

RESUMEN EJECUTIVO

Informe de **ACCESO** **2021**

de los medicamentos
huérfanos en España

aeLmhu



ÍNDICE

mhu

- 01 INFORME DE ACCESO **AELMHU**
- 02 METODOLOGÍA DEL INFORME
- 03 CONTEXTO ACTUAL
- 04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA **UE** Y EN **ESPAÑA** EN **2021**
- 05 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN **ESPAÑA** DURANTE **2021**
- 06 VALORACIÓN **AELMHU**
- 07 BIBLIOGRAFÍA Y ACRÓNIMOS

La Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) presenta una nueva edición de su **Informe Anual sobre el Acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España**, en el que se desarrolla un análisis de la situación actual, aportando datos comparativos y tendencias respecto a ejercicios anteriores.

El estudio se ha consolidado como una referencia en este ámbito reflejando la situación, a 31 de diciembre de 2021, de los **productos con nombre comercial que cuentan con designación huérfana** por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA). El informe analiza también la evolución y el procedimiento seguido durante el último año por esos medicamentos al llegar a España, desde la asignación de Código Nacional (CN) por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), hasta su financiación pública.

En unos años tan atípicos, presididos mayoritariamente por el impacto de la pandemia, la Asociación quiere seguir analizando y proyectando estos indicadores para contribuir al **objetivo común de mejorar y agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica para todos los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.) en España**. Una innovación que se ha visto reforzada y acelerada estos años y que va a requerir de **nuevas fórmulas y modelos de aprobación y financiación** para poder trasladar todas sus aportaciones y ventajas a los pacientes que padecen enfermedades raras, sin comprometer la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud.

Como novedad este año, se ha profundizado en el análisis de los tratamientos huérfanos que se han empezado a financiar en 2021 por el SNS: datos relativos a las patologías, indicaciones financiadas, terapias avanzadas, etc.

AELMHU es una organización sin ánimo de lucro que desde hace más de una década agrupa a **empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un decidido compromiso por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen estas patologías denominadas raras**.

Actualmente los **miembros de AELMHU** son: Alexion Astracenece Rare Diseases, Alnylam, AMRYT Pharma, Novartis Gene Therapies, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Jazz Pharmaceutical, Ipsen, Insmed, Kyowa Kirin, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases Spain, Sanofi, SOBI, Takeda, Ultragenyx y Vertex.

La misión de la Asociación **es contribuir a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes**, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social que los medicamentos huérfanos tienen en su vida diaria y la de sus familias.

En este resumen ejecutivo AELMHU analiza los principales indicadores de acceso de los MM.HH. en la Unión Europea (UE) y en España, y los pone a disposición de todos los interesados -asociaciones de pacientes, administraciones públicas, personal sanitario, comunidad científica y sociedad civil- a fin de que puedan evaluar la disponibilidad de estos tratamientos en nuestro país.

El presente resumen ejecutivo del Informe sobre el Acceso a los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España 2021 ha sido elaborado por Lasker sobre la base de información identificada por Bioinnova Consulting a petición de AELMHU, a través de una metodología de revisión de datos centrada en cuatro fases:

01 Identificación de los medicamentos con designación huérfana

De los más de 2.000 principios activos con designación huérfana por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que tienen vigente la designación huérfana (OD por sus siglas en inglés) a fecha 31 de diciembre de 2021 (aprox. 1.730). La OD se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento, por lo que dentro de los principios activos que cuentan con designación huérfana vigente, se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 200) y, de éstos, se eliminan los duplicados por tener varias indicaciones. Eliminando esas duplicidades, se obtienen **176 MM.HH. con OD vigente a fecha de 31 de diciembre de 2021 y nombre comercial**.

02 Medicamentos retirados

Después, se han analizado cuáles de estos medicamentos han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la Unión Europea (n=47). Como resultado se obtiene el número de **medicamentos huérfanos con Autorización de Comercialización (AC)** a 31 de diciembre de 2021 (**n=129**).

03 Medicamentos con Código Nacional

El tercer paso se ha centrado en identificar, entre estos medicamentos con nombre comercial aprobados para su comercialización en Europa, aquellos que tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la AEMPS para su comercialización en España (**n=111**).

04 Medicamentos financiados

Por último, se han identificado que **medicamentos huérfanos con CN están financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)**, según la información recogida en el Nomenclátor del Ministerio de Sanidad (**n=56**) y desde cuando (como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta).

Los MM.HH. son tratamientos innovadores, muchos de ellos de origen biotecnológico, **destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar enfermedades raras o poco frecuentes** que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas y que carecen de tratamiento alternativo.

Se estima que existen entre **6.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes** en el mundo de las que apenas un **5% dispone en la actualidad de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento**. Según la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) en España hay más de 3 millones de personas afectadas por este tipo de patologías, representando la suma de enfermedades poco frecuentes y muchas veces desconocidas, lo que supone una complejidad añadida en la búsqueda de soluciones terapéuticas eficaces.

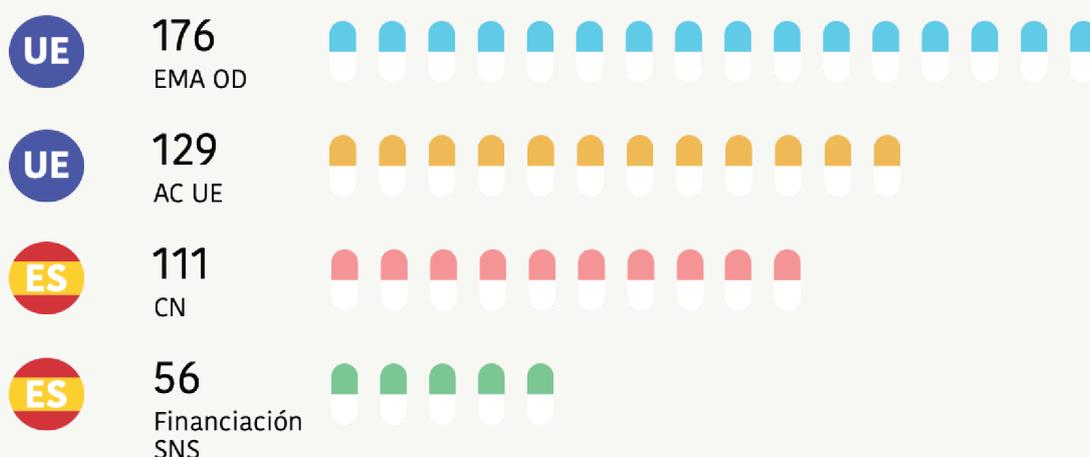
Conscientes de esta situación, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaron en el año 2.000 el **Reglamento de la UE 141/2000**, estableciendo que **«los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes»**, e incorporando incentivos para mejorar el conocimiento y promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos por parte de la industria farmacéutica en el campo de las enfermedades raras.

Desde entonces, la legislación impulsada desde la UE y España se ha enfocado en sentar las bases para **facilitar el desarrollo y la puesta a disposición de estos medicamentos a los pacientes con patologías minoritarias**. Una legislación que ha conseguido indudables avances, pero que requiere seguir profundizando en numerosos aspectos como la equidad en el acceso a estos tratamientos o la agilización de procesos burocráticos para facilitar el acceso efectivo a una oportunidad única para muchas personas que padecen este tipo de patologías y que no han encontrado una alternativa terapéutica. Precisamente estos son varios de los motivos que han conducido a la revisión que se está llevando a cabo actualmente de dicho reglamento.

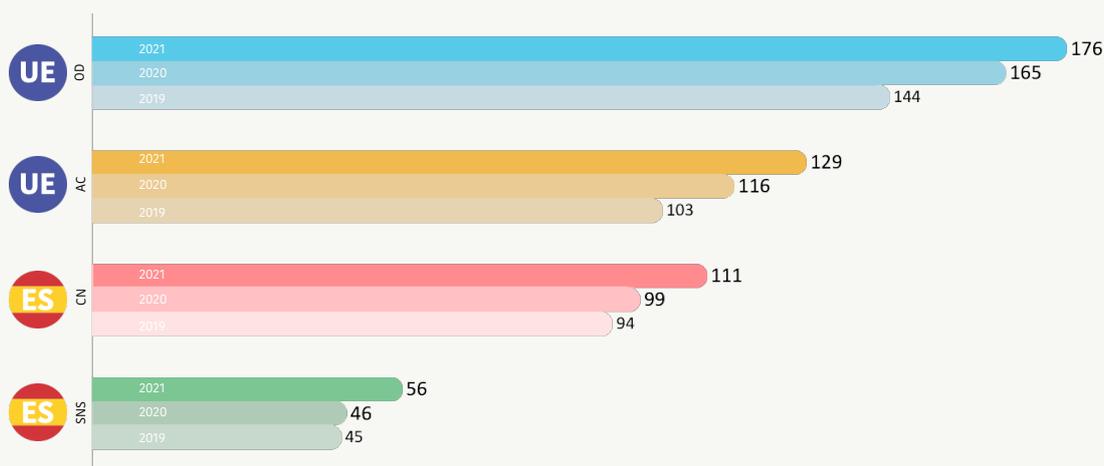
En el contexto de unos años dominados por la pandemia, lo cierto es que el esfuerzo investigador de los laboratorios farmacéuticos se ha visto reforzado, al tiempo que ha aumentado la disposición de un número creciente de empresas farmacéuticas dispuestas a aportar innovaciones en este campo. Una disposición que apunta a **una tendencia esperanzadora en la investigación, que debería desembocar en una mayor proliferación de nuevas soluciones para los pacientes**.

Principales indicadores en la UE y en España

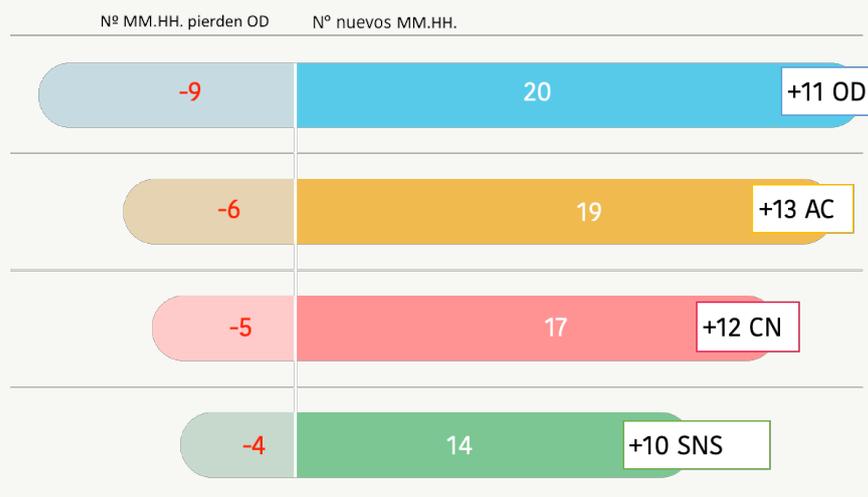
A 31 de diciembre de 2021 existen 176 medicamentos con designación huérfana en la UE, de los cuales, 129 cuentan con autorización de comercialización en la UE y de ellos, 111 han adquirido Código Nacional en España (86%) y 56 están financiados por el Sistema Nacional de Salud (43%).



Evolución de los indicadores 2019-2021

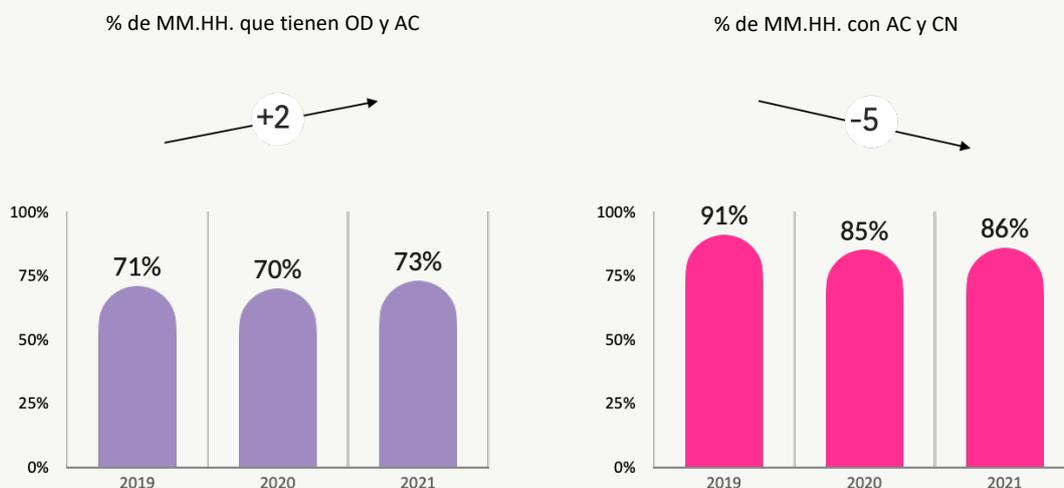


Variación de los indicadores durante 2021



En 2021, **se ha mantenido el crecimiento en las designaciones huérfanas** por parte de la Agencia Europea de Medicamentos. Se han aprobado **20 nuevas designaciones huérfanas** y 9 medicamentos han perdido esta designación. Por tanto, actualmente, **la UE cuenta con 176 productos con nombre comercial y designación huérfana**.

También aumentan **las autorizaciones de comercialización comunitarias en el ámbito de los MM.HH., con una variación de 13 autorizaciones de comercialización**. Se mantiene así el ritmo de autorizaciones de comercialización (AC) del año anterior. A cierre del 2021, **los medicamentos huérfanos autorizados para su comercialización en los Estados miembro son 129, el 73% de los que tienen designación huérfana**.



En 2021 existen **111 MM.HH. con Código Nacional, 12 más que en 2020**. Esta variación se produce por la incorporación de 17 nuevas solicitudes de CN y la pérdida de designación huérfana de 5 MM.HH. Sin embargo, como se observa en el gráfico anterior, la proporción de solicitudes de códigos nacionales con respecto a **los medicamentos huérfanos con autorización comercial entre 2019 y 2021 ha bajado 5 puntos porcentuales**.

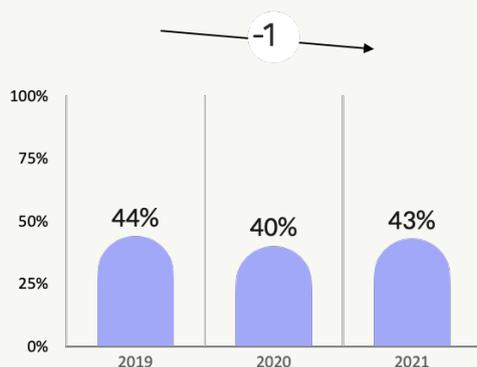
Actualmente, **hay 18 MM.HH. con A.C. que todavía no han llegado a España (sin CN) y de ellos, el 61% recibieron su autorización** de comercialización en la UE hace más de un año.

Por área terapéutica, el 22% son oncológicos, el 17 % antiinfecciosos y el 11% agentes hematológicos.

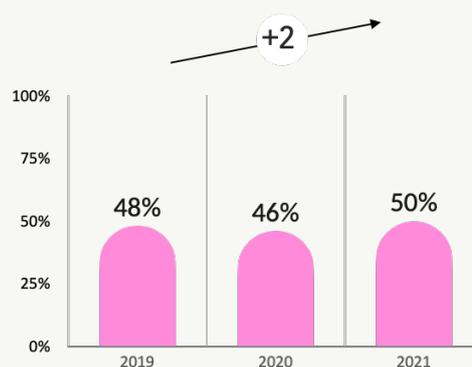
Además de lo anteriormente expuesto, si analizamos la situación de los MM.HH. financiados en España, observamos que entre 2019 y 2021:

- **En el último año se han incluido en el SNS 14 nuevos medicamentos huérfanos.** Descontando aquellos que han perdido la designación huérfana, **el número de medicamentos huérfanos financiados actualmente por el Sistema Nacional de Salud es de 56**,
- Pese a los incrementos descritos, **la proporción de nuevos medicamentos huérfanos financiados por el SNS respecto a los autorizados en la UE es similar en los últimos años** (44% en 2019 - 43% en 2021).
- En 2021, el **50% de los MM.HH. que han llegado a España están financiados por el SNS** (56 de 111).

% de MM.HH. con AC financiados por el SNS



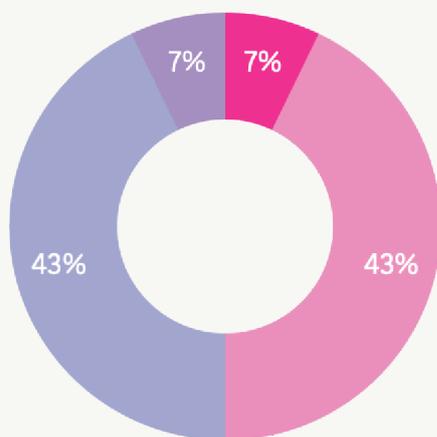
% de MM.HH. con CN financiados por el SNS



Medicamentos financiados y tiempos de espera

En 2021, se han financiado **14 nuevos MM.HH.**, frente a los 5 que se aprobaron en 2020 y los 9 que se incorporaron en 2019.

El tiempo medio para obtener dicha financiación ha sido de **24 meses**. Si bien en el último año se ha reducido en 11 meses, el promedio todavía se encuentra lejos de los 14 meses de 2019.



● Menos de 1 año ● Entre 1 y 2 años
● Entre 2 y 3 años ● Más de 3 años

Como muestra el próximo gráfico, de los productos financiados durante 2021, solo el 7% han tardado menos de un año en conseguir precio y financiación, y otro 7% han tardado más de 3 años. **Un 43% han tardado entre 1 y 2 años y otro 43%, entre 2 y 3 años. Por tanto, la mitad de pacientes cuyos tratamientos han sido financiados este año ha tenido que esperar más de dos años para poder recibirlos.**

Antes de ser incluidos en la financiación, **el 64% de los MM.HH. financiados en 2021 han pasado 2 o más veces por la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM).**

De los 14 nuevos medicamentos huérfanos financiados por el SNS en 2021, el **43% (6 de 14) se han financiado de forma restringida**, ya que el número de indicaciones financiadas es inferior al número de indicaciones aprobadas por la Agencia Europea de Medicamentos.

Además, se han establecido **condiciones para su financiación:**

- El **43%** de ellos están sometidos a **3 o más condiciones de financiación.**
- Un **93%** (13 de 14) **está sometido a seguimiento.**
- El **50%** está sometido a **techo de gasto o coste máximo por paciente.**
- Y un **21%** está sometido a pago por resultados /riesgo compartido.

Medicamentos huérfanos financiados por área terapéutica

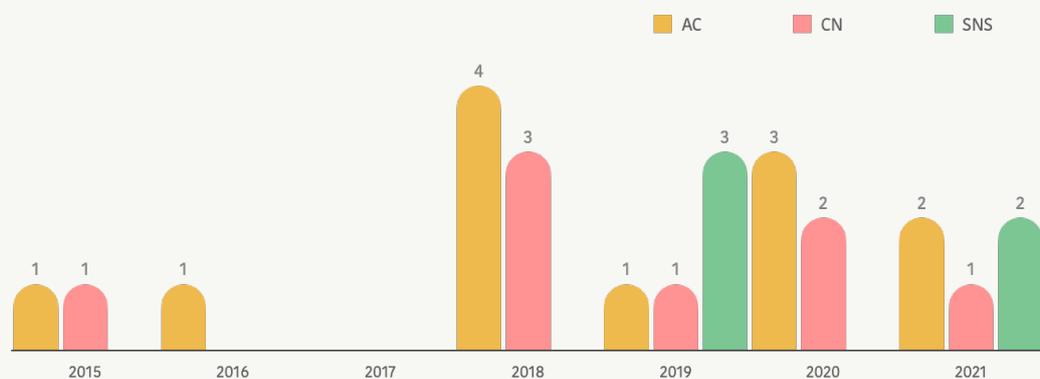
De los MM.HH. financiados durante este año, el 22% están indicados para enfermedades **hematológicas o antitrombóticas**, el 22% para **metabólicas**, el 14% para **oncológicas** y también el 14% para enfermedades del **sistema musculoesquelético**.



Terapias avanzadas con designación huérfana

De los 14 MM.HH. financiados en 2021, **2 son terapias avanzadas con designación huérfana**.

Actualmente, de las **12 terapias avanzadas con designación huérfana y autorización de comercialización en Europa**, un **67% (8)** disponen de **Código Nacional**, y un **42% (5)** están financiadas por el SNS.



El **tiempo promedio de espera** entre la obtención del CN y la financiación por el SNS de las 2 terapias aprobadas en 2021 se sitúa en **21 meses**, 3 meses menos que el promedio global de los medicamentos huérfanos.

Además, estas 2 nuevas terapias avanzadas están **sometidas a 3 ó más condiciones de financiación**.

Medicamentos en espera de financiación

Actualmente, en España hay 55 medicamentos huérfanos pendientes de financiación, 2 más que en 2020. De estos, un **51% lleva tres años o más** esperando una resolución positiva de precio y reembolso.

D N° de medicamentos huérfanos sin financiar en España por año de CN

Tal y como refleja el gráfico:

- **12 MM.HH.** llevan esperando financiación pública desde el periodo **2011-2015**.
- 43 MM.HH. con CN en el periodo **2016-2021** continúan **sin financiación** por el Sistema Nacional de Salud:
 - El 94% recibieron CN en 2021.
 - El 60%. en 2020.
 - El 42%. en 2019.
 - El 55% en 2018.
 - El 43% en 2017.
 - Y el 18% en 2016.



01

Para AELMHU, los datos recogidos en este último año reflejan una **mejora en el acceso**, en los tiempos de aprobación y en la financiación de MM.HH., como consecuencia del **esfuerzo realizado por la Administración y por la flexibilidad mostrada por las compañías farmacéuticas**.

02

Aunque son datos positivos, es importante recordar que el año anterior había mostrado unos indicadores muy negativos, agravados, sin duda, por las consecuencias derivadas de la pandemia de Covid-19. Con estos antecedentes, la mejora de 2021 supone, en realidad, **una recuperación en los retrasos** que se habían acumulado en 2020 **requiriendo**, por tanto, de **nuevos avances y esfuerzos para seguir mejorando por parte de todas las partes implicadas**.

03

En términos de financiación, el número de nuevos MM.HH. financiados por el SNS en 2020 representaba el 40% de los autorizados en la UE, mientras que en 2021 esta proporción ha aumentado en 3 puntos, representando el 43%. Aun siendo positivo, a día de hoy todavía **menos de la mitad de los tratamientos con autorización de comercialización en Europa están financiados en España por el SNS**.

04

Resulta preocupante **el frenazo de la llegada de la innovación a España**, como muestra el hecho de que aún 18 medicamentos huérfanos no tienen CN y que la mayoría (el 61%) disponen de autorización comercial desde hace más de un año. **Las dificultades en el acceso** podrían explicar este retraso tan perjudicial para la calidad de vida de los pacientes con enfermedades minoritarias en España.

05

Como se viene corroborando en los últimos informes de acceso, **una de las barreras más importantes es, sin duda, el tiempo de espera** hasta su incorporación en el SNS. A día de hoy, el tiempo promedio entre el CN y esta incorporación es de **24 meses**, muy lejos de los 6 meses deseables como tiempo medio máximo.

06

A fecha 31 de diciembre de 2021, **55 tratamientos con CN** están pendientes de una decisión favorable de precio y reembolso, de los cuales, un **51% llevan esperando más de 3 años**. Para AELMHU esto supone una **pérdida de competitividad para nuestro país**, ya que puede desincentivar la llegada de nuevos tratamientos.

07

Las **terapias avanzadas con designación huérfana**, considerados los tratamientos con más perspectivas de futuro, se encuentran en una **situación similar al resto de MM.HH.**, tanto en su financiación como en los tiempos de espera.

08

El enorme impacto generado por la pandemia a todos los niveles, ha supuesto un **impulso sin precedentes en la investigación farmacéutica**, que ha tenido también su reflejo en el ámbito de los medicamentos huérfanos. Ello dará lugar a **nuevas y esperanzadoras terapias** con capacidad para mejorar la vida de los pacientes con enfermedades poco frecuentes en los próximos años.

09

Estas favorables perspectivas requieren, a su vez, de **un nuevo modelo de acceso, aprobación y financiación más ágil, transparente y predecible**, para evitar que España se quede atrás.

10

Para AELMHU, la aceleración en la investigación y desarrollo de nuevos medicamentos huérfanos supone una gran oportunidad que debería estimular la **suma de esfuerzos de todos los agentes implicados para situarnos en primera línea en eficiencia, capacidad de respuesta y atractivo**.

11

En este sentido, AELMHU se pone a disposición de todos los agentes que intervienen en este proceso, para **aunar fuerzas para encontrar soluciones que mejoren la calidad de vida de las personas con enfermedades raras**.

Bibliografía

- 01 [Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento:](#)
- 02 [Registro Comunitario de Medicamentos Huérfano:](#)
- 03 [Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS:](#)
- 04 [Medicamentos Huérfanos financiados por el SNS \(Nomenclátor\):](#)
- 05 [Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos:](#)

Acrónimos

EMA: Agencia Europea del Medicamento.

OD: Orphan Designation.

AC: Autorización de Comercialización.

UE: Unión Europea.

CN: Código Nacional.

SNS: Sistema Nacional de Salud.

AEMPS: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

MM.HH.: Medicamentos Huérfanos.

CHMP: Comité de Medicamentos de Uso Humano.

COMP: Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos.

CIPM: Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos.

aeLmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

comunicacion@aelmhu.com



Resumen ejecutivo elaborado por:



LASKER

Informe elaborado por:



Arte: *Unmaculada Cagliostro*
+++23MONALISAS