



Artículos seleccionados

- **Detiček A, Locatelli I, Kos M. Patient Access to Medicines for Rare Diseases in European Countries. Value Health. 2018; 21(5): 553-560.**

Patient Access to Medicines for Rare Diseases in European Countries

Europa necesita reducir las desigualdades en el acceso a los tratamientos de las enfermedades raras. España tiene menos medicamentos que los países de su entorno y tarda más en incorporarlos.

La Unión Europea (UE) se ha marcado como objetivo estratégico la mejora del acceso de los pacientes al diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras¹. No obstante, cabe esperar que exista cierta heterogeneidad entre el conjunto de países integrados en la UE, debido a que la organización y la financiación de la asistencia sanitaria son competencias de cada Estado miembro. Los resultados de este estudio confirman esta diversidad en el grado de acceso a los tratamientos, algo que, por otra parte, ya se había evidenciado en anteriores iniciativas de investigación, sobre todo en los estudios de la European Organization for Rare Diseases (EURORDIS), publicados en 2007 y 2010^{2,3}.

En su estudio, Detiček et al. utilizan tres indicadores o métricas para valorar el acceso a los medicamentos: el número de fármacos autorizados para el tratamiento de alguna enfermedad rara; la mediana del tiempo que transcurre desde la autorización hasta que se inicia el uso continuado de los fármacos, y el gasto asociado a estos medicamentos. Por cada país, se presenta el resultado global y el desglosado para medicamentos huérfanos y para aquellos otros que, aunque se utilizan en el tratamiento de una enfermedad rara, no tienen la consideración de huérfanos.

Los resultados del estudio dejan a España en una posición intermedia con respecto a los 22 países evaluados en lo que se refiere al número de medicamentos disponibles para el tratamiento de las enfermedades raras. Atendiendo sólo a los medicamentos huérfanos, de un total de 67 fármacos autorizados por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) en el periodo de estudio, en nuestro país sólo están disponibles 39 (58%). Alemania y Reino Unido son los países con mayor número de medicamentos huérfanos disponibles, 64 y 60, respectivamente (95 y 89%).

Por gasto farmacéutico, España también ocupa una posición intermedia. Sin embargo, resulta difícil comparar el acceso a los medicamentos sobre la base del gasto por país, ya que este indicador es, tal vez, el más sensible a la heterogeneidad de sistemas y modelos inherente a la UE. Así, se dan algunos factores que generan incertidumbre en el análisis:

- Diferentes precios de referencia.
- Diversidad de modelos de financiación y reembolso, con variaciones regionales dentro de algunos países y diversos sistemas de copago.
- Distintos criterios de medición de la relación coste-eficacia para aprobar o no la inclusión de un medicamento.
- Variaciones en la calidad y el tipo de los datos analizados (por ejemplo, no siempre se incluye el gasto hospitalario).

Los resultados del estudio en cuanto al intervalo de tiempo transcurrido desde la autorización hasta el uso continuado de los medicamentos sacan a España de su posición intermedia y la colocan claramente entre los países a la cola. Este grupo está integrado mayoritariamente por mercados más pequeños, en los que este retraso puede atribuirse en parte a las estrategias de lanzamiento de los laboratorios, una explicación que no puede considerarse válida para el caso español. El dato resulta aún más preocupante porque parece haber una tendencia al alza: según datos divulgados recientemente desde la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra Huérfanos (AELMHU)⁴, el intervalo de tiempo medio entre la asignación de un «código nacional» y la comercialización de un medicamento huérfano se ha incrementado en España desde los 12,4 meses (periodo entre 2002 y 2013) hasta los 14 meses (periodo entre 2014 y 2017). Y aunque este incremento carece de significación estadística, la elocuencia de las cifras es innegable, especialmente cuando hay análisis internacionales e independientes que las corroboran.

Puntos clave

- Se constata la heterogeneidad existente en Europa en cuanto al acceso a los medicamentos indicados para el tratamiento de las enfermedades raras.
- El 42% de los medicamentos huérfanos autorizados por la EMA no están disponibles en España.
- España se encuentra entre los países europeos donde se tarda más en lograr un uso continuado de los medicamentos autorizados para el tratamiento de las enfermedades raras.

Bibliografía

1. Web de la Comisión Europea. Rare Diseases. Disponible en: https://ec.europa.eu/health/non_communicable_diseases/rare_diseases_en (último acceso: abril de 2019).
2. Bignami F. EURORDIS survey on orphan drugs availability in Europe 2007. Disponible en: <https://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007ODsurvey-eurordis.pdf> (último acceso: abril de 2016).
3. Le Cam Y. Inventory of Access and Prices of orphan drugs across Europe: a collaboration work between national alliances on rare diseases and Eurordis. Disponible en: https://img2.eurordis.org/newsletter/pdf/mar-2011/ERTC_13122010_YLeCam_Final.pdf (último acceso: abril de 2016).
4. Mestre-Ferrándiz J, Iniesta M, Trapero-Bertrán M, Espín J, Brosa M. Análisis de la evolución en el acceso a los medicamentos huérfanos en España. Disponible en: <http://www.gacetasanitaria.org/es-analisis-evolucion-el-acceso-los-avance-S0213911119300810>