

# Aportaciones AELMHU

## TRÁMITE DE AUDIENCIA PÚBLICA SOBRE EL ANTEPROYECTO DE LEY DE MEDIDAS PARA LA EQUIDAD, UNIVERSALIDAD Y COHESIÓN DEL SISTEMA NACIONAL DE SALUD

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), una entidad sin ánimo de lucro que agrupa a 19 empresas biotecnológicas y farmacéuticas con un decidido compromiso por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras, agradece tener la oportunidad de poder participar en el presente trámite de Audiencia Pública.

### Desde nuestra Asociación:

- 1** **Difundimos el conocimiento de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en España** ante la comunidad médica y científica, las autoridades públicas, representantes políticos, las asociaciones de pacientes y la sociedad en general de cara a mejorar el diagnóstico y el tratamiento de las enfermedades raras.
- 2** **Defendemos la mejor y mayor accesibilidad** para el paciente y las entidades sanitarias de medicamentos huérfanos.
- 3** **Garantizamos la equidad** en el diagnóstico y el tratamiento de los pacientes con enfermedades raras.
- 4** **Mantenemos nuestro compromiso** con la I+D+i.

Por eso, tras haber analizado el anteproyecto de ley, a continuación, aportamos nuestros comentarios de cara a conseguir una mayor equidad en el ámbito de las enfermedades raras.:

# Contexto

AELMHU considera que si algo nos han enseñado los recientes acontecimientos a nivel global es que **la sociedad ha tomado más conciencia que nunca de su derecho universal a la salud y del impacto real que la ciencia y la innovación tienen en su día a día.**

En este sentido, desde nuestra Asociación **jugamos, y queremos jugar un papel clave, contribuyendo a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades poco frecuentes**, impulsando el conocimiento de sus patologías y fomentando el reconocimiento del valor terapéutico y social de la ciencia y la innovación en el ámbito sanitario.

Afortunadamente **la investigación farmacéutica atraviesa un momento extraordinario**, particularmente en un ámbito tan complejo y sensible como el de las enfermedades raras. Sirva de ejemplo el histórico dato que nos dejó **el año 2020, cuando la UE alcanzó un máximo histórico de 165 productos con nombre comercial y designación huérfana positiva** por la Agencia Europea del Medicamento.

Sin embargo, **la tendencia europea contrasta con los preocupantes datos de acceso en España: en lo que llevamos de 2021**, y según el último informe cuatrimestral que periódicamente elabora nuestra asociación, la situación del acceso de los productos con nombre comercial que tienen vigente la designación huérfana a fecha 31 de agosto de 2021, **nuestro país solo financia 4 de cada 10 medicamentos huérfanos que llegan de Europa, mientras los tiempos medios de espera para la financiación superan con creces los dos años (27,3 meses).**

Además, una vez que un medicamento ha recibido la aprobación de financiación por parte del Ministerio de Sanidad a nivel nacional, las Comunidades Autónomas tienen que hacer disponibles sus propios recursos financieros, existiendo varias Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias autonómicas, Comités Autonómicos de evaluación, y comités hospitalarios que reevalúan el fármaco, incorporando en ocasiones nuevos criterios de acceso para su prescripción. Estos procesos adicionales suman un tiempo que implica demoras adicionales que abarcan entre 6 y 12 meses más, de media.

Por todo ello, en AELMHU entendemos que **esta situación de inequidad -entre Comunidades Autónomas y con respecto a otros países de nuestro entorno- podría alejar la disponibilidad de la innovación en España**, perjudicando claramente los derechos y la salud de las miles de familias españolas que sufren patologías minoritarias.

Así, desde la convicción de que es un asunto que nos interpela a todos -pacientes, profesionales, industria y decisores públicos- queremos participar en el trámite de audiencia pública de este proyecto de Ley, haciendo un análisis y proponiendo recomendaciones.

# Análisis

De las temáticas incluidas en el presente anteproyecto de ley, la más relevante desde la óptica de las enfermedades raras es la consistente en fortalecer la cohesión y equidad en el Sistema Nacional de Salud (SNS), facilitando la viabilidad del desarrollo reglamentario del Fondo de Garantía Asistencial (FOGA).

El FOGA fue creado con el objeto de garantizar la cohesión y la equidad, a través de la compensación a las Comunidades Autónomas de las atenciones que sus servicios de salud presten a personas que gocen de la condición de asegurado o de beneficiario del SNS, en sus desplazamientos temporales, en el marco de la aplicación de la cartera común básica de servicios asistenciales y de la cartera suplementaria.

Sin embargo, al no haberse llevado a cabo el desarrollo reglamentario previsto en el artículo 3.4 del Real Decreto-ley 16/2012 el **“Informe de fiscalización del sistema de compensación de los gastos por asistencia sanitaria gestionado por el Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Ejercicio 2017”** del Tribunal de Cuentas, sostiene que desde 2013 el Ministerio de Sanidad viene compensando con cargo al FOGA sólo la atención primaria en desplazamientos de corta duración, a través del “FOGA-Atención primaria” y el gasto farmacéutico, a través del “FOGA-Farmacia”.

En este sentido, **el citado informe aclara que en el supuesto del FOGA-Farmacia, únicamente se están compensando las dispensaciones a través de oficinas de farmacia, quedando excluida la dispensación farmacéutica hospitalaria.**

El Tribunal de Cuentas considera que el FOGA no cumple con sus objetivos y en la práctica, solo supone un sistema de compensación parcial de los costes de asistencia sanitaria entre Comunidades Autónomas, por lo que recomienda que el Ministerio de Sanidad impulse la modificación de la normativa vigente con el fin de articular un mecanismo que, de forma efectiva, contribuya a la igualdad de acceso a la prestación sanitaria en toda España.

# Recomendaciones

**Desde AELMHU celebramos que el actual Gobierno considere a las enfermedades raras una prioridad,** manifestando en su acuerdo de gobierno su compromiso de “integrar las necesidades de las enfermedades raras en la planificación global de la cobertura universal, garantizando el acceso a diagnóstico y tratamiento de todas las personas, independientemente de dónde vivan y la patología con la que convivan” (punto 2.2.11. del acuerdo).

Asimismo, **nos congratulamos por el acuerdo alcanzado por múltiples fuerzas parlamentarias en el Dictamen de la Comisión para la Reconstrucción Social y Económica,** de julio de 2020, en el que se abogaba por “primar el apoyo al desarrollo de productos para necesidades consideradas importantes o mal atendidas (por ejemplo, determinadas enfermedades raras)”, en su apartado 52; y por “activar el Fondo de Garantía Asistencial (FOGA) como mecanismo de compensación de la asistencia sanitaria entre Comunidades Autónomas, para favorecer la equidad en el acceso a los servicios sanitarios, así como la libertad de movimientos de los pacientes dentro del Sistema Nacional de Salud” (apartado 61.3).

**Consideramos, también, de relevancia todas las actuaciones encaminadas al cumplimiento de los objetivos del Componente 18 del Plan de Recuperación y Resiliencia,** particularmente en lo relativo al refuerzo de la cohesión del sistema y la reducción de desigualdades en el tratamiento de enfermedades raras y de alta complejidad, **así como la aprobación de una Proposición no de Ley en el Pleno del Congreso de los Diputados, en mayo de 2021, en la que las diferentes fuerzas acordaron unánimemente (346 a favor) instar al Gobierno a integrar las necesidades de las enfermedades raras en la planificación global de la cobertura universal de forma efectiva,** garantizando el acceso al diagnóstico y tratamiento de todas las personas, independientemente de la enfermedad que padezcan y de acuerdo a criterios de equidad mediante, el impulso y la actualización de la Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud y el trabajo conjunto en el marco de la Unión Europea.

Por todo ello, dada la importancia de esta política para el Ejecutivo, **desde AELMHU nos hemos puesto a disposición del Ministerio de Sanidad** con el fin de solucionar conjuntamente las dificultades de acceso a los tratamientos huérfanos que actualmente existe en nuestro país, **presentando ante la Dirección General de Cartera Básica y Farmacia del SNS un documento de propuestas para mejorar el acceso y la equidad en España.**

En este sentido, coincidimos con el Ejecutivo en que la falta de desarrollo reglamentario del Fondo de Garantía Asistencial (FOGA) actúa en contra de la equidad en el acceso a todos los pacientes, particularmente aquellos que padecen patologías minoritarias.

Sin embargo, tal y como refiere el propio Tribunal de Cuentas, el **FOGA-Farmacia únicamente está compensando las dispensaciones a través de oficinas de farmacia, quedando excluida la dispensación farmacéutica hospitalaria,** lo que de facto supone la exclusión de los tratamientos de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos de este fondo.

Ello es particularmente grave dado que, así como en otras áreas terapéuticas no son tan comunes los traslados entre Comunidades Autónomas, según los datos que arroja la última actualización del Estudio de situación de Necesidades Sociosanitarias de las Personas con Enfermedades Raras en España (2016-2017), liderado por la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) y el Centro de Referencia Estatal de Atención a Personas con Enfermedades Raras y sus Familias (Centro CREER), una de cada cuatro personas afectadas por este tipo de enfermedad afirmaba haber tenido que desplazarse fuera de su Comunidad Autónoma en los dos últimos años para conseguir un diagnóstico. Además, casi la mitad de los encuestados aseguraba tener dificultades para acceder a los productos sanitarios o medicamentos que necesitaba debido a, entre otras, que debía “obtenerse en otro país u otra Comunidad Autónoma”.

## Por todo lo anterior, AELMHU propone:

1

Que se incluya expresamente la dispensación de tratamientos para las enfermedades raras y medicamentos huérfanos con cargo al FOGA.

2

Al objeto de conseguir una igualdad de acceso a la prestación sanitaria en toda España y en aras de reforzar la cohesión y la equidad en el ámbito de las enfermedades raras, creemos que se han de **aplicar las recomendaciones científicas y clínicas emanadas de los Informes de Posicionamiento Terapéutico en todos los ámbitos de la gestión sanitaria (estatal y autonómica) y que sea vinculante en la toma de decisiones de las Comunidades Autónomas para evitar desigualdades no justificadas.**

3

También creemos que la colaboración público-privada en la mejora de la accesibilidad a los medicamentos ha demostrado ser una herramienta muy útil para mejorar la calidad de vida de los pacientes, sobre todo en casos de interrupción de sus tratamientos como consecuencia de la pandemia, con programas de soporte y servicios añadidos (ej. *home therapy*). Por ello, también queremos **instar al Gobierno a continuar defendiendo el marco sanitario público, mediante una gestión eficiente del Sistema Nacional de Salud, que tenga en consideración todos los recursos disponibles -públicos y privados-, sin que nadie quede excluido.**

4

Finalmente, AELMHU entiende que si con esta ley queremos, de verdad, fortalecer el Sistema Nacional de Salud, desarrollando medidas para la consolidación de los principios de universalidad, equidad y cohesión capaces de minimizar las desigualdades y reforzar estructuralmente el buen gobierno y la legitimidad de nuestro sistema sanitario público, **es imprescindible abrir una reflexión más general sobre la inequidad en el ámbito de las enfermedades raras mediante un diálogo amplio y constructivo que cuente inexcusablemente con la industria, y en el que se aborde el acuciante problema de los tiempos de acceso, así como otras cuestiones específicas sobre los medicamentos huérfanos, como la evaluación, el modelo de financiación o la equidad en métodos de diagnóstico como el *screening* neonatal a nivel nacional.**

Enviado al Ministerio de Sanidad el 3 de diciembre de 2021