

Según las conclusiones del estudio FinMHU-MCDA que evalúa los factores que determinan la financiación de tratamientos en enfermedades raras

La calidad de vida del paciente debe priorizar los criterios de financiación de medicamentos huérfanos

El alcance del beneficio terapéutico, la gravedad de la enfermedad o la existencia de alternativas terapéuticas destacan también entre los criterios más relevantes para el grupo de expertos multidisciplinar que ha desarrollado el estudio

Madrid, 13 de enero de 2021. Según las conclusiones del estudio FinMHU-MCDA elaborado sobre los criterios de financiación de medicamentos huérfanos en España, factores como la calidad de vida del paciente, la gravedad de la enfermedad rara, la existencia de alternativas terapéuticas o la capacidad de cada terapia para evitar costes asociados, deben incrementar su importancia en la toma de decisiones sobre financiación de este tipo de medicamentos.

Desarrollado y coordinado por Pharmacoeconomics & Outcomes Research Iberia (PORIB) con el apoyo de AELMHU, el estudio ha permitido establecer la importancia de diferentes criterios para valorar la financiación de medicamentos huérfanos, considerando las preferencias de varios expertos involucrados en el ámbito de las enfermedades raras. El proyecto se desarrolló en tres fases, partiendo de una selección de 13 criterios de financiación potencialmente relevantes.

El informe de conclusiones destaca que los medicamentos huérfanos presentan grandes desafíos de cara a su financiación y acceso posterior a los pacientes, siendo necesario establecer con claridad, transparencia y de forma estructurada qué criterios se deben seguir a la hora de evaluar estos medicamentos y que involucren a todos los agentes implicados en la toma de decisiones.

El criterio más destacado para considerar en la toma de decisiones fue la afectación del tratamiento sobre la calidad de vida del paciente, con un peso mayor del 20%, considerando posiblemente que el principal objetivo de estas terapias es mejorar el estado general de los pacientes, teniendo en cuenta que en muchos casos no consiguen la curación de estas patologías.

El alcance del beneficio terapéutico y la existencia de alternativas terapéuticas, junto a la gravedad de la enfermedad rara, fueron otros de los criterios con mayor importancia relativa a la hora de tomar decisiones de financiación, mientras que, en la parte económica, la capacidad del tratamiento para evitar los costes asociados a la enfermedad fue el criterio más valorado.

En el estudio ha participado un equipo multidisciplinar de 28 expertos con gran relevancia en el ámbito de las enfermedades raras y la evaluación de medicamentos huérfanos, entre los que se encuentran a Encarnación Cruz, presidenta de BioSim y exdirectora general de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia; Francesc Palau, jefe de Servicio de Medicina Genética y director del Instituto Pediátrico de Enfermedades Raras del Hospital Sant Joan de Déu; Olga Delgado, jefa de Servicio de Farmacia del Hospital Son

Espases; Miguel Ángel Calleja, jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Virgen Macarena; María Queralt Gorgas, directora del Servicio de Farmacia del Hospital Vall d'Hebron; Jaime Espín, profesor de la Escuela Andaluza de Salud Pública; Jorge Mestre, consultor independiente en Economía de la Salud y Alba Ancochea, directora gerente de FEDER.

Los expertos han aportado sus reflexiones respecto a la situación actual y a las conclusiones del estudio. Francesc Palau comenta que “en el manejo clínico de los pacientes con enfermedades raras, los dos aspectos fundamentales son el diagnóstico y el tratamiento”. Por parte de FEDER, su directora gerente, Alba Ancochea, recuerda que “se estima que sólo el 5% de las más de 6.000 enfermedades raras identificadas en todo el mundo cuentan con tratamiento”. A esta realidad, se juntan los retos en el acceso a los tratamientos existentes, algo que los expertos de farmacia hospitalaria destacan. María Queralt Gorgas reitera que “uno de los mayores retos a los que se enfrentan los pacientes con enfermedades raras es la disponibilidad de tratamientos” y Miguel Ángel Calleja insiste en la necesidad de “priorizar y facilitar la incorporación de este tipo de medicamentos por las necesidades especiales de los pacientes”.

Para facilitar el acceso a estos tratamientos, los economistas Jorge Mestre y Jaime Espín, sugieren “implementar modelos de precio y financiación flexibles, para generar más evidencia en la práctica clínica y reducir la incertidumbre”. Por su parte, Encarnación Cruz comenta que “el uso de metodologías de análisis de decisión multicriterio puede ser una herramienta de utilidad” a la hora de tomar decisiones sobre la financiación de medicamentos huérfanos.

Los resultados del estudio FINMHU- se han presentado recientemente en el 65 Congreso Nacional de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH) y en el congreso europeo 2020 (ISPOR).

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

Para más información

Elisabeth Rammos er@lasker.es
T: +34 679 33 92 22

 **LASKER**
Comunicación | Digital | Relaciones Institucionales
T: +34 910 885 550