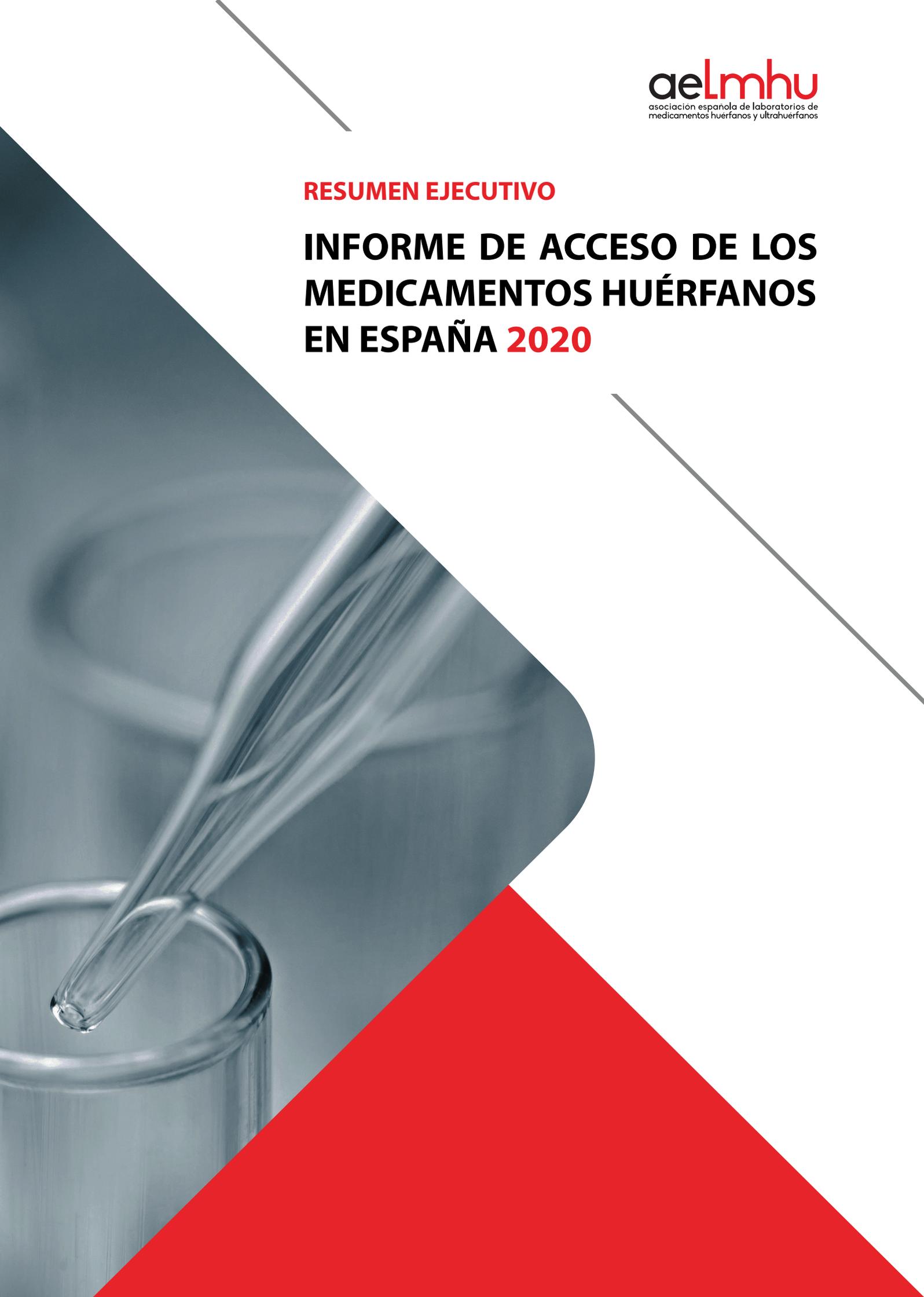


RESUMEN EJECUTIVO

**INFORME DE ACCESO DE LOS
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS
EN ESPAÑA 2020**



ÍNDICE

- 01 EL INFORME DE ACCESO AELMHU**
- 02 METODOLOGÍA DEL INFORME**
- 03 PANORAMA DE LOS MM.HH. EN LA UE Y EN ESPAÑA**
- 04 EL ACCESO A LOS MM.HH. EN NUESTRO PAÍS**
- 05 LOS TIEMPOS DE ACCESO**
- 06 VALORACIÓN AELMHU DE LOS DATOS DEL INFORME**
- 07 BIBLIOGRAFÍA Y ACRÓNIMOS**

1. EL INFORME DE ACCESO AELMHU

Un año más, la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) hace públicas las principales conclusiones de su Informe de Análisis del Acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España.

El estudio, que ya se ha convertido en una referencia en nuestro país, ofrece un análisis comparativo anual del estado de los productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, por sus siglas en inglés), vigente a fecha 31 de diciembre de 2020. También evalúa el procedimiento seguido por esos medicamentos al llegar a España, desde la asignación de código nacional (CN) por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), hasta su financiación pública, durante el último año.

Con este análisis, la Asociación quiere generar elementos e indicadores de referencia para evaluar el proceso de aprobación y financiación en su conjunto y contribuir así al objetivo común de mejorar y agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica para todos los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.) en España.

AELMHU es una organización sin ánimo de lucro que desde hace una década agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un decidido compromiso por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras.

Actualmente los miembros de AELMHU son: Alexion Pharmaceuticals, Alnylam, AMRYT Pharma, Novartis Gene Therapies, Biogen, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, GW Pharmaceuticals, Intercept, Ipsen, Kyowa Kirin, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases Spain, Sanofi Genzyme, SOBI Swedish Orphan Biovitrum, Takeda, Ultragenyx y Vertex.

La misión de la asociación es contribuir a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social que los medicamentos huérfanos tienen en su vida diaria y la de sus familias.

Este resumen ejecutivo, elaborado por Lasker, a petición de AELMHU, analiza los principales indicadores de acceso de los MM.HH. en la Unión Europea (UE) y en España, y los pone a disposición de todos los interesados -asociaciones de pacientes, administraciones públicas, personal sanitario, comunidad científica y sociedad civil- a fin de que puedan evaluar la disponibilidad de estos tratamientos en nuestro país.

2. METODOLOGÍA

El Informe de Acceso a los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España 2020 ha sido elaborado por Bioinnova Consulting de acuerdo con la siguiente metodología de trabajo:

- 1 De los más de 2.000 principios activos con designación huérfana por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP) de la EMA, se han identificado aquellos principios activos que tienen vigente la designación huérfana a fecha 31 de diciembre de 2020 (aprox. 1.700) y aquellos que tienen nombre comercial (más de 200). Dentro de esos más de 200 hay MM.HH. duplicados por tener varias indicaciones, quitando las duplicidades se obtienen 165 MM.HH.
- 2 Después, se han analizado cuáles de estos medicamentos han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la UE (n=49). Como resultado, se obtiene el número de medicamentos que pueden estar accesibles a partir del 31 de diciembre de 2020 en países europeos para su comercialización (n=116).
- 3 El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos medicamentos con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en Europa, tienen autorización de Código Nacional por parte de la AEMPS para su comercialización en España (n=99).
- 4 A continuación se identificaron aquellos medicamentos huérfanos comercializados que tienen autorizada su comercialización a 31 de diciembre de 2020 según la información recogida en el Centro de información online de medicamentos de la AEMPS: CIMA (n=51).
- 5 De la Base de Datos de Medicamentos del Consejo General de Colegios Farmacéuticos (Bot PLUS) se obtuvo la fecha de comercialización de los medicamentos huérfanos comercializados (no disponible para 5 medicamentos huérfanos).
- 6 Por último, de estos medicamentos huérfanos con autorización de comercialización por la AEMPS se ha identificado cuáles y desde cuando están financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS) según la información recogida en el Nomenclátor del Ministerio de Sanidad (n=45). Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

3. PANORAMA DE LOS MM.HH. EN UE Y ESPAÑA

Los medicamentos huérfanos son medicamentos innovadores, muchos de ellos de origen biotecnológico, destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar enfermedades raras o poco frecuentes que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas y carecen de tratamiento alternativo.

Se estima que existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes en el mundo y sólo un porcentaje muy bajo de ellas (alrededor del 5%) dispone en la actualidad de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento. Según la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) en España hay más de 3 millones de personas afectadas por este tipo de patología.

Desde el año 2000, con el objetivo de mejorar su bajo conocimiento científico e impulsar la investigación en el campo de las enfermedades raras, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaron el Reglamento 141/2000, que establece que «los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes» y establece incentivos para promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos por parte de la industria farmacéutica.

Desde entonces, la legislación impulsada en la UE y en España ha buscado sentar las bases para facilitar el desarrollo y la puesta a disposición de estos medicamentos a los pacientes con patologías minoritarias. Sin embargo, todavía es necesario seguir profundizando en la equidad en el acceso a estos tratamientos que representan una oportunidad única para muchas personas que no han encontrado una alternativa terapéutica.

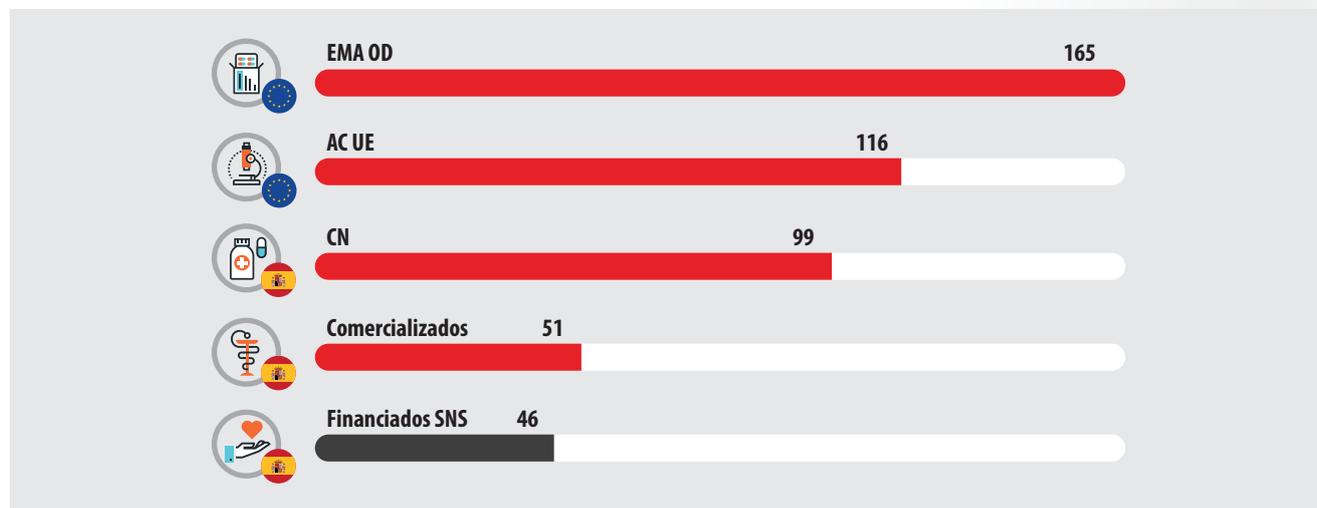
Afortunadamente, cada vez son más los laboratorios dispuestos a aportar innovaciones en este campo y el interés por los medicamentos huérfanos ha crecido de forma sostenida y estable en la UE a lo largo de los últimos veinte años.

Sólo en el año 2020, la Agencia Europea de Medicamentos aprobó **22 nuevas designaciones huérfanas positivas, un 73% más** que en 2019, la cifra más alta de nuevas designaciones de los últimos 5 años.

En total, **la UE cuenta con 165 productos** con nombre comercial y designación huérfana positiva en 2020, lo que supone un **14,5% más** que el año anterior y el máximo de la serie histórica.

Aumentan, también, las autorizaciones de comercialización comunitarias en el ámbito de los medicamentos huérfanos, con **18 nuevas autorizaciones que representan un incremento del 13%** en un sólo año, hasta sumar los 116 medicamentos huérfanos autorizados en todos los Estados miembro a cierre del 2020.

PRINCIPALES DATOS DE ACCESO DE LOS MM.HH. EN UE Y ESPAÑA 2020

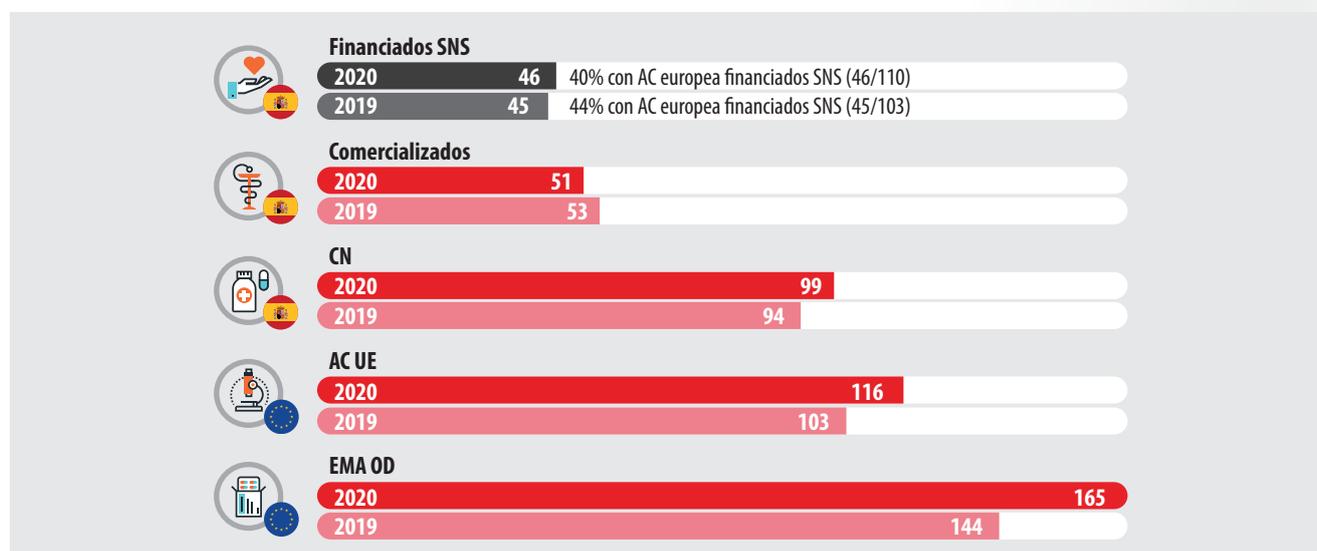


De los 116 medicamentos huérfanos que actualmente cuentan con autorización de comercialización en la UE:

- **99** han adquirido **Código Nacional** en España (el 85%)
- **51** disponen de autorización de **comercialización** en nuestro país (el 44%)
- y sólo **46** están **financiados** por el SNS (el 40%)

Mientras en Europa crece el interés por las terapias huérfanas, y la industria mantiene su apuesta decidida por la innovación en el campo de las enfermedades raras, **en España se ralentiza el acceso a la innovación para los pacientes en todos los ámbitos.**

COMPARATIVA DATOS DE ACCESO UE/ESPAÑA 2019-2020

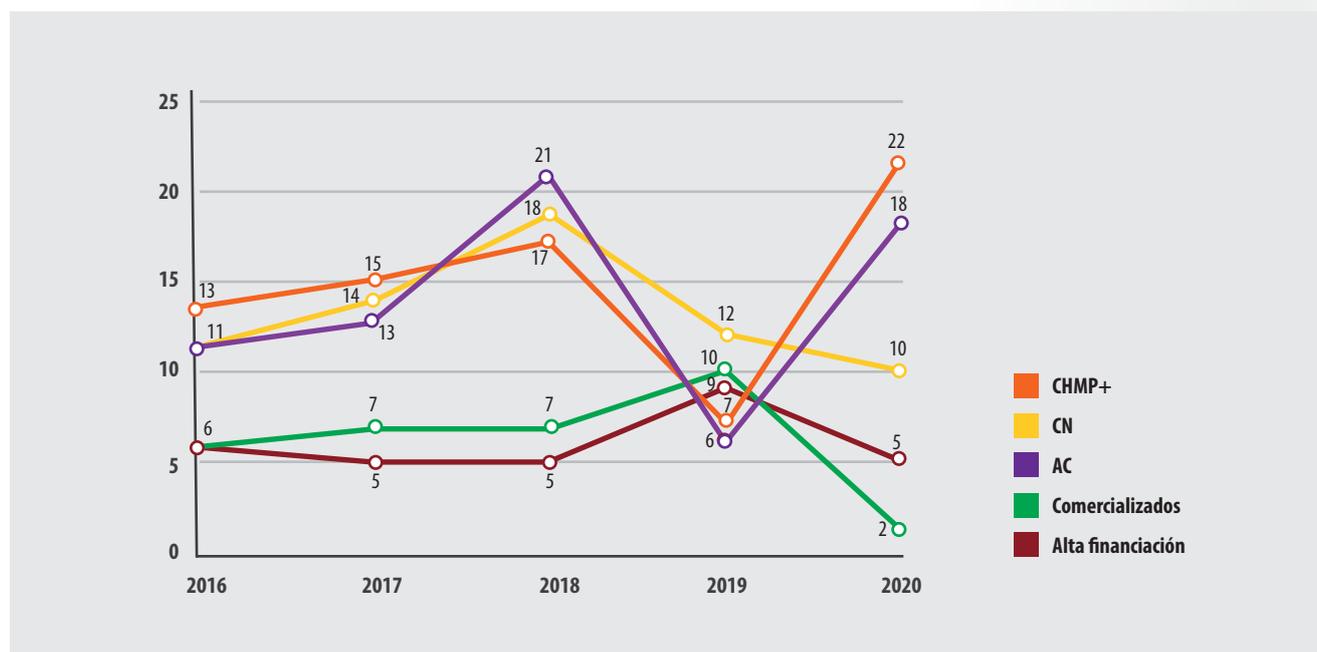


De la lectura del gráfico anterior podemos deducir que entre 2019 y 2020:

- **Han caído un 6% las solicitudes de Código Nacional** (del 91% de los autorizados en UE en 2019, al 85% este año)
- **Disminuyen un 7% las autorizaciones de comercialización nacionales** (del 51% de los autorizados en UE en 2019, al 44% en 2020)
- **Y también cae un 4% el número de nuevos medicamentos huérfanos financiados por el SNS** (desde el 44% de los autorizados en UE en 2019, al 40% en 2020)

Además, si analizamos el periodo 2016-2020, estamos ante los peores datos del último lustro. Como se puede observar en el siguiente gráfico, la proporción de nuevos medicamentos huérfanos financiados por cada nuevo medicamento comercializado en Europa ha caído un 20% en 5 años.

COMPARATIVA DATOS DE ACCESO 2016-2020 EN LA UE Y ESPAÑA

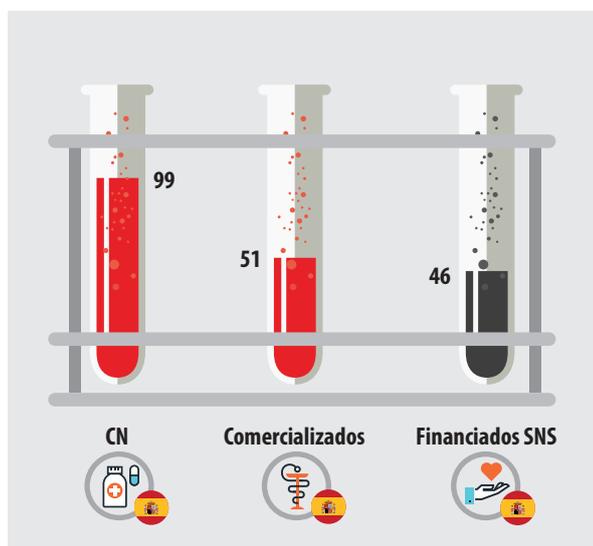


4. EL ACCESO A LOS MM.HH. EN NUESTRO PAÍS

Según los datos del informe de Análisis de Acceso 2020, la tendencia al alza que refleja la UE contrasta con los datos de acceso en España, que presentan un descenso considerable sobre todo en la financiación de nuevos tratamientos.

Como muestra el gráfico que se presenta a continuación, **sólo 46 medicamentos de los 99 que llegaron a nuestro país el año pasado han sido financiados por el SNS.**

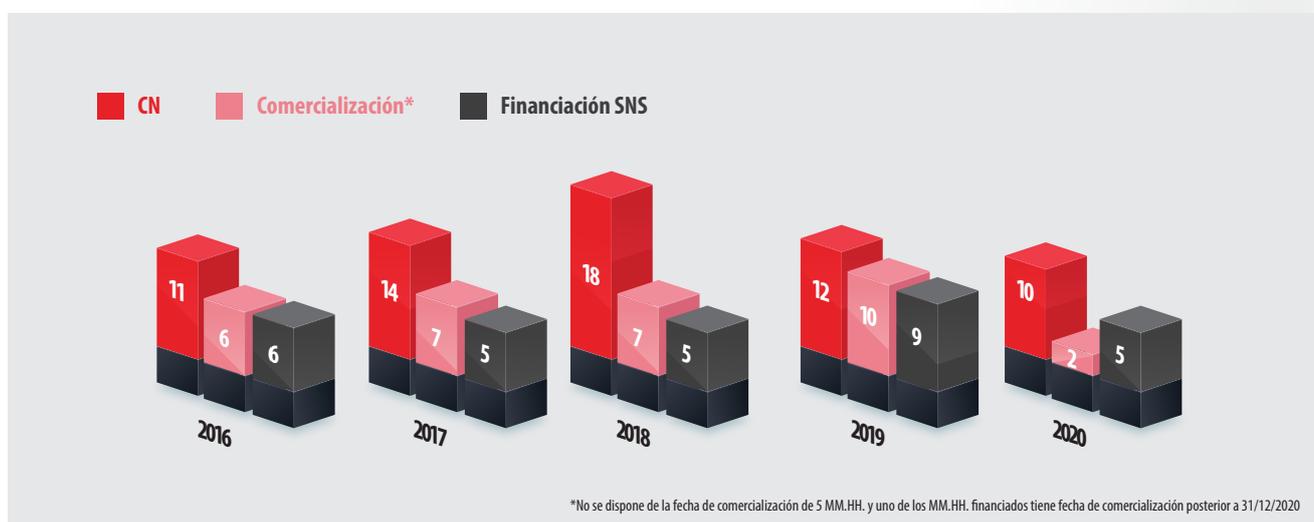
Nº DE MM.HH. CON CN Y FINANCIACIÓN APROBADA POR EL SNS EN EL AÑO 2020



En total, el pasado año **sólo se financiaron en España 5 nuevos medicamentos huérfanos**, lo que supone 4 productos financiados menos que en 2019, **una disminución de un 45% en un sólo año.**

Esta realidad podría alejar la disponibilidad de las innovaciones farmacéuticas para los pacientes españoles con enfermedades raras respecto a otros países de nuestro entorno.

DATOS DE ACCESO 2016-2020 EN ESPAÑA



5. LOS TIEMPOS DE ACCESO

La investigación en enfermedades raras es una necesidad urgente ya que todavía hay muchos pacientes que carecen de tratamiento específico para su enfermedad. Aunque son bastantes las compañías farmacéuticas que han apostado por invertir y desarrollar fármacos destinados al tratamiento de las enfermedades minoritarias, **el acceso de los pacientes españoles a los medicamentos huérfanos se ve frenado por importantes barreras.**

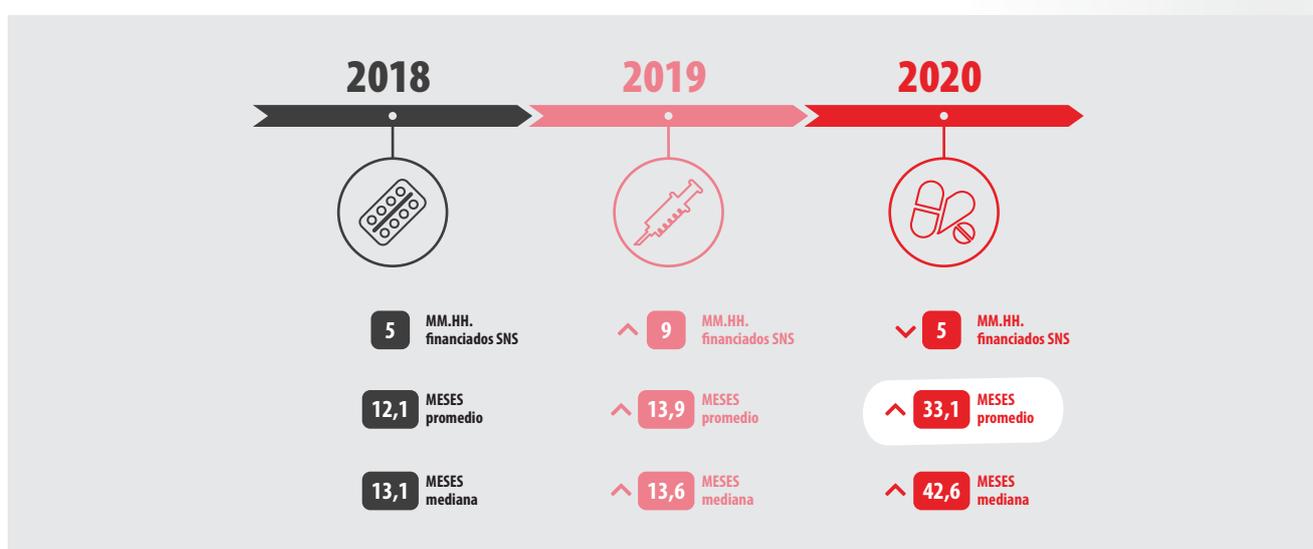
Según los datos del informe de acceso AELMHU 2020, una de las barreras más importantes es, sin duda, el periodo de tiempo en espera hasta la financiación, que con el transcurso de los años es cada vez más largo. **Actualmente existen en nuestro país 46 MM.HH. financiados y 53 MM.HH. pendientes de financiación.**

MEDICAMENTOS FINANCIADOS

En cuanto a los 46 medicamentos financiados, si bien el informe identifica que a lo largo de los años 2018 y 2019, los tiempos de espera para lograr la financiación pública de un medicamento huérfano alcanzaban aproximadamente un año de duración de media (12,1 meses y 13,9 meses, respectivamente), **a 31 de diciembre de 2020 el promedio de tiempo en nuestro país ha aumentado en 19 meses, hasta alcanzar los 33,1 meses de media.**

De los 5 medicamentos huérfanos que finalmente lograron financiación pública en 2020, 3 de ellos tuvieron que esperar más de 4 años para obtener una decisión de precio y reembolso.

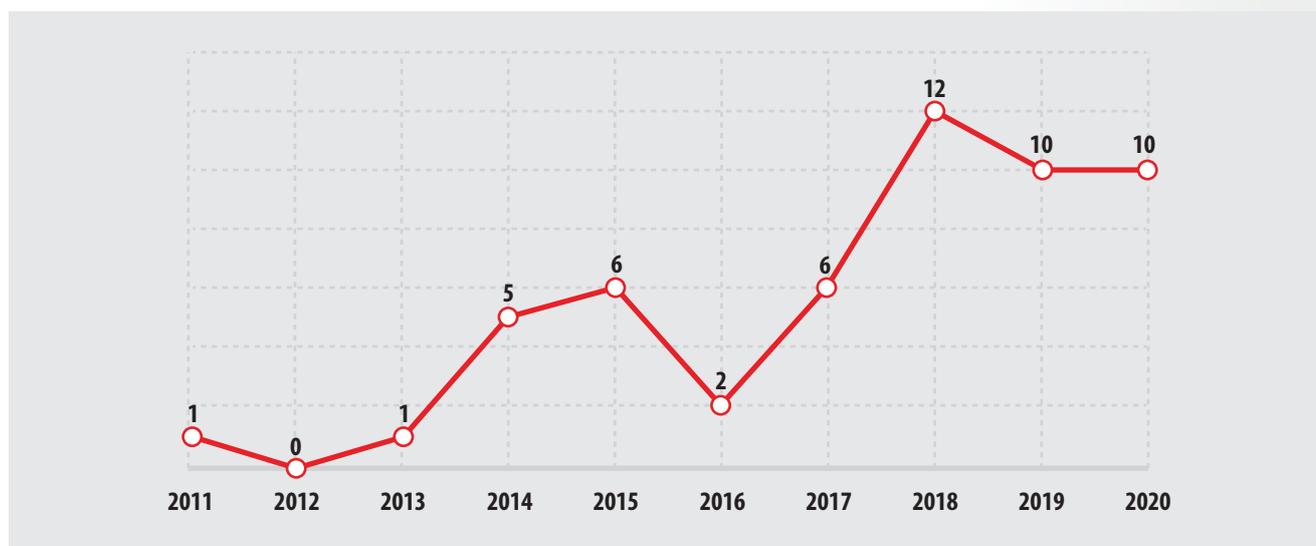
INCREMENTO TIEMPOS DE FINANCIACIÓN 2018-2020



MEDICAMENTOS EN ESPERA DE FINANCIACIÓN

Respecto a los 53 medicamentos pendientes de financiación positiva, el informe también muestra que los tiempos de espera medios se disparan: **un 54 % de los mismos lleva más de 3 años esperando precio y reembolso.**

NÚMERO DE MM.HH. CON CN PENDIENTES DE FINANCIACIÓN EN ESPAÑA (2011-2020)



A la luz de este gráfico:

- 13 MM.HH. llevan esperando financiación pública desde el periodo 2011-2015
- **Y 40 MM.HH. con CN a partir de 2016 continúan sin financiación por el SNS:**
 - El **18%** de los MM.HH. que recibieron CN en **2016**.
 - El **43%** de los MM.HH. que recibieron CN en **2017**.
 - El **67%** de los MM.HH. que recibieron CN en **2018**.
 - El **83%** de los MM.HH. que recibieron CN en **2019**.
 - Y el **100%** de los 10 MM.HH. que recibieron CN en **2020**.

6. VALORACIÓN AELMHU DE LOS DATOS DE ACCESO 2020

- 1 A pesar de la buena marcha de la innovación en el campo de las enfermedades raras en la UE, nuestro país muestra una tendencia descendente en todos los parámetros e indicadores que evalúan el acceso a los medicamentos huérfanos por parte de los pacientes españoles.
- 2 El ratio de financiación pública de los tratamientos huérfanos en nuestro país a lo largo del año 2020 es un 45% más bajo que en 2019. Sólo 4 de cada 10 medicamentos autorizados en Europa, se financian en España.
- 3 El ritmo de financiación también es cada vez más lento. El tiempo de espera para que un medicamento huérfano obtenga una decisión de precio y reembolso se ha incrementado en 19 meses, hasta superar los 33 meses de media.
- 4 Existen todavía 53 tratamientos con Código Nacional pendientes de una decisión favorable de precio y reembolso: 2 de cada 5 llevan esperando más de 3 años.
- 5 Esta situación puede desincentivar la llegada de nuevas terapias a España, perjudicando el acceso de los pacientes a los nuevos medicamentos disponibles en el mercado.
- 6 AELMHU considera esencial asegurar la equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento de los pacientes españoles; desarrollar un proceso ágil y claro que permita reducir los plazos para la financiación y contar con una mayor certidumbre y consenso en las evaluaciones para mejorar la situación.
- 7 Con este objetivo, la Asociación quiere seguir mostrando su apoyo a todas las personas con enfermedades raras, a través de nuevos proyectos de difusión y concienciación y manteniendo un compromiso inquebrantable con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos huérfanos y ultrahuérfanos.
- 8 Conscientes de la dificultad de la situación que atraviesa nuestro país como consecuencia de la pandemia originada por el Covid19, y desde la firme convicción de que la mejora en el acceso a los medicamentos huérfanos en España es una tarea que nos interpela a todos, AELMHU quiere también reiterar su ofrecimiento a la Administración para encontrar una solución conjunta capaz de lograr que todas las terapias huérfanas lleguen cuanto antes a los pacientes que sufren una enfermedad minoritaria en nuestro país.

7. BIBLIOGRAFÍA Y ACRÓNIMOS

BIBLIOGRAFÍA

- 1 Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento:
[https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-\(orphan\)-designations-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-(orphan)-designations-section)
- 2 Registro Comunitario de Medicamentos Huérfano:
http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=a
- 3 Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS:
<https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>
- 4 Base de Datos del Información Sanitaria, Bot PLUS:
<https://botplusweb.portalfarma.com/>
- 5 Medicamentos Huérfanos financiados por el SNS:
<https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/home.htm>
- 6 Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos:
<https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>

ACRÓNIMOS

EMA:	Agencia Europea del Medicamento
COMP:	Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos
OD:	Orphan Designation
AC:	Autorización de Comercialización Europea por procedimiento centralizado
UE:	Unión Europea
CN:	Código Nacional
SNS:	Sistema Nacional de Salud
AEMPS:	Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
MM.HH.:	Medicamentos Huérfanos
CHMP:	Comité de Medicamentos de Uso Humano

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

comunicacion@aelmhu.es



Resumen ejecutivo elaborado por:



LASKER

Informe elaborado por:

