

## DÍA MUNDIAL DE LAS ENFERMEDADES RARAS

*Aunque la investigación acelera la aportación de nuevas opciones terapéuticas frente a las enfermedades raras*

### **ESPAÑA SÓLO FINANCIA 4 DE CADA 10 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS APROBADOS EN EUROPA**

- **La Unión Europea alcanzó un máximo histórico de 165 tratamientos con designación huérfana en 2020, pero menos de la mitad son accesibles para los pacientes españoles.**
- **Los medicamentos huérfanos son tratamientos innovadores que se dirigen exclusivamente a diagnosticar, prevenir o tratar a pacientes con enfermedades minoritarias sin alternativa terapéutica.**
- **Según el informe anual de AELMHU, en 2020 solo se han financiado 5 nuevos medicamentos huérfanos en España, un 45% menos que 2019.**
- **A pesar de la especial vulnerabilidad que presentan los pacientes con enfermedades raras, los retrasos en los procesos de financiación de estos nuevos tratamientos aumentó durante la pandemia hasta superar de media los 33 meses.**

**Madrid, 22 de febrero de 2021.-** Con motivo del Día Mundial de las Enfermedades Raras (EE.RR.), la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) ha presentado su Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España. Este informe revela que durante el año 2020 se alcanzó la cifra récord de 165 productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por la Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés) y evidencia el gran momento que vive la investigación farmacéutica en su apuesta por un ámbito tan complejo y sensible como son las EE.RR.

La tendencia europea contrasta con los datos de acceso en España, que presentan un descenso considerable en la financiación de nuevos medicamentos huérfanos (MM.HH.) en el último año, lo que podría alejar la disponibilidad de estas innovaciones para los pacientes españoles respecto a los países nuestro entorno.

Mientras la Unión Europea (UE) alcanzaba en 2020 sus mejores cifras, con 22 nuevos productos con designación huérfana positiva y 18 nuevas autorizaciones de comercialización comunitaria, en España los diferentes parámetros del proceso de comercialización y financiación de MM.HH. muestran los peores datos del último lustro.

En el último ejercicio, se asignaron en nuestro país 10 Códigos Nacionales (CN) y se aprobó la financiación de 5 nuevos medicamentos, lo que supone un descenso de un 6% en los CN y un 45% menos de medicamentos financiados con respecto a 2019. Más allá del porcentaje, estas cifras revelan que, en 2020, solo 4 de cada 10 MM.HH. en Europa llegan finalmente a los pacientes españoles.

Por otro lado, además de las dificultades añadidas que ha supuesto el Covid19 para los pacientes con enfermedades minoritarias, y del complejo proceso de aprobación y financiación de este tipo de medicamentos, el retraso hasta lograr una decisión de precio y reembolso también ha empeorado en nuestro país hasta alcanzar los 33 meses de espera media, 19 meses más para llegar a unos tratamientos que, a menudo, son de vital necesidad.

*“Las condiciones de acceso de los pacientes con enfermedades raras a sus tratamientos ha ido empeorando en los últimos 5 años”,* afirma Jorge Capapey, presidente de AELMHU. En este sentido, la Asociación considera que la lucha contra la pandemia no debe lastrar el esfuerzo de las administraciones y de todos los agentes implicados en el abordaje de los tratamientos para las EE.RR, puesto que estos pacientes representan un colectivo de especial vulnerabilidad.

La realidad es que de los 53 MM.HH. pendientes de financiación positiva, un 54% llevan esperando más de 3 años. Para AELMHU, estos preocupantes datos de acceso podrían dificultar la llegada de nuevas terapias a España, retrasando el acceso de los pacientes a unas innovaciones terapéuticas por las que, cada vez más, apuestan las empresas farmacéuticas.

En este sentido, el presidente de la Asociación considera *“es fundamental que avancemos de forma conjunta todos los agentes que participamos en el proceso, pacientes, administración, profesionales y empresas, para mejorar la eficiencia del sistema y para facilitar que las nuevas terapias lleguen lo antes posible a los pacientes de estas patologías especiales y a sus familias”*.

Para AELMHU es esencial asegurar la equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento para los pacientes españoles; desarrollar un proceso ágil y claro que permita acortar los plazos para la financiación y contar con una mayor certidumbre y consenso en las evaluaciones para mejorar la situación facilitando que el mayor número de terapias llegue a todas las personas afectadas por una enfermedad minoritaria.

Con este objetivo en el horizonte, la Asociación quiere seguir mostrando su apoyo a todas las personas con EE.RR. en España, a través de más proyectos de difusión y concienciación, y manteniendo un compromiso inquebrantable con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos huérfanos y ultrahuérfanos, que sigan aportando beneficio y calidad de vida a un número mayor de pacientes y familias.

***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 salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, comunidad científica e instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos.

Actualmente los asociados 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.

[www.aelmhu.es](http://www.aelmhu.es)

***Para más información***

Alma Ezcurra [aea@lasker.es](mailto:aea@lasker.es)

T: +34 606 896 657



**Comunicación | Digital | Relaciones Institucionales**

T: +34 910 885 55