



Artículos seleccionados

- Zamora B, Maignen F, O'Neill P, Mestre-Ferrándiz J, Garau M. Comparing access to orphan medicinal products in Europe. *Orphanet J Rare Dis.* 2019; 14(1): 95. [DOI: 10.1186/s13023-019-1078-5].

Comparing access to orphan medicinal products in Europe

La autorización de comercialización es sólo un primer paso en un proceso en el que las decisiones de financiación dependen de los criterios específicos de cada país; la heterogeneidad de criterios determina un cumplimiento parcial del objetivo de igualdad de acceso para todos los europeos.

Este estudio compara el acceso y la disponibilidad de los medicamentos huérfanos en los cinco mercados más importantes de la actual Unión Europea (UE): Reino Unido, Francia, Alemania, Italia y España. Según se define en el propio artículo, «disponibilidad» es el término empleado para hablar de la posibilidad de prescribir los fármacos, mientras que «acceso» hace referencia a la financiación total o parcial de los medicamentos por el correspondiente servicio de salud pública. También se plantea como objetivo adicional de este análisis la comparación de los tiempos de acceso a los medicamentos huérfanos en los países seleccionados; para ello, se contabilizan los meses transcurridos entre la autorización de comercialización y la publicación de las recomendaciones de financiación en cada país.

Los autores son investigadores de la Office of Health Economics (ohe.org), una entidad sin ánimo de lucro afincada en Londres y dedicada a la investigación y provisión de servicios de consultoría en farmacoeconomía, entendiéndose por tal la aplicación de la teoría, los modelos y las técnicas empíricas de la economía al análisis de los procesos utilizados por las autoridades sanitarias y los gobiernos para tomar decisiones sobre salud pública y política sanitaria.

Para este análisis, se han recogido datos de autorizaciones de comercialización, evaluaciones de tecnologías sanitarias y resoluciones de financiación, así como las fechas en que se hicieron públicas las decisiones resultantes, en relación con todos los medicamentos huérfanos introducidos en la UE mediante el proceso de autorización centralizada. El periodo de análisis se extiende desde que en el año 2000 se implementó el Reglamento 141/2000 sobre medicamentos huérfanos hasta junio de 2016. Las fuentes de las que se obtuvieron estos datos fueron la Agencia Europea del Medicamento y las páginas web de la Dirección General de Sanidad y Salud Alimentaria de la UE.

En el periodo de análisis, la Comisión Europea aprobó la designación de 1.360 fármacos como medicamentos huérfanos, de los cuales 143 (10,5%) obtuvieron la autorización de comercialización. Tanto la designación como la autorización de comercialización por el procedimiento centralizado han experimentado un aumento constante cada año durante el periodo de estudio.

Los autores afirman que persiste una considerable variabilidad en cuanto a la disponibilidad y el acceso a los medicamentos huérfanos en los países de la UE: los países con una mayor tasa de acceso son Francia y Alemania, mientras que en Inglaterra, Italia, Escocia, España y País de Gales se financian entre el 30 y el 60% de los medicamentos huérfanos autorizados. En Alemania, los medicamentos huérfanos obtienen la financiación de forma inmediata debido a que el sistema germano, con sus dos niveles administrativos, prioriza el acceso frente a la negociación del precio. El periodo más corto comprendido entre la autorización de comercialización y la decisión de financiación se da en Francia y en Italia (con una media de 19 meses) y el más largo corresponde a Inglaterra y País de Gales (28,5 meses). España ocupa una posición intermedia (23 meses).

El artículo concluye recomendando la obtención de más datos fiables sobre el uso de los medicamentos huérfanos en la práctica clínica y la evaluación del impacto que las políticas nacionales tienen en el acceso a los mismos.

Puntos clave

- La igualdad en la disponibilidad y el acceso a los medicamentos huérfanos para todos los pacientes de la UE es un objetivo parcialmente cumplido, pero con importantes diferencias entre los países incluidos en el estudio.
- Más de la mitad de los medicamentos huérfanos autorizados de forma centralizada están disponibles en los países seleccionados, pero el acceso está sujeto a restricciones derivadas de las diversas normativas nacionales.