

## PRIMER INFORME SOBRE LOS IPT DE MM.HH.

# ESPAÑA TARDA UN AÑO EN EVALUAR LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS APROBADOS POR EUROPA

- Un 40% de los IPT de MM.HH. iniciados en el periodo 2013-2022 todavía no está publicado
- En 38 de 52 MM.HH. financiados, el IPT se publicó con posterioridad a la resolución favorable de precio y reembolso
- La implantación de REvalMed no ha mejorado los tiempos de evaluación ni la transparencia del proceso evaluador

**Madrid, 4 de julio de 2022.**- La evaluación de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) está retrasando el acceso a la innovación por parte de los pacientes españoles con Enfermedades Raras (EE.RR.). Esta es la principal conclusión que se desprende del primer **Análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de MM.HH.** elaborado en nuestro país. Un proyecto pionero desarrollado por la **Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)** en su objetivo de proporcionar el mayor número de datos e indicadores de acceso en España.

A pesar de que todos los MM.HH. superan un exhaustivo análisis por parte de la Agencia Europea del Medicamento (EMA), en el que participan las agencias de los distintos Estados Miembro, cuando llegan a nuestro país inician un largo proceso de reevaluación en el que las instituciones españolas vuelven a examinar su eficacia, así como el impacto presupuestario que causan.

Esa evaluación se articula a través de los denominados Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT), una herramienta inexcusable para lograr la financiación pública de los tratamientos, y que a pesar de los esfuerzos de agilización realizados por el Ministerio de Sanidad en 2020 con la creación de la Red de Evaluación de Medicamentos (REvalMed), los datos muestran una demora en el acceso a los tratamientos de casi un año.

Según los principales resultados que arroja este estudio\* de AELMHU, en nuestro país se han iniciado un total de 415 IPT desde 2013, de los que un 29% (122) se corresponden con MM.HH. que desarrollan terapias en un gran número de áreas, entre las que destacan la oncología (30%), los productos metabólicos (21%) y los antineoplásicos e inmunomoduladores (10%).

De esos 122 IPT de MM.HH., están pendientes de publicación 49 (el 40%), mientras que solo disponen de financiación pública un 43% de los mismos. Además, en 38 de 52 MM.HH. financiados, el IPT se publicó con posterioridad a la resolución favorable de precio y reembolso.

Por otro lado, el tiempo de tramitación de los IPT de MM.HH. es, en todos los ejercicios, mayor que para el total de medicamentos, lo que demuestra que la información no es tan ágil como debería, **convirtiendo el acceso a la innovación terapéutica en el ámbito de las EE.RR. en un proceso cada vez más lento e impredecible.**

Actualmente, nuestro país tarda un 70% más en evaluar los productos huérfanos que cuando se crearon los IPT, pasando de un promedio de 214 días entre el inicio del expediente y su envío a Cartera Común en 2013, a los **363 días actuales** para los MM.HH. evaluados por el programa piloto de REvalMed.

Para AELMHU, los MM.HH. deben tener unos criterios de evaluación económica que tengan en cuenta las particularidades de estas enfermedades con poca prevalencia, y es importante poner en valor que las necesidades no cubiertas que estos medicamentos tratan requieren de un abordaje precoz en el acceso.

La aceleración en la investigación y desarrollo de nuevos MM.HH. supone una gran oportunidad que debería estimular la suma de esfuerzos de todos los actores involucrados para situar a España en primera línea en eficiencia, capacidad de respuesta y atractivo en el ámbito científico-sanitario.

Sin embargo, REvalMed no está dando los resultados esperados, ya que los criterios de priorización no son claros, falta transparencia en el seguimiento y la coordinación en los trabajos del Grupo Coordinador, lo que está retrasando el acceso para los pacientes españoles. Y, como viene reclamando la propia Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), es necesario dotar a este organismo de los suficientes medios económicos y humanos para hacer frente a un volumen ingente de expedientes que crece cada año.

Por ello, AELMHU aboga por la creación de una plataforma de evaluación basada en un modelo homogéneo de transparencia, gobernanza y publicidad adecuado que facilite el acceso de los MM.HH., para mejorar la calidad de vida de las personas con EE.RR.

\* Análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico iniciados entre 2013 y marzo 2022 y con fecha de publicación anterior al 13 de mayo de 2022.

## 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 ultrararas. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Actualmente, los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Disease, Alnylam, AMRYT Pharma, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Ferrer, GenSight Biologics, Inmed, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases, Sanofi, SOBI, Takeda, UCB, Ultragenyx y Vertex Pharmaceuticals.

