

## **Se desploma el acceso a medicamentos huérfanos en España**

**Un estudio realizado por AELMHU revela que de los 94 medicamentos huérfanos aprobados por la EMA desde 2002, con designación de medicamento huérfano vigente, sólo se han comercializado hasta ahora 51 en España, en una tendencia a la baja que se ha acentuado especialmente en los últimos 4 años.**

**Madrid, 7 de julio de 2016.-**

Actualmente conseguir en España el acceso al mercado de los medicamentos huérfanos (MMHH) no es tarea fácil. A pesar de haber sido aprobados por la Agencia Europea del Medicamento (EMA), la posterior negociación de financiación y precio en España impide a los pacientes afectados por enfermedades raras el acceso equitativo a estos fármacos.

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), ha realizado un estudio sobre el acceso a los MMHH en España, en comparación con los países más relevantes de Europa. El estudio revela un importante descenso en el número de MMHH que han obtenido financiación y precio en los últimos cuatro años, y en el que se pone de manifiesto un cambio de tendencia que aleja a España de los ratios identificados para otros países europeos, respecto al acceso efectivo a estas innovaciones terapéuticas. En concreto, el estudio revela que de los 94 nuevos MMHH aprobados por la EMA desde 2002, con designación de medicamento huérfano vigente, en España sólo se han comercializado 51, poco más de la mitad.

Se ha observado que entre 2002 y 2011, de los 42 MMHH aprobados por la EMA, en España se autorizó la financiación y el precio de 38, es decir un 90,5%, mientras que 2 de ellos (4,7%) no fueron financiados y otros 2 quedaron pendientes de decisión de financiación durante ese periodo. Sin embargo, esta tendencia ha cambiado drásticamente y entre 2012 y 2015, de los 44 MMHH aprobados por la EMA, sólo 13 (29,5%) han sido autorizados para ser financiados en España, 11 (25%), la propia compañía no ha solicitado financiación y precio y 20 (45,4%) están bajo el proceso de decisión. De éstos últimos, 9 (45%) han visto su solicitud de financiación rechazada y 11 (55%) están todavía pendientes de que su financiación sea autorizada.

El estudio realizado por AELMHU ha analizado la situación desde la aprobación del medicamento por parte de la EMA hasta la decisión de financiación y precio, para determinar la comercialización y el acceso efectivo al nuevo medicamento.—El análisis ha excluido los tratamientos oncológicos y ha valorado entre otros parámetros el impacto de los MMHH en términos de prevalencia y de impacto presupuestario, comparando la situación en España a la de los principales países europeos (Reino Unido, Italia y Francia). Alemania no ha sido incluida en este análisis por contar con un modelo de financiación y comercialización diferente.

El estudio profundiza en el análisis comparativo de 15 MMHH, de los cuales sólo 1 ha sido comercializado en España, mientras que 6 se encuentran en proceso de

decisión de financiación y precio y 8 ya han sido desestimados para su inclusión en el Sistema Nacional de Salud. Comparando la situación de esta selección de MMHH en España con la de los países europeos contemplados en el estudio, se evidencia una diferencia notable al revelar que 11 de estos nuevos MMHH ya han sido aprobados en el Reino Unido, mientras que en Francia se han aprobado 8 y en Italia se están comercializando ya 5 de ellos.

En cuanto al tiempo transcurrido desde la aprobación por parte de la EMA hasta la autorización de la financiación y precio de un nuevo MMHH en España, se estima en una media de 18 meses.

Respecto a los costes de tratamiento estimados para estos nuevos fármacos innovadores, del estudio se concluye que los 11 MMHH finalmente considerados permitirían tratar aproximadamente a 3.300 pacientes en tres años, de un máximo teórico estimado de 3.800 pacientes. Con estos supuestos, el coste farmacológico acumulado para los primeros tres años de tratamiento, supondría 64, 97 y 129 millones de euros, que representarían un 0,10%, 0,16% y 0,21% del total del gasto sanitario español actual.

Según ha manifestado el presidente de AELMHU, Luis Cruz, *“los miembros de AELMHU estamos preocupados por el descenso que se ha experimentado en el acceso a medicamentos huérfanos en estos últimos cuatro años en España. Creemos que el valor terapéutico que el nuevo fármaco aporta no debe ser ignorado a la hora de autorizar la financiación de este tipo de medicamentos, ya que no solo deben primar criterios economicistas”*.

Los medicamentos huérfanos (MMHH) son fármacos destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar una enfermedad que carece de tratamiento alternativo y que puede poner en peligro la vida o conllevar una incapacidad grave y crónica de los pacientes. Las enfermedades raras, no afectan a más de 5 personas de cada 10.000 habitantes, y son pocos los laboratorios que se dedican a las i+D de este tipo de medicamentos que contribuyen, en la mayoría de los casos, a que los pacientes puedan acceder a un tratamiento de alta calidad. La investigación y desarrollo de los medicamentos huérfanos es compleja y requiere mucho tiempo debido a las peculiaridades de las enfermedades raras. Son todavía pocos los tratamientos eficaces, y en todo caso, los reciben un número muy reducido de pacientes, para los que representa en muchas ocasiones la única posibilidad afrontar su enfermedad y de mejorar su calidad de vida.

#### **Sobre AELMHU**

*AELMHU es una Asociación sin ánimo de lucro, que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por invertir en descubrir y desarrollar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras.*

*La finalidad principal de AELMHU es aprovechar la capacidad individual de sus asociados en el desarrollo de fármacos innovadores para asegurar el acceso de los afectados a los tratamientos, con el objetivo de mejorar su salud y calidad de vida y servir de interlocutor ante la sociedad, comunidad científica e instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.*

#### **Para más información:**

##### **Prensa AELMHU**

Irene Matías / Rubén Ruiz  
Tlf: 609128287 / 628326021