la calidad de vida de los pacientes o la necesidad clínica real, entre otros. Además, se sugirió establecer **plazos definidos** para la presentación de resultados y seguimientos, incrementando así la transparencia y posibilitando la implementación de mejoras necesarias.



Cribado Neonatal de Castilla La Mancha

A principios del mes de junio, Castilla La Mancha sacó a Consulta Pública el Proyecto de Orden por el que se regulaban las enfermedades congénitas endocrinas y metabólicas objeto de detección precoz neonatal. La consulta tenía a juicio de AELMHU, potencial para mejorar la calidad de vida de los pacientes y el cribado neonatal de enfermedades raras.

Así, desde la Asociación se recomendó:

- **Reconocer los esfuerzos de Castilla - La Mancha** · en esta área de diagnóstico y explicar los beneficios que conlleva la extensión del cribado neonatal al mayor número de EE.RR.
- **Solicitar la inclusión del mayor número posible de EE.RR.** en el programa de cribado neonatal, priorizando la incorporación de todas aquellas patologías que dispongan de una técnica de cribado segura, que sea coste-efectiva y cuente con un tratamiento aprobado e incluido en la Cartera Común Básica del Sistema Nacional de Salud.
- **Reivindicar el reconocimiento de la especialidad de Genética Clínica**, para alinearse con Europa, al ser España es el único país de la UE que no cuenta con esta especialidad y acelerar así el acceso a los pacientes.

Cribado Neonatal de las *Islas Baleares*

A mediados de junio, la Consejería de Sanidad de Baleares sacó a Consulta Pública el Proyecto de Decreto por el que se establecía la prestación sanitaria complementaria del programa de cribado neonatal de enfermedades endocrino-metabólicas de las Islas Baleares a la hora de ampliar el cribado neonatal al mayor número de EE.RR. posibles y contribuir así a mejorar la calidad de vida de los pacientes.

Por ello, desde AELMHU se recomendaba:

Soluciones regulatorias:

- **Incluir el mayor número posible de EE.RR.** en el programa de cribado neonatal como herramienta común de detección temprana y accesible, priorizando la incorporación de todas aquellas patologías que dispongan de una técnica de cribado segura y efectiva y cuenten con un tratamiento aprobado e incluido en la Cartera Común Básica del SNS.
- **Reconocer la especialidad de Genética Clínica** para alinearse con Europa y acelerar el acceso a los pacientes.

Soluciones no regulatorias:

- Promover el ámbito de la **salud preventiva** como herramienta de detección temprana de patologías que posibilite un pronto y mejor tratamiento que redunde en una mejora de la calidad y nivel de vida de la ciudadanía.

Comisión Cribado Neonatal de Andalucía

Durante el mes de diciembre, Andalucía sacó a Consulta Pública el Proyecto de Decreto por el que se crea la Comisión Autonómica de Cribados Poblacionales y Actividades Preventivas de Detección Precoz y se regulan las propuestas relativas a las mismas. AELMHU celebró que Andalucía quisiera crear dicha Comisión Autonómica con el objetivo de llevar a cabo una mejora de la coordinación administrativa eficaz en aras a la toma de decisiones estratégicas sobre cribados poblacionales y actividades preventivas de detección precoz, para conseguir un buen balance entre los beneficios y los efectos adversos a nivel poblacional, así como para evitar problemas de equidad.

Entre las recomendaciones, AELMHU propuso:

- Reconocer los esfuerzos de Andalucía en el ámbito de salud preventiva y su compromiso por mejorar la eficacia y equidad en el diagnóstico temprano.
- Poner a Andalucía como ejemplo de buenas prácticas para otras comunidades autónomas.
- Que todos los agentes involucrados, como las sociedades científicas, las asociaciones de pacientes y la industria, **participen con voz y voto**, o subsidiariamente con una sola voz, en el desarrollo de esta Comisión.
- Que la Comisión se funde y sustente su funcionamiento bajo un **proceso de transparencia** en su composición, reuniones y cualesquiera otras actividades de importancia para todos los agentes involucrados.

Nacionales:

Consulta pública previa del Proyecto de Real Decreto por el que se regula la evaluación de las tecnologías sanitarias

La Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) participó en la consulta pública previa del Proyecto de Real Decreto que regula la evaluación de las tecnologías sanitarias. El proceso abierto fue una oportunidad de extraordinaria importancia para visibilizar las enfermedades raras (EE.RR.) y ultrarraras, educar sobre el valor de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) y ultrahuérfanos, colaborar con diversas entidades para mejorar el tratamiento de EE.RR. y respaldar la investigación para lanzar nuevos MM.HH. al mercado.

AELMHU reconoció la importancia de los procesos de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) para garantizar tratamientos eficaces y abogó por un sistema más justo y flexible que involucre a todas las partes relevantes, incluidos los pacientes con enfermedades raras y sus familias. También apoyó la iniciativa de fortalecer la legislación actual y mostró su disposición para colaborar en la construcción de un proceso de ETS moderno.

La Asociación además propuso la creación de un Consejo Nacional para abordar, de forma conjunta, los desafíos del sector contando con el consenso de los agentes implicados.

Igualmente, subrayó la necesidad de asignar recursos adecuados, tanto económicos como humanos, para implementar un sistema de ETS eficaz en España.

Finalmente, enfatizó la importancia de una gobernanza clara para evitar duplicidades y establecer plazos de evaluación concretos en el contexto de la implementación del Reglamento Europeo de ETS.

Constató que el actual marco de Evaluación de Tecnologías Sanitarias presenta limitaciones al evaluar Medicamentos Huérfanos, al ignorar sus particularidades, como el tamaño de la población objetivo, o sus desafíos en la recopilación de datos y la magnitud de la innovación.

Tampoco se consideran los beneficios sociales y económicos que estos medicamentos aportan, lo que impacta en el acceso limitado o con retraso a los mismos.

A pesar de las mejoras introducidas en la financiación de MM.HH., el tiempo promedio de espera para la inclusión en el Sistema Nacional de Salud es de 23 meses, según datos de AELMHU. Por tanto, es crucial considerar estos aspectos en el desarrollo del marco regulatorio actual para mejorar la situación.

Recomendaciones

A. Guías

El Proyecto de Real Decreto destacó la imperiosa necesidad de establecer una **guía metodológica** para la evaluación adecuada de los MM.HH.

Ante esta premisa, AELMHU planteó la creación de una **Comisión Mixta**, integrada por representantes gubernamentales y del sector farmacéutico, para desarrollar estas guías de una forma colaborativa y consensuada.

La Asociación propuso:

- Abordar las particularidades de los MM.HH., como el tamaño de la población objetivo, los desafíos inherentes a la recolección de datos y la magnitud de la innovación, en la evaluación de estos tratamientos.
- Emplear metodologías que permitan una evaluación integral de los beneficios de los medicamentos, así como la consideración de aspectos específicos como los estudios clínicos de un solo brazo y la utilización de Datos de Vida Real (Real World Evidence o RWE).
- Recopilar datos de la práctica clínica habitual, especialmente en Centros, Servicios y Unidades de Referencia del Sistema Nacional de Salud (CSUR), para asegurar la objetividad y transparencia del proceso de evaluación.
- Desarrollar y sistematizar el Registro Estatal de Enfermedades Raras (ReeR) para recopilar información y generar evidencia clínica, así como para precisar el número de pacientes.
- Incluir todas las enfermedades raras conocidas o aprobadas en Europa, con participación de las comunidades autónomas.

- Utilizar metodologías pragmáticas en la evaluación de la evidencia disponible, considerando las dificultades en la investigación de enfermedades raras y las limitaciones en el diseño de ensayos clínicos.
- Diferenciar la evaluación de la incertidumbre clínica y financiera por parte de los técnicos ministeriales, teniendo en cuenta las limitaciones en la generación de evidencia debido al reducido número de pacientes disponibles.
- Garantizar la transparencia en el desarrollo del protocolo farmacoclínico, especialmente en la definición de criterios de inclusión y en el uso como herramienta de financiación, sobre todo para MM.HH. con baja prevalencia.

B. Criterios

El artículo 92 del texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios establece criterios para la financiación selectiva de nuevos medicamentos, resaltando la gravedad de las patologías, las necesidades específicas de ciertos colectivos, el valor terapéutico y social, la relación coste-efectividad, la racionalización del gasto público y el grado de innovación.

Según la experiencia de distintos asociados, los criterios más utilizados para decisiones de financiación en medicamentos huérfanos son el terapéutico-social y el impacto presupuestario.

En este contexto, AELMHU planteó una serie de **recomendaciones** para desarrollar un marco de evaluación colaborativa, que incluye:

- atributos más allá del coste-efectividad;
- criterios adicionales, como amenaza para la vida o capacidad de modificar la enfermedad;
- consideraciones de impacto clínico, ético y social, así como reconocimiento de la innovación terapéutica; y
- aplicación de criterios no tradicionales de evaluación.



C. Procesos

El proceso para evaluar los medicamentos huérfanos debe ser ágil, evitar duplicidades y fomentar el diálogo entre todos los agentes involucrados.

Ante esta situación, AELMHU propuso:

- Establecer un **diálogo temprano y continuo** entre la Administración y las compañías, con reuniones presenciales para intercambiar información.
- Formar un proceso de **horizon scanning** para identificar avances en I+D y priorizar innovaciones.
- Incorporar la **visión del paciente y expertos clínicos**, así como considerar el uso de análisis de decisión multi-criterio.
- Importancia de **reevaluar** en caso de **nuevas evidencias científicas**.

D. Terapias Avanzadas

Las terapias avanzadas, como las celulares y genéticas, representan un cambio significativo en el tratamiento de enfermedades, especialmente las raras. Sin embargo, enfrentan desafíos únicos, como la dificultad para obtener datos a largo plazo debido a la naturaleza potencialmente curativa y la incertidumbre en su valor.

Por lo tanto, el marco de evaluación tradicional no es adecuado para capturar su valor completo.

AELMHU propuso:

- Incluir **elementos adicionales** de valor.
- **Reconocer los desafíos** en la realización de **ensayos clínicos** y adoptar enfoques flexibles en la evaluación de pruebas disponibles.
- Adoptar una **visión pragmática** en la **recopilación de datos de vida real** para abordar las incertidumbres a largo plazo, minimizando la carga administrativa.

👉 *Aportaciones AELMHU Consulta Pública
previa proyecto de RD ETS*



Europa:

Reforma de la legislación farmacéutica de la UE

A principios de noviembre AELMHU participó en la revisión de la Legislación Farmacéutica de la UE, donde expresó su compromiso con la mejora continua y agradeció la oportunidad de participar en la consulta para abordar estos desafíos y asegurar un futuro más prometedor para los pacientes con enfermedades raras.

En estos momentos, la legislación comunitaria parte de los siguientes puntos clave:

- La distinción entre necesidades médicas no satisfechas (UMN) y necesidades médicas no satisfechas importantes (HUMN) genera inquietudes sobre la definición restrictiva y la incertidumbre en la innovación, afectando la investigación en enfermedades raras.

- Los cambios propuestos en la protección comercial, tanto en el periodo de exclusividad como en las indicaciones terapéuticas, podrían desincentivar la investigación y desarrollo de tratamientos para enfermedades raras al imponer requisitos más estrictos y limitar la exclusividad.
- La búsqueda de equidad en el acceso e innovación entre los Estados miembros supone un reto debido a la complejidad de los mercados y los plazos poco realistas establecidos, lo que podría dificultar aún más el acceso a tratamientos para enfermedades raras.
- Las modificaciones en la protección de datos, con periodos reducidos y criterios poco flexibles, podrían obstaculizar la investigación y desarrollo de tratamientos para enfermedades poco frecuentes al no considerar sus características únicas.
- Aunque se busca agilizar los tiempos de acceso a los medicamentos huérfanos, es fundamental abordar también los procesos de evaluación y financiación a nivel nacional para garantizar un acceso oportuno a los tratamientos, especialmente para los pacientes con enfermedades raras.

La Asociación se comprometió a colaborar con la Comisión Europea y otras instituciones para garantizar que estas sugerencias se tengan en cuenta durante la revisión del proceso de aprobación.

En este sentido, AELMHU propuso:

- **Consensuar** una definición amplia y equilibrada de necesidades médicas no satisfechas (UMN) y necesidades médicas no satisfechas importantes (HUMN), elaborada por un comité con la participación de todas las partes interesadas, que considere las particularidades de cada patología.
- **Desvincular la obtención de incentivos** del cumplimiento de conceptos ambiguos como UMN y HUMN, especialmente cuando son la única forma de mantener los incentivos del marco actual.
- **Mantener un período de exclusividad** de diez años, con la opción de extenderlo según diferentes criterios, sin reducirlo inicialmente.
- **Eliminar la reducción del período de exclusividad** relacionado con el principio activo para mantener el incentivo de explorar el potencial de una molécula.

- **Incorporar criterios flexibles** al evaluar el cumplimiento de distribución continua con la cadena de suministro, considerando las barreras existentes, los tiempos de acceso y las características de los pacientes con enfermedades raras.
- **Mantener o extender** el período de protección normativa de datos a ocho años, con la posibilidad de ampliación bajo diferentes criterios, sin condicionarlo al acceso en todos los Estados miembros.
- **Considerar las diferencias entre los Estados miembros** al implementar criterios comunes, adaptados a los medicamentos huérfanos, mediante un diálogo entre las agencias de medicamentos y todas las partes involucradas en el proceso.
- Asegurar un **diálogo activo con todos los interesados** en áreas donde la Agencia Europea del Medicamento emita guías científicas para considerar todos los factores en torno a la aplicación del Reglamento y la Directiva.

👉 *Recomendaciones AELMHU a la revisión de la Legislación Farmacéutica de la UE*

5.2 REUNIONES INSTITUCIONALES

A largo de 2023, AELMHU mantuvo **numerosos encuentros** de trabajo con diferentes **representantes institucionales**, tanto del ámbito ejecutivo como **parlamentario a nivel nacional**:

- El Director General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia del **Ministerio de Sanidad**, César Hernández.
- La Secretaria General de Investigación del **Ministerio de Ciencia**, Raquel Yotti.
- Portavoces del **Grupo Parlamentario Republicano**, Xavier Eritja y del **Grupo Parlamentario Popular** del Congreso de los Diputados, Elvira Velasco y Ana Pastor.

A nivel autonómico:

- El Director General de Prestaciones y Farmacia de la **Consejería de Salud de Islas Baleares**, Joan Simonet.
- La Directora General de Planificación, Ordenación e Inspección Sanitaria y Farmacia de la **Consejería de Sanidad de Castilla – La Mancha**, Carmen Encinas.
- El Director General de Planificación, Farmacia e Investigación Farmacéutica de la **Consejería de Sanidad de Murcia**, Jesús Cañavate.
- La Directora General de Farmacia de la **Conselleria de Sanidad de la Generalitat Valenciana**, Elena Gras.
- La Subdirectora de Farmacia y Productos Sanitarios, de la **Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid**, María José Calvo
- Y el **Consejero de Sanidad de Aragón**, José Luis Bancalero.

Igualmente, se han mantenido algunas reuniones con las **principales asociaciones y federaciones (2) de la industria farmacéutica**, como Farmaindustria y la Federación de Asociaciones Científico Médicas Españolas.

El **objetivo de dichos encuentros** fue el de dar a conocer la labor de AELMHU, la posición y los retos a los que se enfrenta, compartiendo los diferentes proyectos desarrollados por la Asociación, como el informe de acceso a los medicamentos huérfanos y el de ensayos clínicos de enfermedades raras en España. Igualmente, en estos encuentros institucionales se **compartieron propuestas de mejora sobre distintos desarrollos políticos, legislativos e institucionales de interés en el ámbito de las enfermedades raras** y los medicamentos huérfanos, además de promover la colaboración con los distintos agentes que componen la cadena de valor del sector sanitario con el objetivo de incrementar la llegada de la innovación y mejorar entre todos la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras.



AELMHU *en*

6. Eventos Externos

Gracias al trabajo desarrollado en los últimos 12 años por la Asociación y al conocimiento, promoción y avance en los tratamientos para enfermedades raras, AELMHU ha conseguido una **mayor participación, involucración y proyección** en los principales foros y eventos organizados en el sector sanitario.



6.1 EVENTOS *con* PARTICIPACIÓN *de* AELMHU

Durante este año, la Asociación participó en un total de **22 encuentros**, nueve más que en 2022, que han ayudado a **fortalecer** su **posición** como **líder** en el ámbito de los medicamentos huérfanos. Desde la Hoja de Ruta hasta su participación destacada en el XVI Congreso Internacional de Enfermedades Raras, AELMHU contribuyó a avanzar en la mejor comprensión y el tratamiento de estas enfermedades, así como acercar la realidad de los pacientes y de sus familias.

Hoja de Ruta en Enfermedades Raras (17/01/2023)

De forma presencial, la **directora** de nuestra organización, **Marian Corral**, intervino en el segundo encuentro de la *Hoja de Ruta en Enfermedades Raras*. Impulsado por la compañía Takeda, contó con la nutrida presencia de líderes del sector. Además de destacar los avances, los logros y desafíos del sector, ofreció distintas **claves para mejorar el acceso** a los nuevos tratamientos y potenciar la investigación, en un año marcado por elecciones, cambios legislativos y la Presidencia española de la UE. En la mesa de debate posterior intervinieron personalidades como Jorge Aboal Viñas, ex director general de Asistencia Sanitaria del Servicio Gallego de Salud; Cristina Ruiz, subdirectora General de Planificación y Organización Asistencial de la Consejería de Sanidad Universal y Salud Pública de la Comunidad Valenciana; o Carolina Rodríguez Gay, jefa de Área de Información y Atención al Paciente de la Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid



Europe Rare Disease Summit 2023

(15/02/2023)

La **presidenta** de AELMHU, **María José Sánchez Losada**, participó en el *Europe Rare Disease Summit 2023*. Celebrado de forma presencial en Madrid, este acto reunió a representantes de la Administración, la Unión Europea, la industria farmacéutica, las asociaciones de pacientes e investigadores. Se abordaron los **cambios legislativos**, el **acceso y financiación** de los medicamentos huérfanos, la **innovación** o el **papel de los pacientes** con enfermedades, entre otros temas.

María José Sánchez Losada presentó los datos del último *Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España*, elaborado por AELMHU, y compartió algunas de las propuestas remitidas al Ministerio de Sanidad para mejorar y afrontar los retos de acceso a los medicamentos huérfanos ante los cambios legislativos inminentes en la Ley General de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y el Real Decreto de financiación y precio de los medicamentos.

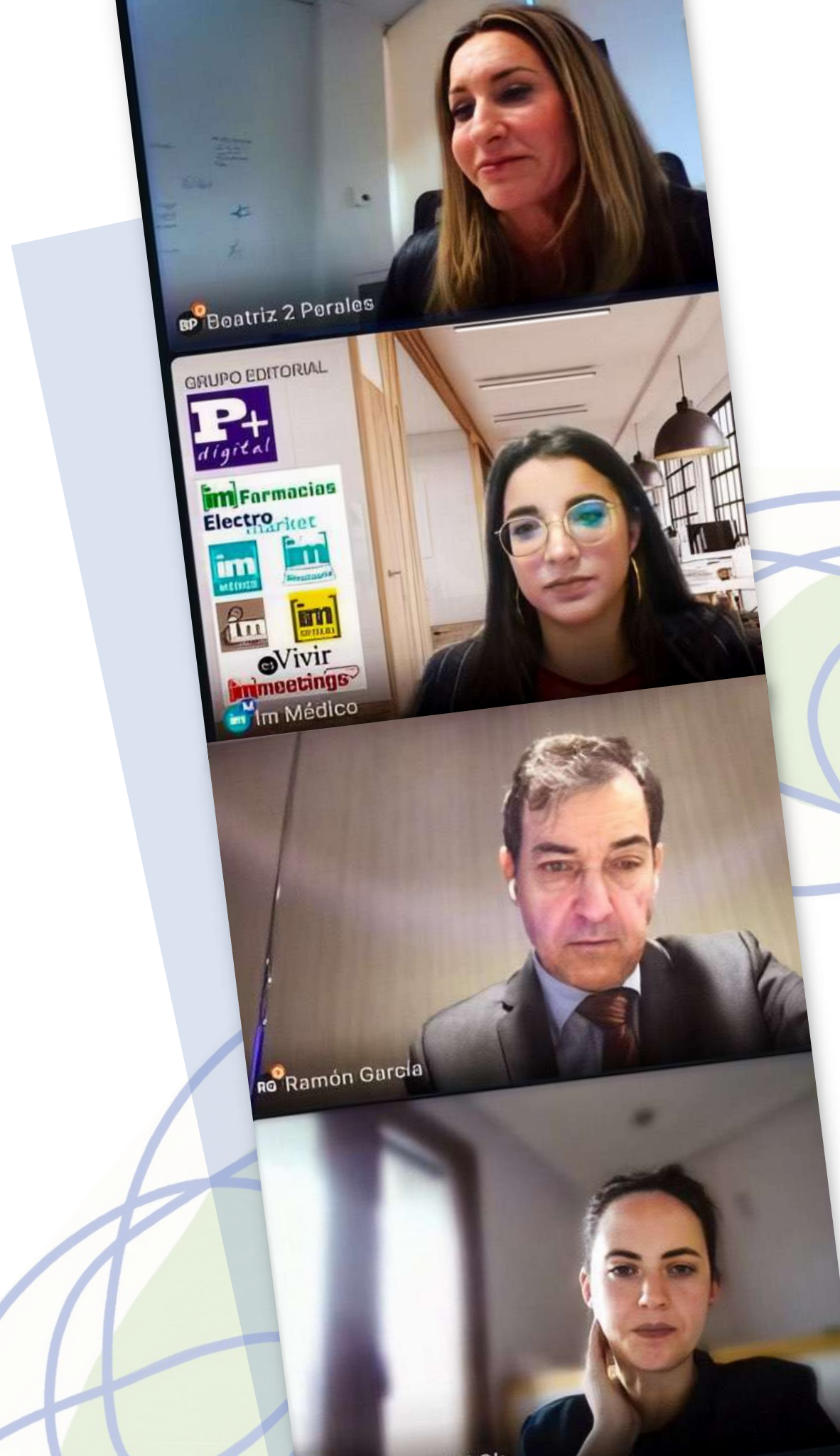


Jornada de Enfermedades Raras (23/02/2023)

En el debate *online* organizado por el diario IM Médico bajo el título *Enfermedades raras: diagnósticos más afinados, tratamientos más específicos*, la Asociación estuvo representada por su **secretaria y vocal, Beatriz Perales**.

Durante su intervención, destacó la labor de AELMHU en la **investigación, desarrollo y comercialización** de terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de pacientes con enfermedades raras y ultrarraras. También se refirió a los datos recientes del *Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España 2022*, que sirvieron de marco para analizar, junto con los demás ponentes, los desafíos actuales de la investigación, el diagnóstico, la regulación y el acceso a tratamientos.

Puso de relieve la **necesidad de afrontar estos desafíos**, de manera colaborativa y urgente, para garantizar un diagnóstico temprano y un acceso rápido a los tratamientos para los pacientes con enfermedades raras.



I Foro de Terapia Génica en Hemofilia (24/02/2023)

La **directora** de nuestra organización, **Marian Corral**, participó en el *I Foro de Terapia Génica en Hemofilia*, que organizó CSL Behring en Madrid. En este encuentro se expusieron cuestiones relacionadas con las necesidades no cubiertas, la perspectiva de especialistas y la investigación clínica de la hemofilia.

AELMHU estuvo presente en el panel final sobre acceso a financiación para terapias avanzadas, en el que se trataron los modelos de financiación y los retos en el acceso.

Marian Corral ofreció las **claves** del *Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España* centradas en los principales **retos** que afectan a la **financiación de terapias avanzadas** en enfermedades raras, además de los aspectos regulatorios, de gestión y formación sanitaria.



Día Mundial de las Enfermedades Raras (28/02/2023)



Durante la *II Jornada de Enfermedades Minoritarias* del Hospital 12 de Octubre de Madrid, AELMHU estuvo representada por **Marian Corral**, quien hizo balance de los datos de acceso y destacó la importancia de 2023 para la industria farmacéutica en España a través del desarrollo y **revisión de normas clave** para el sector como la Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos, el Reglamento Europeo de Medicamentos Huérfanos o la Presidencia española del Consejo de la UE.

Varias asociaciones de pacientes tuvieron la oportunidad de compartir su experiencia y ofrecer propuestas de mejora para garantizar la continuidad asistencial de los pacientes.

Prioridades en evaluación y financiación de medicamentos y productos sanitarios en España (21/03/2023)

Beatriz Perales, secretaria de AELMHU, participó de forma presencial en una nueva edición de la jornada **Post Ispor 2023** y **Diariofarma**, titulada en esta ocasión *Prioridades en evaluación y financiación de medicamentos y productos sanitarios en España*.

Los ponentes incidieron en aspectos clave de la evaluación y financiación de medicamentos, en un encuentro que contó con la intervención del Director General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia, César Hernández.



II Jornada Más Visibles (24/03/2023)

Marian Corral asistió en representación de AELMHU a las *II Jornadas sobre Enfermedades Raras*, con el fin de visibilizarlas y demandar más investigación.

Celebradas en Jaén, los ponentes coincidieron en reclamar una visión más humanitaria de las enfermedades de baja prevalencia, además de solicitar más esfuerzos en investigación, recursos y atención multidisciplinar al paciente.

Durante la jornada, los expertos y profesionales trataron la **investigación y acceso** a los medicamentos huérfanos, la **visibilidad** de las enfermedades raras, la **atención psico-social** y los **cuidados paliativos**.



Jornada: ¿Cómo va a afectar a los medicamentos huérfanos la Estrategia Farmacéutica Europea?

(11/09/2023)

Beatriz Perales, secretaria de AELMHU, intervino en la jornada de reflexión *¿Cómo va a afectar a los medicamentos huérfanos la Estrategia Farmacéutica Europea?*

Organizada por BioInnova Consulting, la secretaria de la Asociación manifestó sus **inquietudes** sobre de la **propuesta de la Comisión Europea** que, en su opinión, no favorece la innovación ni la competitividad de la industria farmacéutica. Hizo hincapié en la gestión de la incertidumbre como un factor crucial para atraer la inversión de las compañías en España y destacó los plazos como el principal desafío del nuevo marco regulatorio europeo.

Asimismo, puso de relieve la **importancia de definir** claramente las **necesidades médicas no cubiertas** dentro de la regulación del periodo de protección de datos.



Cursos de Verano de la Universidad de Castilla La Mancha (20/09/2023)



Un año más, la Asociación participó en el curso de verano organizado por la Universidad de Castilla–La Mancha con la colaboración de la Fundación Weber. Este año **Marian Corral** representó a la Asociación en la mesa *Estrategias europeas, nacionales y regionales: hacia un sistema equitativo y sostenible*. La directora destacó los cambios que afectan a los medicamentos huérfanos y coincidió en la necesidad de entablar un diálogo y llegar a acuerdos que incluyan a todos los actores implicados, en un acto que contó con la participación del Ministerio de Sanidad y de la Comunidad de Madrid. La directora estuvo acompañada por Cristina González del Yerro Valdes, subdirectora General de Cartera de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Fondos de Compensación de la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia; Carolina Rodríguez Gay, jefa de área de Información y Atención al paciente; María Ángeles Gómez Mateos, Subdirección General de Humanización de la Asistencia, Bioética e Información y Atención al Paciente de la Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid y Roberto Saldaña, representante de la Academia Europea de Pacientes (EUPATI).

IV Simposio del Observatorio de la Sanidad (03/10/2023)

El IV Simposio del Observatorio de la Sanidad, organizado por El Español e Invertía contó con la participación de destacados líderes del sector sanitario y representantes gubernamentales. En la mesa redonda sobre las necesidades y aportaciones de la industria farmacéutica, AELMHU estuvo representada por su **presidenta, María José Sánchez**, quien destacó los **desafíos en el acceso** a medicamentos huérfanos en España y la necesidad de **acelerar su aprobación** para beneficiar a los pacientes.

El evento abordó los retos más urgentes del Sistema Nacional de Salud, incluidos la financiación de las innovaciones de la industria y la digitalización del sector.



Congreso Retina Murcia (06/10/2023)

Marian Corral representó a la Asociación en el Congreso *Retina Murcia*, dentro de la mesa “*Orphanet y los medicamentos huérfanos*”. La directora ofreció una visión detallada de la situación actual de estas enfermedades, incluyendo datos sobre su **impacto en la sociedad** y los **desafíos** que enfrentan quienes las padecen. El enfoque se centró en los medicamentos huérfanos, su relevancia en la industria farmacéutica y la investigación en curso. Se profundizó en el proceso de aprobación y comercialización de estos medicamentos, así como en los retos asociados al acceso a ellos y la regulación que los rodea.

Para concluir, AELMHU identificó los principales **desafíos y necesidades del sistema sanitario español** en relación con las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, proporcionando una visión integral de la situación y las áreas de mejora. El Congreso impulsó las mejores prácticas profesionales disponibles que relacionan el diagnóstico, el tratamiento de los defectos y las enfermedades del aparato de la visión, con el conocimiento y la visión que los propios pacientes y las entidades de pacientes pudieran ofrecer al respecto.



XVI Congreso Internacional de Enfermedades Raras (25/10/2023)

Marian Corral, en representación de AELMHU, participó en el XVI Congreso Internacional sobre Enfermedades Raras, que organizan la Universidad Católica de Murcia y la Asociación D'Genes.

El evento reunió a las asociaciones de pacientes, los investigadores y a distintos representantes de la administración pública. La directora resaltó el **avance** registrado en la **investigación de enfermedades raras** en España como resultado del aumento del número de ensayos clínicos autorizados en nuestro país y manifestó la importancia de aprovechar esta oportunidad para mejorar la eficiencia y el atractivo del país en la investigación de enfermedades raras.



Asociación Conquistando Escalones (27/10/2023)

La Asociación Conquistando Escalones organizó el Congreso Vila-real por la ciencia y la innovación: la investigación como cura para millones, junto con el Ayuntamiento de Vila-real, en el Auditori Municipal.

El evento abordó la investigación clínica en enfermedades neuromusculares, la terapia génica y el acceso a medicamentos huérfanos.

Por parte de AELMHU, **Marian Corral** destacó la necesidad de introducir **cambios en la evaluación y financiación** de medicamentos para mejorar el acceso temprano a los tratamientos.

José Alcamí, Juan Vílchez, Rubén Artero o María Jesús Vicent participaron, entre otros expertos reconocidos y figuras destacadas fuera del ámbito sanitario, como el atleta Álex Roca y el exentrenador de fútbol Juan Carlos Unzué.





Evento de Enfermedades Raras en el Congreso de los Diputados (20/11/2023)

María José Sánchez, presidenta de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), trasladó en este acto organizado por FEDER *Hacia un plan europeo integral de las enfermedades raras: la participación de España*, la perspectiva y situación de estos tratamientos en nuestro país. David Sánchez, portavoz de la Vocalía de Acción Internacional de FEDER, completó esta visión haciendo hincapié en la necesidad de ampliar y adaptar la participación efectiva de los pacientes en todos los procesos que les afectan. El encuentro, inaugurado por la presidenta del Congreso de los Diputados, Francina Armengol, es el resultado de la alianza de FEDER con EURORDIS y RPP Group, junto con Farmaindustria y AELMHU.

Encuentro médico-científico sobre EE.RR. (21/11/2023)

AELMHU, representada por la **directora Marian Corral**, clausuró la jornada *El futuro del acceso a los medicamentos huérfanos: humanizando las enfermedades raras*, que se celebró en la Sede Central del Instituto Cervantes de Madrid.

Coordinado por la Fundación Teófilo Hernando, el evento exploró el **acceso a los tratamientos** para enfermedades poco frecuentes y su **impacto humano**. La directora de AELMHU resaltó el momento normativo crucial que atraviesa el sector farmacéutico y la importancia del trabajo conjunto para beneficiar a los pacientes con nuevos tratamientos.

Expertos como Marta Trapero, Gloria Palomo y Antoni Gilabert analizaron el futuro del acceso a medicamentos huérfanos, mientras que Mónica Rodríguez, Julio Zarco Rodríguez y Concepción Martínez discutieron otros aspectos relevantes en el encuentro.



Congreso de Enfermedades Raras en Elche (14/12/2023)

Elche acogió en 2023 el II Congreso de Enfermedades Raras para debatir y formar a la comunidad sanitaria y educativa. Las ponencias se enfocaron en la necesidad de formar a docentes y sanitarios, con el fin de adquirir un mayor conocimiento y sensibilización para alcanzar una sociedad más inclusiva y justa

La **directora** de AELMHU, **Marian Corral** abordó la situación de los medicamentos y ensayos clínicos en España, destacando un **incremento constante en la investigación** de enfermedades raras y medicamentos huérfanos.

Basándose en datos del Informe Anual de Acceso, destacó la necesidad de definir un **modelo específico para evaluar y financiar** medicamentos huérfanos, de modo que simplifique los procesos y ofrezca certidumbre, agilidad y transparencia en los procesos. Compartió las propuestas de la Asociación remitidas al Ministerio de Sanidad sobre un nuevo modelo de acceso temprano para los tratamientos que permita una colaboración ágil, la participación de pacientes y clínicos, así como la financiación en base a resultados elementos todos ellos cruciales para mejorar la disponibilidad de medicamentos vitales.

Los expertos coincidieron en la importancia de enfocarse en mejorar la empatía social mediante el conocimiento y la difusión de información, bajo el lema *Juntos Sumaremos*.

El Congreso hizo un llamamiento a la necesidad de ofrecer apoyo y ayudas a las familias cuyos hijos son diagnosticados de una enfermedad poco común, tanto en los procesos burocráticos o médicos, como en el día a día del tratamiento.



Otros eventos con participación de AELMHU

- Máster Universidad Camilo José Cela.
- Enfermedades Raras, organizado por Canal Sanitario.
- Talento en Enfermedades Raras, organizado por Hays.
- Hemoglobinopatías en España, organizado por Vertex Pharmaceuticals.
- Máster en Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos.



6.2 OTROS EVENTOS del SECTOR

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos reforzó su presencia en los eventos y encuentros relevantes sobre enfermedades raras con una **participación en 25 actos** en 2023.

La presencia activa de la Asociación en estos actos es una prueba del compromiso y el apoyo ofrecido a los pacientes afectados por enfermedades raras y ultrarraras. AELMHU asistió también a distintos encuentros con expertos y autoridades sanitarias para conocer los desarrollos legislativos que están marcando la agenda del sector.

La Junta Directiva y la Dirección de AELMHU estuvieron presentes en los siguientes eventos durante los primeros meses de 2023: el **Observatorio Legislativo, organizado por Alexion** el 31 de enero; la *Estrategia Farmacéutica Europea*, organizado por Diariofarma el 6 de febrero; *Abordaje y tratamiento de la hemofilia*, organizado por Sobi el 21 de febrero; *Jornada en el Congreso de los Diputados sobre Epilepsia*, organizada por la Federación Española de Epilepsia el 30 de marzo; y campañas con motivo del Día Mundial de las Enfermedades Raras (22 y 29 de febrero, 15 y 16 de marzo).





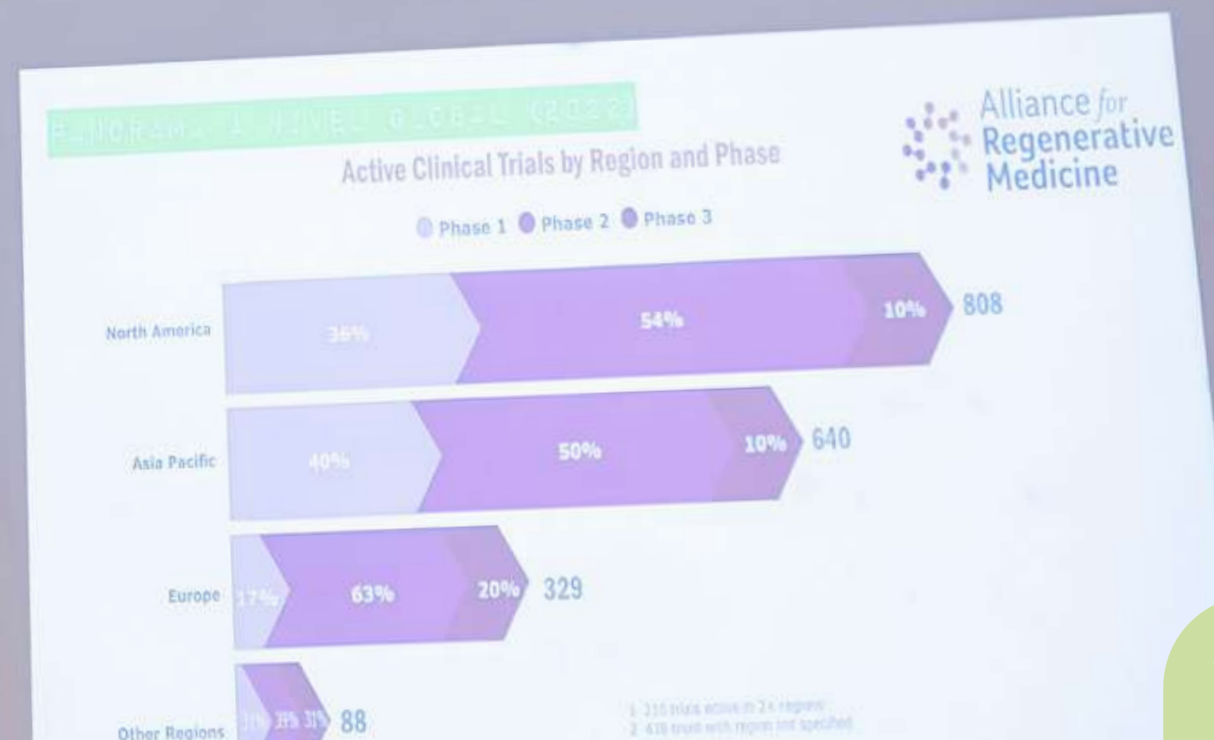


En el mes de mayo la directora de AELMHU, Marian Corral, asistió a un evento organizado por Bioinnova sobre la legislación europea de los medicamentos huérfanos. También participó en varios encuentros *online*: como el Seminario FUNCAS, celebrado el 31 de mayo; un evento sobre Ensayos Clínicos organizado por la Plataforma de Organizaciones de Pacientes el 14 de junio; y el *Encuentro de Expertos en Enfermedades Raras*, que tuvo lugar el 15 de junio.

A lo largo de junio y julio, la Asociación participó en un desayuno con César Hernández, organizado por Executive Forum el 20 de junio; un evento organizado por el Despacho Faus & Moliner en Madrid el 29 de junio; y en la Jornada Post ISPOR 2023, organizada por ISPOR Spain Chapter y Diariofarma el 7 de julio, bajo el título *Prioridades en evaluación y financiación de medicamentos y productos sanitarios en España*.



AELMHU también estuvo representada durante el mes de septiembre en los cursos de verano de la UIMP de Santander y de la Universidad de Castilla-La Mancha, centrados en las nuevas estrategias y tendencias en el manejo de enfermedades raras, así como en el *Primer Curso Nacional de Terapia Génica para Enfermedades Raras*, celebrado entre el 22 y el 23 de septiembre.





A finales del mes de septiembre, Marian Corral, en representación de AELMHU, también asistió a distintos congresos: el VII Congreso de la Plataforma de Organizaciones de Pacientes, celebrado el 29 de septiembre, y el III Congreso de la Asociación ASMD, el 30 de septiembre.





Entre el 10 y el 11 de octubre, se organizó en Bilbao una conferencia sobre *Enfermedades raras y las Redes Europeas de Referencia*, que contó con la presencia de Marian Corral. A finales del mismo mes, *Executive Forum* organizó un Desayuno Informativo con el consejero de Salud de Cantabria, César Pascual, el 18 de octubre, donde también estuvo representada la Asociación.



Por último, la directora de AELMHU asistió a tres eventos en la Comunidad de Madrid en noviembre: el 20 Aniversario Federación ASEM (el 17 de noviembre), los Premios ASEDEF (27 de noviembre) y la *jornada organizada por Biogen sobre Esclerosis múltiple* (29 de noviembre). Además, José Luis Moreno, vicepresidente de AELMHU, participó en la presentación del nuevo Reglamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, en un evento organizado por la Comisión Europea en Sevilla, el 22 de noviembre.



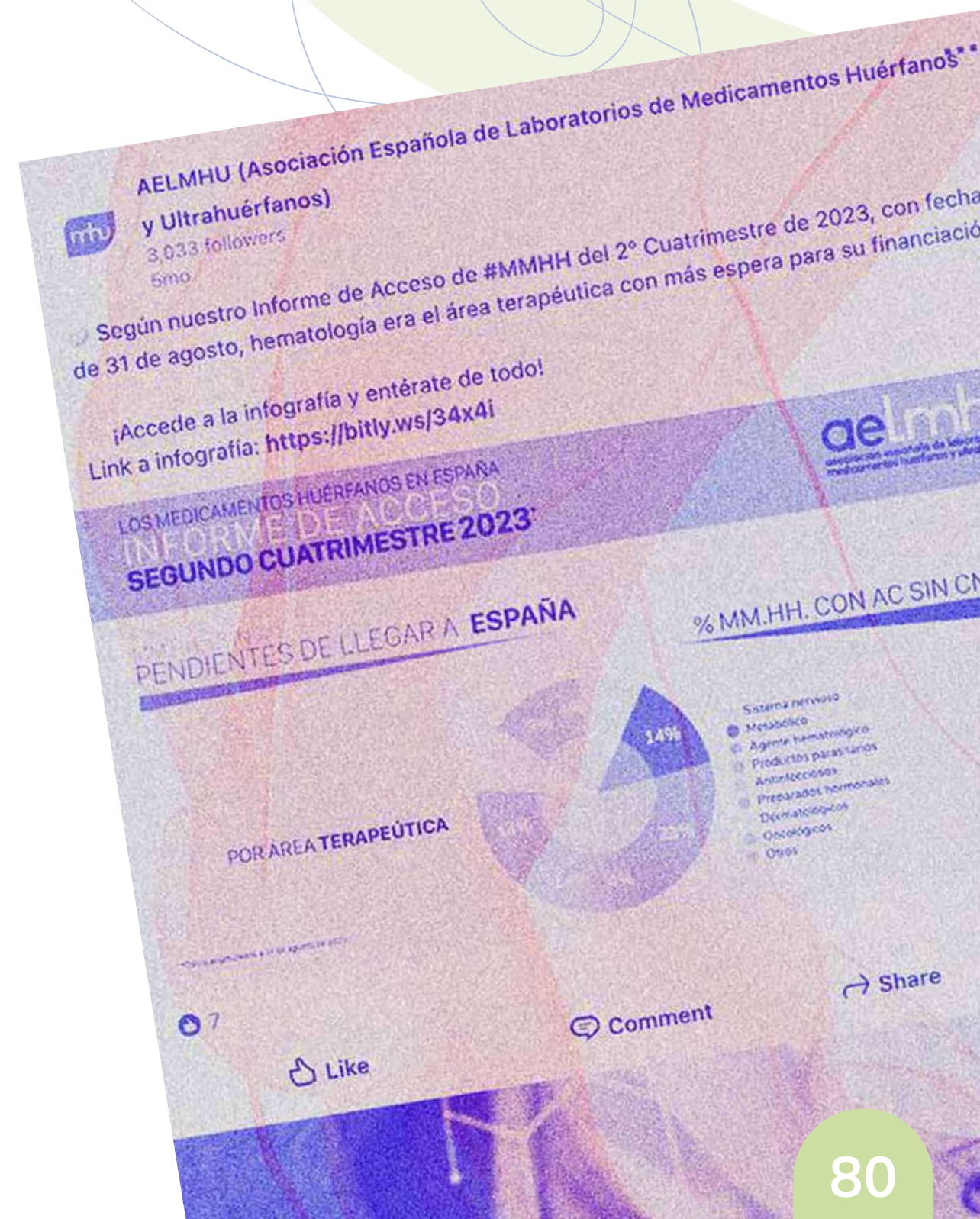
7. Comunicación

La comunicación sigue siendo una **pieza fundamental** en la interacción con el resto de los agentes del sector. Desde la Asociación se ha continuado con las iniciativas de elaboración de contenidos que contribuyan a dar a conocer nuestro compromiso con la investigación, el desarrollo e impulso en la comercialización de terapias innovadoras que mejoren la vida de pacientes y familiares.

Esta estrategia de generar una **información periódica de alto valor añadido** nos ha permitido reforzar la confianza de los principales interlocutores del sector y seguir siendo una referencia informativa y formativa consistente para los medios de comunicación, en un entorno marcado por la creciente complejidad, la volatilidad y la desinformación.

Durante el año 2023, AELMHU ha mantenido un perfil alto de comunicación a través de la difusión de comunicados de prensa, la presencia activa en las redes sociales o la actualización de los contenidos de la página web.

Igualmente, los portavoces de la Asociación han mostrado **una actitud abierta y proactiva en sus relaciones con los medios** para atender los distintos requerimientos informativos, lo que ha servido para ganar en cercanía con la sociedad.



7.1 AELMHU en los MEDIOS de COMUNICACIÓN

A lo largo de este año, gracias al lanzamiento de distintas notas de prensa, la distribución de los informes, eventos en los que AELMHU ha participado o asistido y a la proactividad de los medios en hablar sobre los temas que impactan directamente, se han logrado un **total de 229 impactos**, repartidos entre medios generalistas y especializados.

Desde la Asociación se han lanzado **cuatro notas de prensa** que, en un contexto mediático que no favorece la publicación de este tipo de contenidos, han tenido buena acogida.

- — **Presentación del Informe Anual de Acceso:** la publicación de los resultados se realizó en dos impactos, lo que multiplicó la acogida de la nota de prensa.
- — **Informe de Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras.**
- — **Ceremonia de entrega de Premios AELMHU 2023.**



AELMHU ha aparecido en **más de 100 medios distintos**, tanto a nivel nacional como regional, predominando sobre todo el formato digital. Por tipo de medios, **predomina el entorno generalista**, con impactos en El Mundo, Cadena SER o La Razón; los **medios especializados en salud abarcan el 47%**, con impactos en Consalud, Redacción Médica o Diariofarma, entre otros. También se han generado impactos en medios económicos y agencias de noticias como EFE o Servimedia.

Aunque el sector de la comunicación se ha vuelto complejo y cada vez es más necesario reforzar la confianza de los lectores, **AELMHU sigue generando interés** en los medios a distintos niveles, lo que indica que la sociedad percibe a la Asociación como un buen interlocutor, experto en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.



elEconomista.es
Y COTIZACIONES IBEX 35 M.CONTIN
Salud
medicamentos para patol
an casi tres años en comer
España tras el sí de la A
ad financia el 43% de los fármacos huérfanos

Salud
El acceso a los medicamentos huérfanos en España: 49 fármacos sin financiar y 26 meses de espera

El último informe de la patronal de estos fármacos (Aelmhu) muestra cómo el avance en la disponibilidad de estas terapias en nuestro país es todavía lenta



Eduardo Parra / Europa Press

Sanidad explora nuevas fórmulas de acceso al SNS para fármacos huérfanos
El Ministerio no descarta crear un fondo estatal para centralizar la compra de estos medicamentos



Exteriores del Ministerio de Sanidad.

6 mar. 2023 13:20H
JOANA HUERTAS
Ministerio de Sanidad

Te puede interesar



María Torcado, presidenta del Colegio de Farmacéuticos de Ávila

diariofarma
POLÍTICA PROFESIÓN TERAPÉUTICA GESTIÓN OPINIÓN FARMACIA ASISTENCIAL FARMACIA HOSPITALARIA

Gestión

Julio Sánchez Fierro, a título póstumo, y Ángel Carracedo, premios Aelmhu 2023

Dos proyectos, uno de la Asociación Duchenne Parent Project España y otro de Dravet Syndrome Foundation España, han completado las cuatro categorías de este año

diariofarma
POLÍTICA PROFESIÓN TERAPÉUTICA GESTIÓN OPINIÓN FARMACIA ASISTENCIAL FARMACIA HOSPITALARIA

Gestión

El acceso a medicamentos huérfanos en España mejora, pero aún se sitúa lejos de la media europea

El Segundo informe cuatrimestral de acceso a los medicamentos huérfanos en 2023 de Aelmhu indica que siguen sin financiarse 49 medicamentos aprobados por la EMA y la espera media supera los dos años

redacción médica

4 dic. 2023 16:30H
POR LAURA CAMACHO
TAGS > INDUSTRIA FARMACÉUTICA

SE LEE EN 4 MINUTOS

iSanidad
PROFESIONALES ACTUALIDAD ANÁLISIS ENTIDADES PÚBLICAS Y

MEDICAMENTOS

España tarda tres años en financiar un medicamento huérfano, según el Informe Anual de Acceso de Aelmhu

En 2022, el tiempo medio desde el Código Nacional hasta la financiación pública de los medicamentos huérfanos es de 34 meses

29 de enero de 2023

Redacción
La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (Aelmhu) ha denunciado, en su Informe Anual de Acceso, que

HOME > PACIENTES

Uno de cada cuatro ensayos clínicos en España fue dedicado a las enfermedades raras en 2022

El Informe Anual sobre Ensayos Clínicos en España realizado por la AELMHU ha revelado que uno de cada cuatro ensayos clínicos autorizados en España en 2022 fue dedicado a enfermedades raras

7.2 ENTREVISTAS

Durante 2023, AELMHU continuó proyectando el trabajo del sector a través de los medios de comunicación, con un total de **19 entrevistas registradas**.

Entre las contribuciones más destacadas, se incluyen apariciones en medios de ámbito nacional, como la publicación de una entrevista en la agencia de noticias EFE y la registrada en el diario digital El Español.

Asimismo, nuestra presencia se ha consolidado en diversos diarios especializados, entre los que se encuentran Redacción Médica e IM Médico, con múltiples menciones, además de apariciones periódicas en Diariofarma, Diario Médico o Consalud, entre otros.



el Periódico de España

SANIDAD PÚBLICA

Enfermedades raras en España: 60 medicamentos huérfanos no tienen financiación

A 31 de diciembre de 2022, España contaba con 123 medicamentos huérfanos con Código Nacional y 63 financiados, que significa que 60 productos huérfanos siguen pendientes de financiación en nuestro país



Un bote de medicamentos.



Nieves Salinas

Madrid 13 FEB 2023 12:30

EFE:Salud

Noticias

Videoblogs

efe.com

Contacto

La reforma farmacéutica plantea desafíos para la innovación en enfermedades no cubiertas

La propuesta de reforma farmacéutica de la Comisión Europea podría hacer mella en la innovación para tratar enfermedades raras o no cubiertas en Europa, según representantes de la industria y asociaciones de pacientes consultadas por EFE, que piden mantener los incentivos actuales y encontrar otras fórmulas para combatir los problemas de acceso a fármacos.



SALUD

El acceso a los medicamentos huérfanos en España: 49 fármacos sin financiar y 26 meses de espera

El último informe de la patronal de estos fármacos (Aelmhu) muestra cómo el avance en la disponibilidad de estas terapias en nuestro país es todavía lenta

Adaptación de vivienda locales y elementos comunes para personas con discapacidad y enfermedades raras



Parra / Europa Press

frases parecen haber mejorado en los últimos años, pero aún lejos de ser las deseadas. El acceso a los medicamentos huérfanos en España sigue siendo lento, una situación que, pese a considerarse prioritaria, no ha mejorado.

con analizar los datos del último informe de la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos (Aelmhu).

redacción médica

¿Sumar al paciente a la regulación pharma?: "Es el impulsor del progreso"

Aelmhu defiende la inclusión de este agente, pues es el "principal motivador" de esta reforma.



SE LEE EN 4 MINUTOS

4 dic. 2023 16:30H

POR LAURA CAMACHO

TAGS INDUSTRIA FARMACÉUTICA

COMISIÓN EUROPEA

los que conocen de primera mano sus patologías y cómo se sienten. Una voz que cada vez coge más fuerza.

7.3 DIGITAL

La Asociación ha consolidado su **presencia** en las distintas plataformas de **redes sociales**, segmentando y adaptando sus contenidos a los distintos públicos. Desde que inició su incursión en Twitter en 2017 y en LinkedIn en 2019, ha mostrado su disposición a difundir contenidos de valor propio relacionados con su ámbito de actuación, ganando así un espacio de relevancia en el ámbito de la comunicación digital.

Este logro ha sido posible gracias a una estrategia enfocada en la expansión y difusión de información de calidad, así como a la modernización en la manera de compartir contenidos, adaptándose a las nuevas tendencias informativas y haciendo más atractiva su propuesta para los usuarios.

El objetivo primordial de AELMHU no es otro que seguir **incrementando su visibilidad y notoriedad** entre las compañías y expertos con los que interactúa la Asociación, con el fomento del diálogo con los distintos grupos de interés. De esta forma, se busca promover conversaciones relevantes tanto para las sociedades científicas como para la sociedad en general.



AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medicamento...)
3.037 seguidores
6 meses • Editado •

La Federación Española de Enfermedades Raras (**FEDER ONG**), acompañada y apoyada por asociaciones de pacientes, empresas y asociaciones de la industria farmacéutica y representantes de diferentes partidos políticos insta a Esp ...ver más



AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medicamento...)
3.037 seguidores
7 meses •

Desde AELMHU consideramos que la Reforma de la **#LegislaciónFarmacéuticaEuropea** es una buena ocasión para posicionar al paciente en el centro de la toma de decisiones así como para apostar por la investigación en **#MMHH**

#UE European Commission

Amplia la información sobre la reforma: <https://ow.ly/GVig50PPwTP>



AELMHU
@aelmhu

¡Calentando motores! En breves momentos dará comienzo la gala de entrega de los **#PremiosAELMHU2023** para reconocer la labor de profesionales y organizaciones y distinguir a los mejores proyectos asistenciales, de divulgación y sensibilización sobre las patologías minoritarias. ¡No te lo puedes perder!



AELMHU
@aelmhu

Ayer tuvo lugar la ceremonia de entrega de los Premios AELMHU

Un evento en el que de nuevo queda patente el esfuerzo, el compromiso y la involucración de asociaciones, investigadores, clínicos, instituciones e industria farmacéutica con las **#enfermedadesraras**

Enhorabuena a todos los proyectos y trayectorias premiadas y muchas gracias a todas las personas que han hecho posible esta edición de los premios.

#VEdiciónPremiosAELMHU

¡Entérate de todo! shre.ink/U2cl



AELMHU
@aelmhu

Hoy celebramos el Día Europeo de los D... desde AELMHU queremos concienciar s... para mejorar la vida de los pacientes co...

Descubre más sobre el **#DíaEuropeode** bit.ly/41eBZbM



AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Me...
3.037 seguidores
7 meses •

Según nuestro Informe de Acceso de **#MMHH** del 2º Cuatrimestre fecha 31 de agosto de 2023, el 52% de los **#MMHH** con autorización encontraban financiados por el **#SNS**.

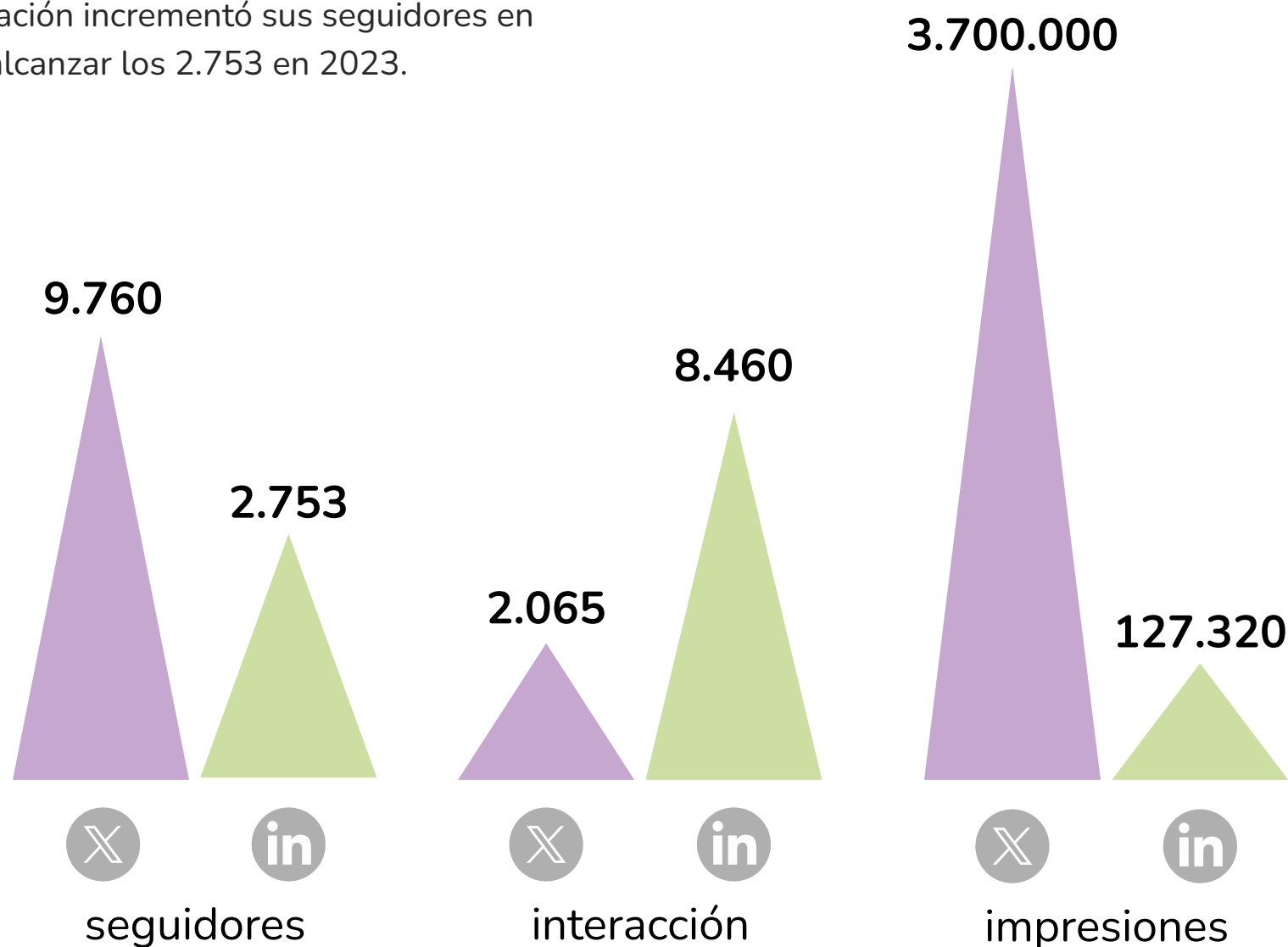
¡Accede a la infografía y entérate de todo!

Link a infografía: <https://bit.ly/3PL3FR8>



AELMHU logró elevar hasta los 9.760 su cifra de seguidores en **X** en 2023, un 18% más respecto al año anterior. La cifra de impresiones de tuits pasó de 3,5M impresiones a 3,7M en 2023.

Este crecimiento se vio también reflejado en **LinkedIn**, canal donde la Asociación incrementó sus seguidores en 792, un 40%, hasta alcanzar los 2.753 en 2023.



8. Agradecimientos

Todo nuestro trabajo no habría sido posible sin el **respaldo, compromiso y dedicación de nuestros asociados**, cuya colaboración e impulso son fundamentales para lograr los objetivos que nos hemos marcado.



¡Muchas gracias!
por vuestro apoyo e involucración

Igualmente, queremos expresar nuestra más profunda **gratitud a todas las entidades, personalidades e instituciones** que han colaborado y sumado esfuerzos con nosotros para contribuir a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras, conseguir dar visibilidad y acercar los tratamientos a los pacientes que los necesitan. Nos gustaría hacer una **mención especial a la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)**, que representa y encarna la voz de los pacientes, nuestra auténtica razón de ser.



¡Muchas gracias!
por vuestro apoyo e involucración

Memoria
ANUAL
2023
aelmhu