

RESUMEN EJECUTIVO

Análisis **ae**lmhu
sobre los Informes de
Posicionamiento
Terapéutico en
Medicamentos Huérfanos
2013 – 2022¹

aelmhu

1 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.

ÍNDICE

01 PRESENTACIÓN

02 METODOLOGÍA

03 LA EVALUACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS EN ESPAÑA

- Los Informes de Posicionamiento Terapéutico
- REvalMed
 - Introducción
 - Composición y equipos
 - Metodología

04 PRINCIPALES DATOS Y RESULTADOS

- Informes iniciados desde la creación de los IPT hasta marzo de 2022
- Informes publicados desde la creación de los IPT hasta mayo de 2022
- Análisis del promedio de tiempos
 - Desde la autorización de la EMA al inicio del IPT
 - Desde el inicio del IPT al envío a Cartera Común
 - Entre el envío a Cartera Común y la publicación
 - Desde el inicio del IPT hasta su publicación
- Análisis de los IPT sobre MM.HH. por área terapéutica
- Análisis del estado de financiación de los IPT iniciados sobre MM.HH.
- Análisis de los IPT iniciados sobre MM.HH. con informe Génesis
- IPT de Terapias Avanzadas con designación huérfana
- IPT de nuevos productos que se han publicado entre 2020 y mayo de 2022
- IPT Piloto REvalMed

05 CONCLUSIONES AELMHU

06 ACRÓNIMOS

07 FUENTES

01 PRESENTACIÓN

La Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) presenta la primera edición de su **Análisis sobre los Informes de Posicionamiento Terapéutico en Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España**, un estudio de nueva creación en nuestro país que profundiza en la situación de la evaluación terapéutica de los productos huérfanos y ultrahuérfanos a lo largo de los últimos 9 años (entre 2013 y marzo/mayo de 2022), mediante el desarrollo de indicadores comparativos con respecto al total de medicamentos, revisados en función del tipo de producto, área terapéutica, ejercicio de inicio y plazos de tramitación.

Como AELMHU viene afirmando desde su creación en el año 2011, por el tipo de patologías que tratan, los MM.HH. no pueden ser objeto de los datos de evidencia clínica y los criterios de evaluación económica que son aplicables a los tratamientos para enfermedades más prevalentes. Las necesidades no cubiertas que estos productos vienen a tratar y requieren de un abordaje precoz en el acceso.

Sin embargo, según el último informe de acceso de los MM.HH. en España elaborado por la Asociación, a fecha 30 de abril de 2022, de los 181 con nombre comercial y designación huérfana positiva por la Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés), 132 con autorización de comercialización, **solo 58 están financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS). Además, el tiempo medio para obtener dicha financiación es de 32 meses**, muy lejos del tiempo medio máximo de 180 días previsto en el Real Decreto (RD) 271/1990 ([artículo 3.4º](#)).

La paradoja reside en que si bien la eficacia de los MM.HH. que llegan a nuestro país ya ha sido acreditada por la EMA, **uno de los elementos que más demora el acceso a la innovación por parte de los pacientes españoles en el campo de las enfermedades raras, es el retraso en la realización de la evaluación terapéutica de los mismos.**

Por eso, con este nuevo informe, AELMHU quiere profundizar en su objetivo de analizar los principales indicadores de acceso de los MM.HH. en España, para **poner la máxima información a disposición de todos los interesados** -asociaciones de pacientes, administraciones públicas, personal sanitario, comunidad científica y sociedad civil- **y así evaluar juntos la disponibilidad de los tratamientos huérfanos presentes y futuros.**

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

02 METODOLOGÍA²

El presente resumen ejecutivo ha sido elaborado por Lasker, sobre la base de las conclusiones propuestas por los Grupos de Trabajo de AELMHU, en base a la información extraída por Bioinnova Consulting, atendiendo a la siguiente metodología:

- Revisión de las Notas Informativas de las reuniones del Grupo de Coordinación de Posicionamiento Terapéutico y del Grupo Coordinador REvalMed desde junio de 2013 (primera reunión publicada) a marzo de 2022, recopilando la información presente acerca de los IPT en el periodo mencionado.
- Contraste de dicha información con fuentes oficiales a fin de analizar cuáles de estos medicamentos presentan designación huérfana, identificando las fechas relevantes:
 1. Fecha en la que el medicamento obtuvo opinión positiva del Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP).
 2. Fecha en la que el medicamento obtuvo autorización de comercialización (AC) de la EMA.
 3. Fecha en la que la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) anuncia que empieza a trabajar el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT).
 4. Fecha en la que la AEMPS anuncia que se acuerda el envío del IPT a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia (DGCCSYF) del Ministerio de Sanidad.
 5. Fecha en la que se publica el IPT en la página web de la AEMPS.
 6. Estado de financiación y fecha en la que se financia el medicamento por el SNS.
- Cálculo de los siguientes KPI:
 1. Meses transcurridos desde el inicio del IPT hasta la obtención de la AC de la EMA.
 2. Meses transcurridos desde el inicio del IPT hasta que se acuerda su envío a la DGCCSYF.
 3. Meses transcurridos desde su envío a la DGCCSYF hasta la publicación del mismo³.
 4. Meses transcurridos desde el inicio del IPT hasta su publicación definitiva.
 5. Meses transcurridos desde la publicación del IPT a su financiación por el SNS (MM.HH.).
- Los KPI calculados se han plasmado en este informe. Los gráficos de los tiempos corresponden al tiempo promedio de los IPT iniciados en un año concreto, para así poder ver su evolución anual.

² Solo se han analizado los IPT elaborados para NUEVOS PRODUCTOS (no se han tenido en cuenta los IPT elaborados para nuevas indicaciones).

³ Contemplados todos los IPT publicados con fecha de publicación anterior al 13/05/2022.

03 LA EVALUACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS EN ESPAÑA

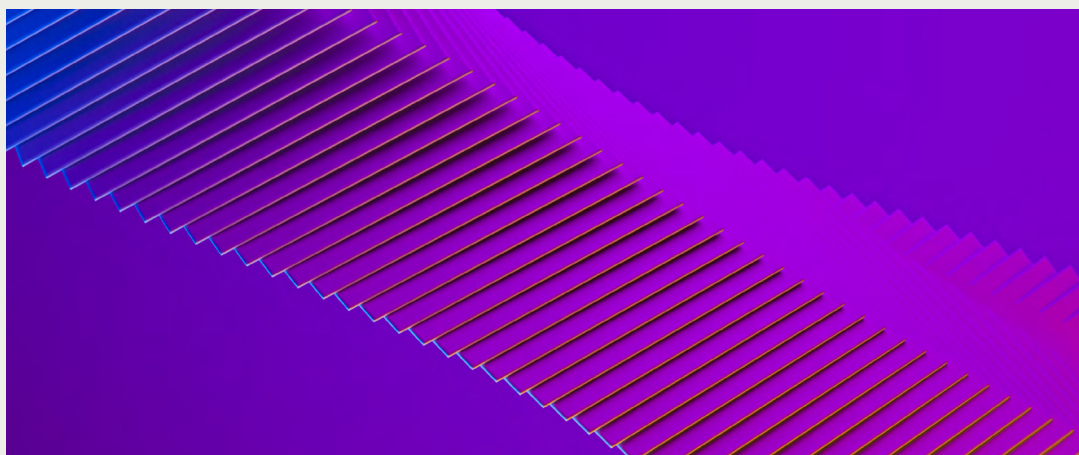
Los Informes de Posicionamiento Terapéutico

La sostenibilidad del SNS es esencial para su supervivencia a medio y largo plazo. Contando con unos recursos limitados, su uso eficiente es un acto de responsabilidad que incluye la financiación selectiva de fármacos.

Por eso, **tras la autorización de comercialización de un nuevo medicamento a nivel europeo, se inicia en el ámbito nacional un proceso de decisión sobre su financiación pública teniendo en cuenta su “utilidad terapéutica” o “posicionamiento” en la prestación farmacéutica**, es decir, su eficacia frente a otras alternativas disponibles, su eficiencia y el impacto presupuestario que éste causa.

En este contexto, el 21 de mayo de 2013 nacen en nuestro país los llamados **“Informes de Posicionamiento Terapéutico”**, un sistema de evaluación en red a través del Grupo de Coordinación de Posicionamiento Terapéutico (GCPT) - coordinado por la AEMPS y con representación de la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia (DGCCSYF) y las Comunidades Autónomas (CC.AA.) -, que surge con el objetivo de evaluar la evidencia científica como herramienta para la toma de decisiones de precio y reembolso por parte del Sistema Nacional de Salud (SNS).

Esta “Propuesta de colaboración para la elaboración de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los medicamentos”, nació en el seno del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (CISNS), con el consenso de las Comunidades Autónomas (CC.AA.), la AEMPS y DGCCSYF, y aprobado por la Comisión Permanente de Farmacia (CPF) y constaba de dos fases:



FASE I: EVALUACIÓN DE LA EFECTIVIDAD Y SEGURIDAD

Cuando el medicamento obtiene la opinión positiva del Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) de la Agencia Europea del Medicamento, se inicia el procedimiento. El primer informe es elaborado por la AEMPS y, a posteriori, discutido con una o más Comunidades Autónomas, a través de teleconferencias. Cuando el borrador está consensuado, entran en juego los agentes externos, como son las sociedades científicas del ámbito, asociaciones de pacientes y el propio titular de la autorización, que pueden aportar las observaciones y comentarios que crean oportunos.

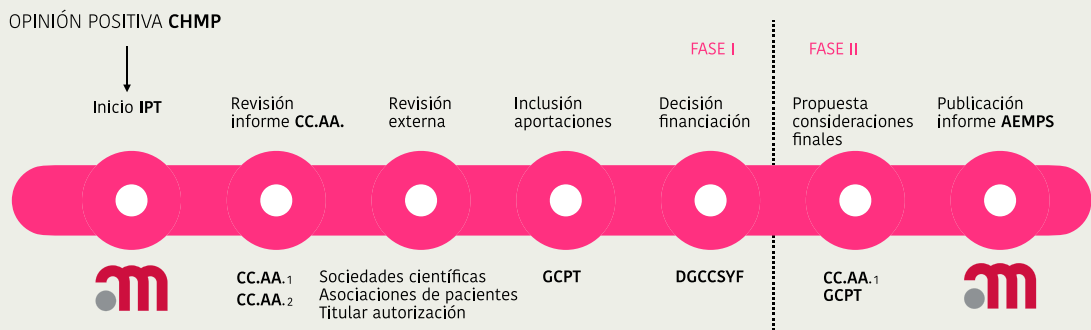
Una vez recogidas todas las aportaciones externas, es el GCPT quién las incluye en el informe, finalizando así la Fase I con el envío del mismo a la DGCCSYF para la decisión de financiación.

FASE II: PROPUESTA DE CONSIDERACIONES FINALES

Una de las CC.AA. que ha participado en la fase anterior realiza una propuesta de consideraciones finales para el GCPT sobre el uso del medicamento.

Finalmente, el informe es publicado en la página de la AEMPS, quedando público y accesible.

CRONOGRAMA DE ELABORACIÓN DEL IPT HASTA 2020



REvalMed

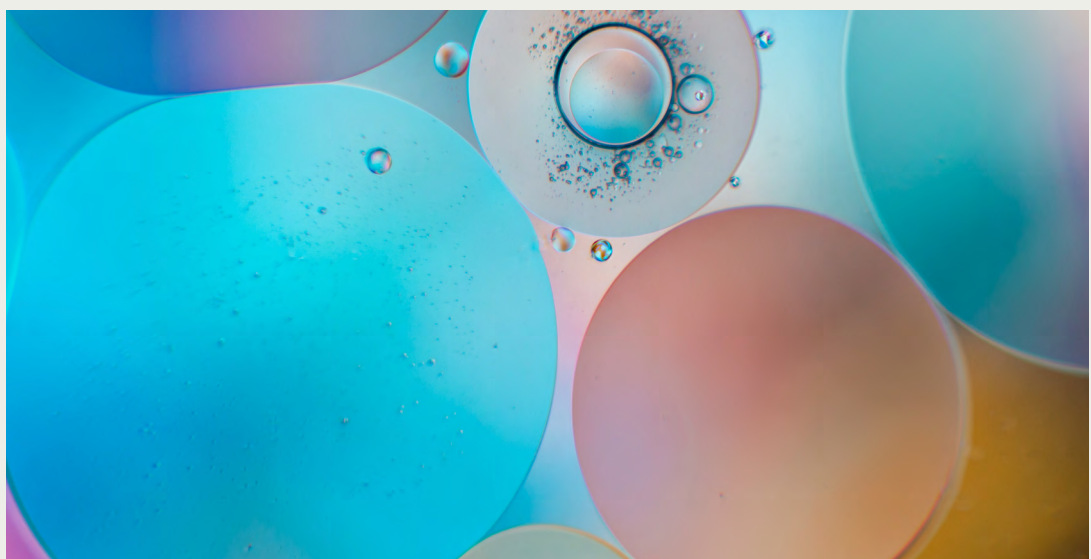
INTRODUCCIÓN

En el año 2020, tras 7 años siguiendo este procedimiento, y con un total de 337 informes realizados⁴, el Ministerio de Sanidad consideró preciso actualizar el trámite de evaluación ya que un incremento considerable en el número de IPT iniciados, sobre todo para nuevas indicaciones, estaba generando retrasos en la evaluación terapéutica hasta alcanzar, en algunos casos, los 40 meses.

En este entorno de gran exigencia no existían, además, criterios de priorización. El procedimiento previsto inicialmente carecía de herramientas que permitieran establecer una prelación en la tarea de resolución de las demoras. Más aún, de forma general se establecían las segundas indicaciones como no prioritarias, lo que terminaba provocando dificultades adicionales en el acceso cuando el medicamento ya estaba aprobado y disponible en los centros sanitarios.

Así, el 3 de febrero de 2020 y bajo el nombre **“Plan para la consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los Medicamentos en el Sistema Nacional de Salud”**, el Ministerio de Sanidad introdujo cambios metodológicos como el trabajo en nodos a través de la Red de nueva creación **“Red de Evaluación de Medicamentos” (REvalMed)**, y la inclusión de la evaluación económica.

La Red de evaluación REvalMed, que sustituye al GCPT en el Plan de 2013, tiene como objetivo elaborar el borrador del IPT y se divide en tres equipos diferentes, con funciones específicas, y un Grupo Coordinador.



⁴ Teniendo en cuenta IPT para nuevos productos y para nuevas indicaciones.

COMPOSICIÓN Y EQUIPOS

01 EQUIPO DE EVALUACIÓN TERAPÉUTICA:

Encargado de elaborar los apartados terapéuticos del IPT, está formado por miembros de la AEMPS y la DGCCSYF, pudiendo estar apoyado por las CC.AA. Este equipo es el primero en realizar el borrador del IPT, **contando con 20 días hábiles por informe.**

02 EQUIPO DE EVALUACIÓN FARMACOECONÓMICA:

Una vez finalizado el borrador de la evaluación terapéutica, este conjunto compuesto por miembros de la DGCCSYF, pudiendo estar apoyado por las CC.AA., procederá a realizar la evaluación económica, **con un tiempo máximo de 10 días hábiles por informe.**

03 NODOS DE EVALUACIÓN:

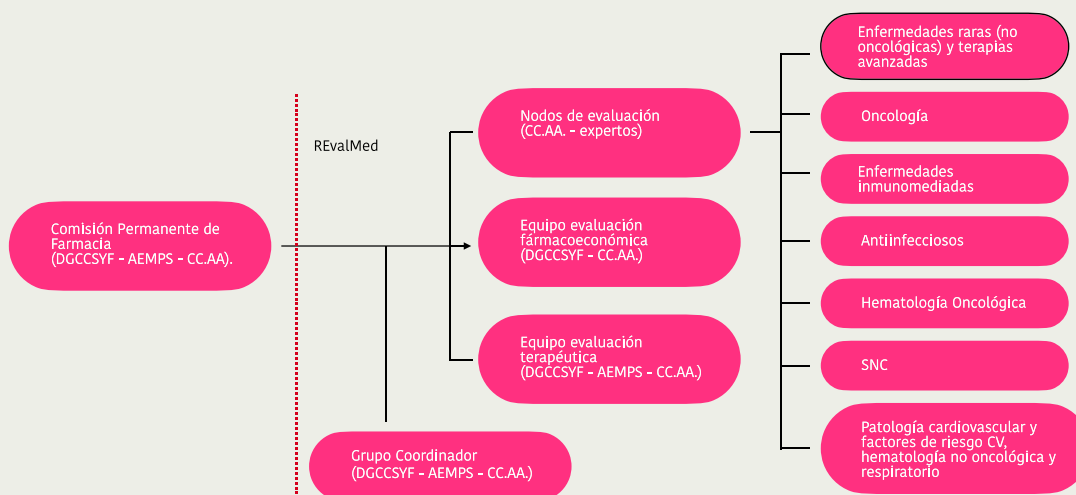
Formados por expertos gestores y clínicos designados por algunas CC.AA. (al menos 2: una coordinadora y una co-coordinadora), que coordinarán el nodo durante 2 años, después de los cuales cambiarán sus responsabilidades para estar al cargo 2 años más. Los nodos revisarán el borrador del IPT y realizarán las aportaciones que crean **oportunas en 30 días naturales.**

04 GRUPO COORDINADOR:

Finalmente, la gestión de la Red recae en manos de este equipo, formado por el subdirector General de Calidad y Medicamentos de la DGCCSYF, el jefe de Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS, los coordinadores de los nodos de evaluación y los representantes de las CC.AA. que no estén coordinando nodos. Entre sus funciones se encuentran las de identificar, priorizar y aprobar los IPT a desarrollar.



COMPOSICIÓN DE LA RED DE EVALUACIÓN DE REVALMED



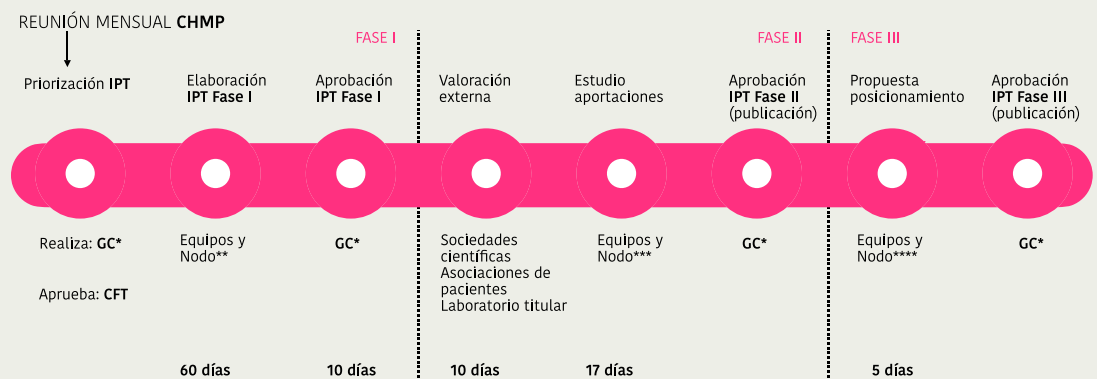
METODOLOGÍA

La metodología de trabajo en REvalMed se basa en los siguientes ejes:

- **Priorización de los IPT por parte del Grupo Coordinador:** tras la reunión mensual del CHMP, el Grupo Coordinador propone a la CPF una priorización de los IPT acorde a la matriz de priorización descrita en el Plan, un vector que engloba criterios como cubrir una necesidad no cubierta, tener un beneficio clínico o un perfil de seguridad incremental respecto a las alternativas terapéuticas, si es una nueva indicación o el interés general para el SNS respecto al medicamento en cuestión.
- **Los equipos elaboran el primer borrador del IPT:** el texto se debate y aprueba en la reunión del Grupo Coordinador obteniendo el IPT en Fase I.
- **Envío del IPT en Fase I a los agentes externos (Sociedades científicas, asociaciones de pacientes y laboratorio titular) para que éstos emitan sus aportaciones en un máximo de 10 días hábiles.** Los cambios serán revisados y actualizados en el borrador del IPT por los Equipos de evaluación terapéutica y farmacoeconómica según corresponda, en un máximo, también, de 10 días hábiles.
- **Revisión del documento por el nodo de evaluación correspondiente (7 días hábiles):** una vez revisado, el Grupo Coordinador debatirá la aprobación del IPT, que se pasará a denominar IPT en Fase II y será público. Este será la base para que desarrolle la resolución de precio y reembolso.
- **Una vez determinada la financiación por la DGCCSYF, se incorpora finalmente la evaluación.** Lo hacen de forma conjunta entre los 3 equipos, en un plazo de 5 días hábiles.

- Finalmente, **el Grupo Coordinador aprueba el documento**, que pasa a denominarse IPT en Fase III.

PROCESO DE ELABORACIÓN DEL IPT CON REvalMed



CLAVES DE REvalMed

- Nuevos criterios para mejorar el rendimiento de la herramienta
- Trabajo en red
- Incorporación de la evaluación farmacoeconómica
- Priorización
- Limitación de los tiempos de cada fase



*GC: Grupo Coordinador.

**Equipos y Nodo: Equipo evaluación terapéutica (20 días) y Equipo evaluación farmacoeconómica (10 días). Valoración por el Nodo/s de evaluación correspondiente/s (30 días). Los Nodos de evaluación son elegidos por la SG de Calidad y Medicamentos y el Jefe de Medicamentos de UH.

***Equipos y Nodo: Equipo evaluación terapéutica y Equipo evaluación farmacoeconómica (10 días). Valoración por el Nodo/s de evaluación correspondiente/s (7 días).

****Equipos y Nodo: Equipo de evaluación terapéutica, equipo de evaluación farmacoeconómica y coordinador y co-coordinador del Nodo/s correspondiente/s.

04 PRINCIPALES DATOS Y RESULTADOS

Informes iniciados desde la creación de los IPT hasta marzo de 2022⁵

Entre 2013 y marzo de 2022, se iniciaron en España 415 IPT en total, de los que un 29% se correspondían con MM.HH. y el 71% restante, con otros tipos de medicamentos.

Entre los productos de carácter general (no huérfanos):

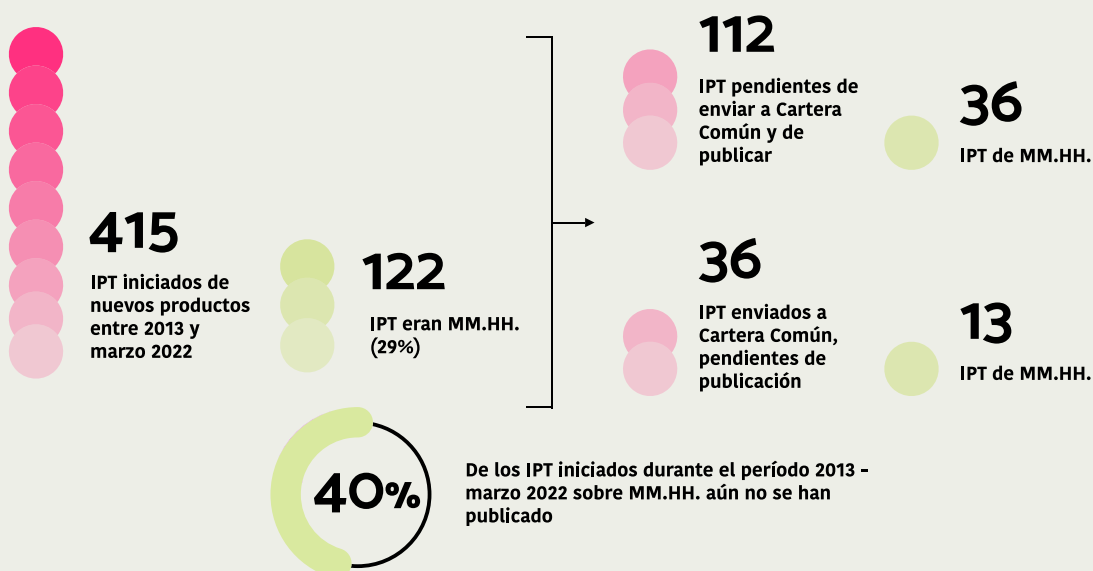
- El 66% fueron enviados a Cartera Común y publicados (194).
- El 8% fue enviado a Cartera Común, pero todavía están pendientes de publicación (23).
- Y el 26% siguen pendientes, tanto de enviar a Cartera Común, como de publicación (76).

En cuanto a los IPT específicamente iniciados para MM.HH.:

- El 60% fueron **enviados** a Cartera Común y **publicados** (73).
- Un 11% sí ha sido **enviado** a Cartera Común **pero no publicado** (13).
- Y el 29% todavía están **pendientes, tanto de publicación como de envío** (36).

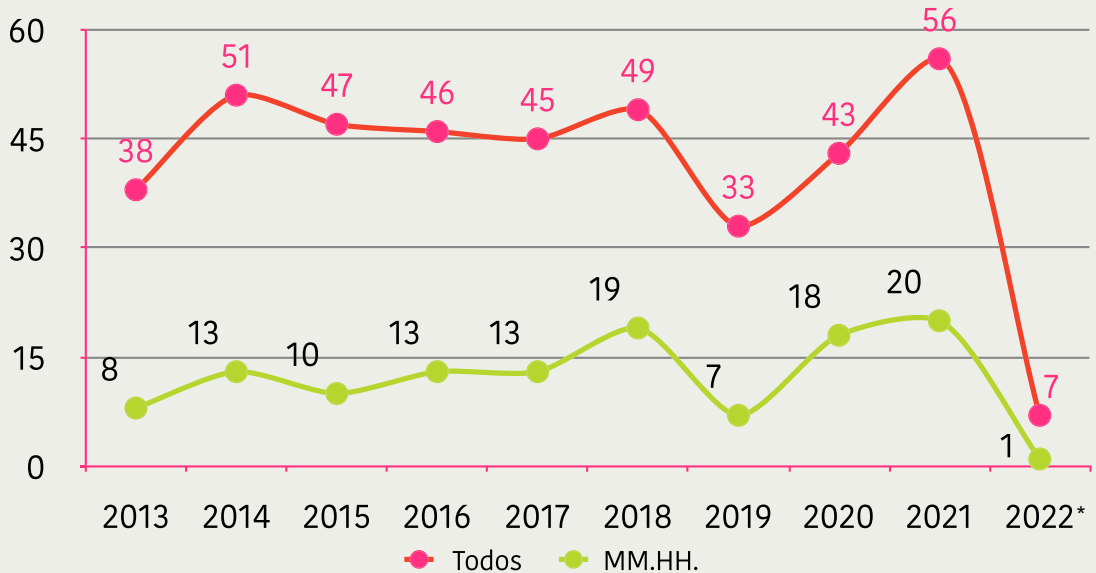
Por tanto, un 34% del total de IPT iniciados en España entre 2013 y 2022 no ha sido publicado, el 40% si hablamos de IPT de MM.HH.

IPT INICIADOS DURANTE EL PERÍODO 2013 - 2022



⁵ Revisados los IPT con fecha de publicación hasta 13/05/2022.

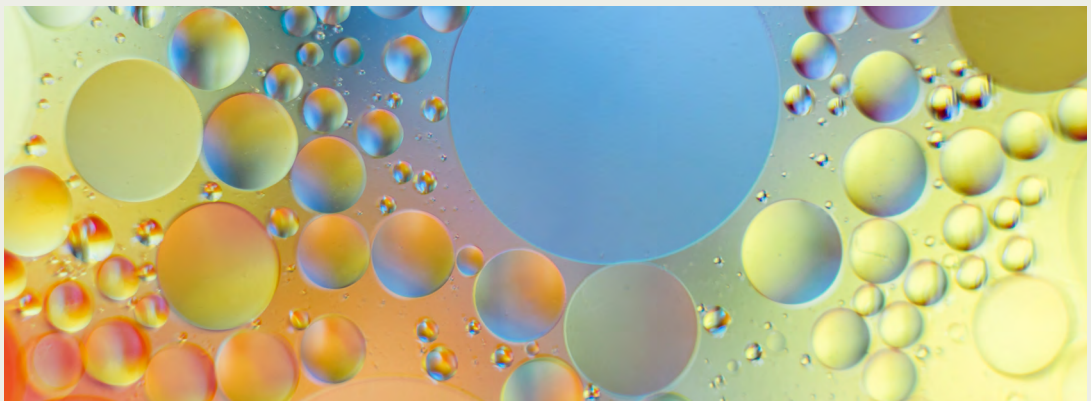
EVOLUCIÓN DEL NÚMERO DE NUEVOS IPT INICIADOS POR AÑO



Con carácter general, **el año que más IPT se iniciaron en España fue el ejercicio 2021**, con un total de 56 informes, seguido de 2014 con 51, y 2018 con 49.

Si analizamos específicamente las cifras de IPT relativos a MM.HH., los años 2021, 2018 y 2020, con 20, 19 y 18 expedientes iniciados, son los ejercicios de mayor actividad y también los periodos en los que los MM.HH. representaron una mayor proporción con respecto al total general de la evaluación (36%, 39% y 42%), respectivamente.

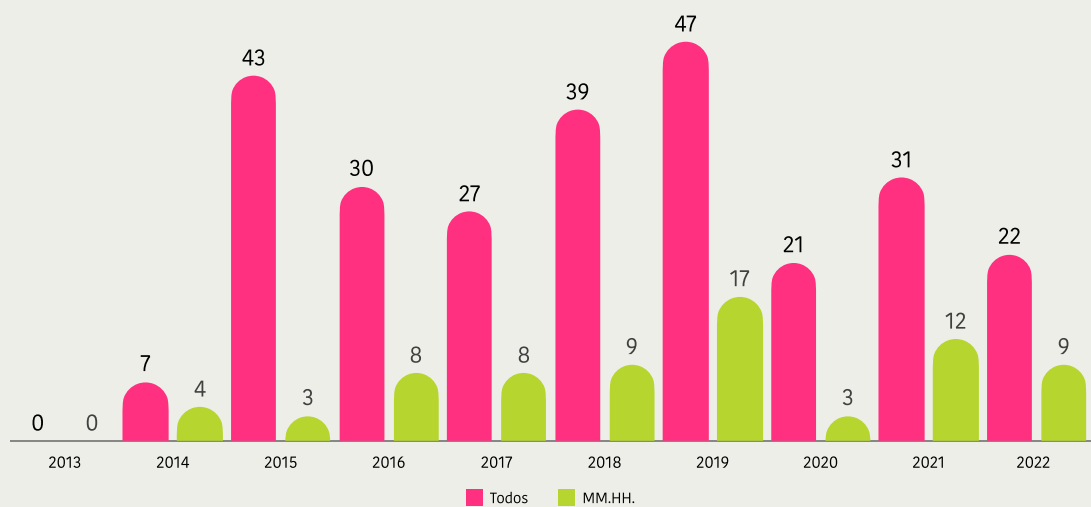
Se aprecia, asimismo, una importante progresión en el número de IPT de **MM.HH. desde la creación de esta figura hasta el año 2018, aumentando un 137,5% en algo más de 5 años** y permaneciendo en cifras más o menos estables hasta marzo de 2022.



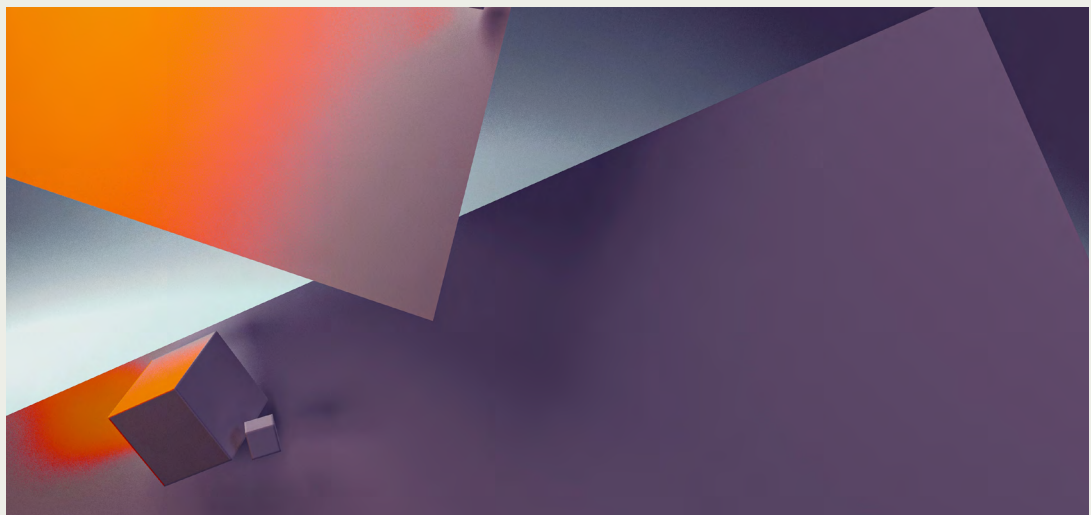
* Revisados los IPT con fecha de inicio hasta marzo de 2022.

Informes publicados desde la creación de los IPT hasta mayo de 2022

EVOLUCIÓN DEL NÚMERO DE IPT PUBLICADOS POR AÑOS ⁶



Por otro lado, el año que más IPT en cómputo global se publicaron en nuestro país fue 2019, con 47 informes publicados, seguido de 2015 (43) y 2018 (39). Si analizamos el número de IPT de MM.HH., los años de mayor publicación son 2019 (17), 2021 (12) y 2018 (9). Entre los meses de enero y mayo de 2022, ya se han publicado 9 IPT de MM.HH.



⁶ Revisados los IPT con fecha de publicación hasta 13/05/2022.

Análisis del promedio de tiempos

DESDE LA AUTORIZACIÓN DE LA EMA AL INICIO DEL IPT

Normalmente, la tramitación del IPT se inicia entre 1 y 2 meses antes de la autorización de comercialización de la EMA, una vez que el producto ha obtenido una opinión positiva del CHMP.

Entre el año 2013 y 2021, la media de tiempo entre el inicio del IPT y la AC de la EMA fue de 1,2 meses, 1,1 en el caso de MM.HH.

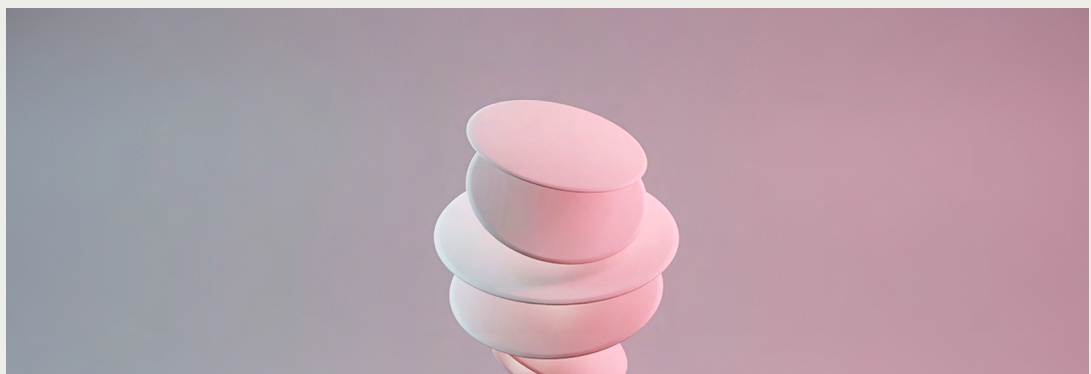
Solo en 4 casos, el inicio del IPT de un MM.HH. se retrasó más de un año desde la AC de la EMA, y fue en productos que obtuvieron la AC entre 2011 y 2012.

DESDE EL INICIO DEL IPT AL ENVÍO A CARTERA COMÚN

Entre los años 2013 y 2021⁷, **el tiempo promedio entre el inicio del IPT de MM.HH. y el envío a Cartera Común ha crecido un 31%**, lo que supone **un 25% más que el aumento experimentado para el global de los IPT de todos los medicamentos (+6%)**.

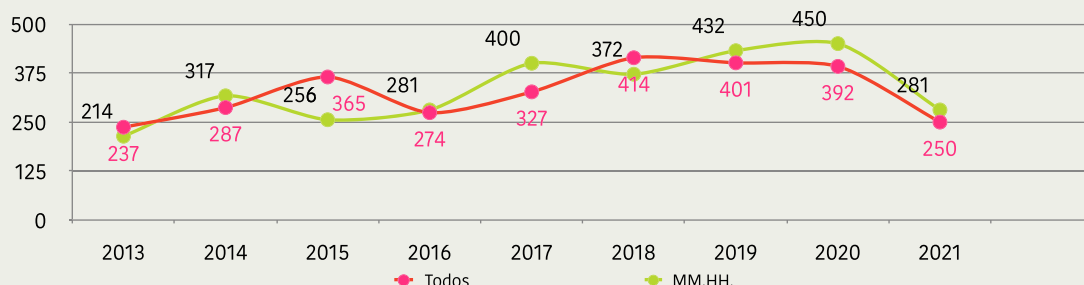
Los ejercicios en los que este indicador mostró un mayor retraso fueron el año 2018, con 414 días, para los IPT iniciados en conjunto, y el 2020, con 450 días, para los IPT comenzados de MM.HH. **En cambio, el año con menores retrasos fue, en ambos, casos, 2013**, con 237 y 214 días, respectivamente.

Los datos de 2021 no resultan representativos ya que de los 56 IPT iniciados, solo 7 se han enviado a Cartera Común. En el caso de los MM.HH., de los 20 IPT iniciados, solo 4 fueron enviados a la DGCCSYF.



⁷ No aparecen en el gráfico los IPT iniciados en 2022 ya que, de los 7 iniciados hasta marzo de este ejercicio, ninguno se ha enviado a Cartera Común.

PROMEDIO DE DÍAS ENTRE EL INICIO DEL IPT Y EL ENVÍO A CARTERA COMÚN



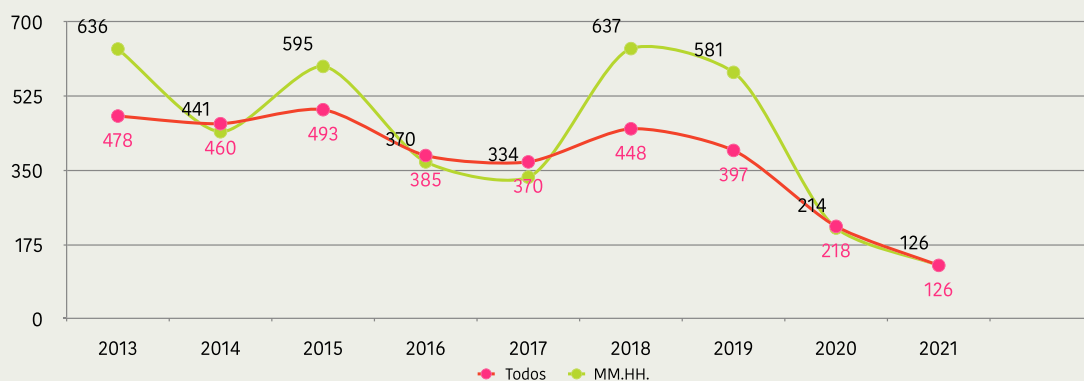
ENTRE EL ENVÍO A CARTERA COMÚN Y LA PUBLICACIÓN⁸

En general, durante los años 2013 y 2021, **el promedio de tiempo entre el envío a Cartera Común y la publicación de los IPT ha disminuido tanto para los medicamentos en cómputo global (-74%) como para los MM.HH. (-20%)**, que siempre se han mantenido más elevados.

Sin embargo, estos buenos datos, originados, fundamentalmente, por una clara disminución en el ejercicio 2021, esconden una realidad: **de los 56 IPT iniciados en ese ejercicio, todavía faltan 52 por publicar, de los que 17 son MM.HH.**

Además, de los 4 que sí han sido publicados, 3 eran de MM.HH., con 4,2 meses de media entre su envío a Cartera y su publicación.

PROMEDIO DE DÍAS ENTRE EL ENVÍO A CARTERA COMÚN Y LA PUBLICACIÓN DEL IPT⁹



⁸ No aparecen en el gráfico los IPT iniciados en 2022 ya que, de los 7 iniciados hasta marzo de este ejercicio, ninguno se ha enviado a Cartera Común ni ha sido publicado con anterioridad al 13 de mayo de 2022.

⁹ La muestra de cada año recoge el promedio entre la fecha de envío a Cartera Común y la fecha de publicación de los IPT iniciados durante ese año.

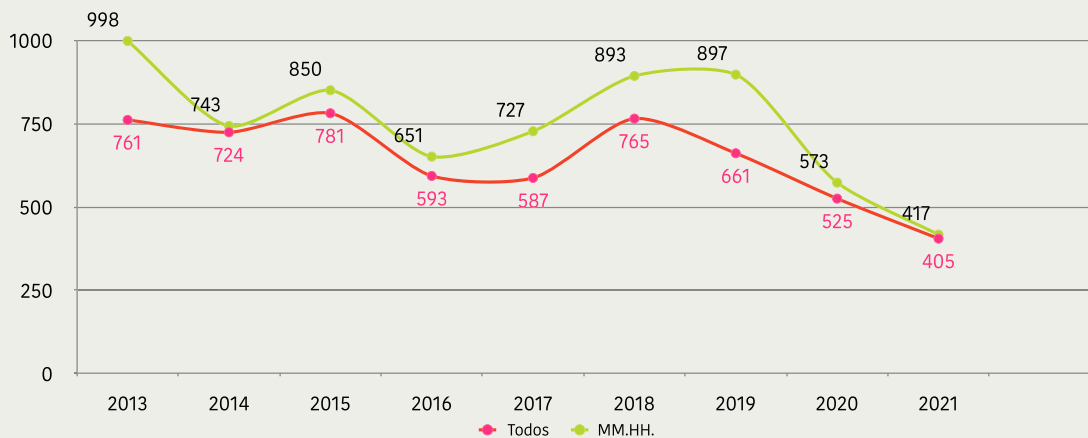
DESDE EL INICIO DEL IPT HASTA SU PUBLICACIÓN

Entre los años 2013 y 2021, **el tiempo promedio entre el inicio del IPT y su publicación ha disminuido de forma notable**, aunque, como se indicaba en el apartado anterior, la mayor parte de los IPT iniciados en 2021 (93%) todavía se encuentra sin publicar, por lo que la muestra de plazos no es representativa con respecto al total.

Los ejercicios con mayores retrasos fueron el año 2018, con 765 días para el total general, y 2013, con 998, 2019 (897) y 2018 (893) para IPT de MM.HH.

Cabe resaltar que, **en todos los ejercicios, el promedio de tiempo transcurrido entre el inicio del IPT y su publicación ha sido mayor en el caso de MM.HH. que en el total de medicamentos**, siendo los años 2013 (+237 días) y 2019 (+236 días) los ejercicios que más diferencia han mostrado (8 meses).

PROMEDIO DE DÍAS ENTRE EL INICIO DEL IPT Y SU PUBLICACIÓN

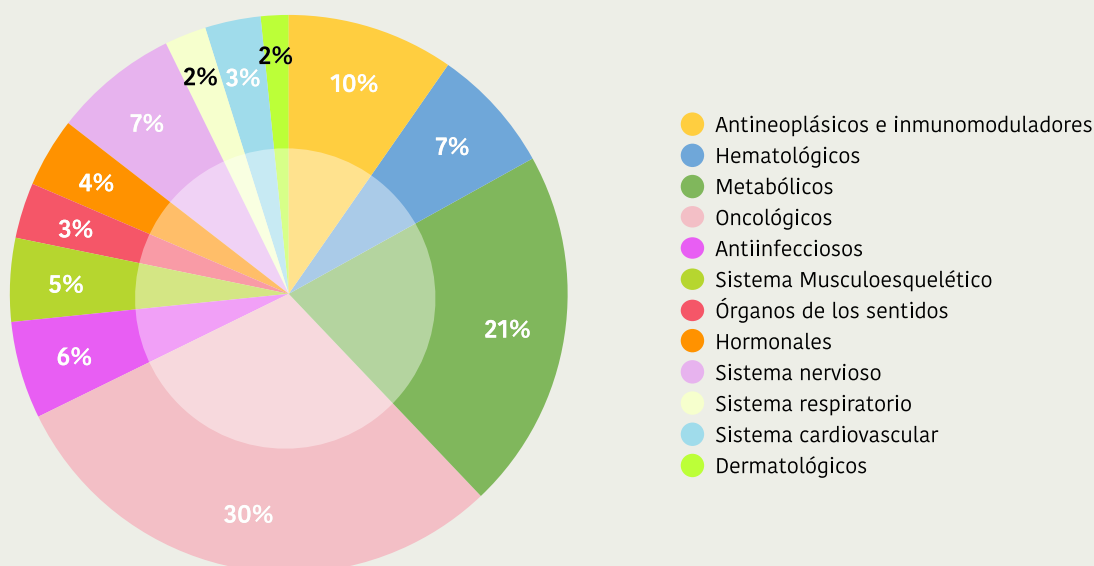


Por ejemplo, de los **43 IPT iniciados en 2020**, tan solo **14 fueron publicados, el 32%**. De ellos, **18 eran de MM.HH.**, de los que solo **3 se han publicado** y con una media de tiempo de **573 días de espera (aproximadamente 19 meses)**.

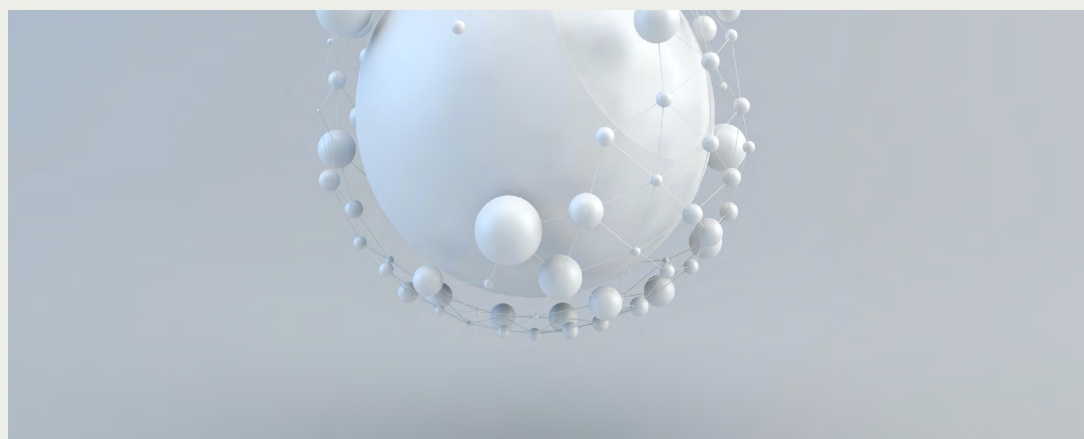
Análisis de los IPT sobre MM.HH. por área terapéutica

Por área terapéutica, de los 122 IPT sobre MM.HH. iniciados en España en el periodo 2013-marzo de 2022, **prevalecen los productos oncológicos (30%)**, seguidos de los **metabólicos (21%)** y los **antineoplásicos e inmunomoduladores (10%)**, que representan más del 60% del total.

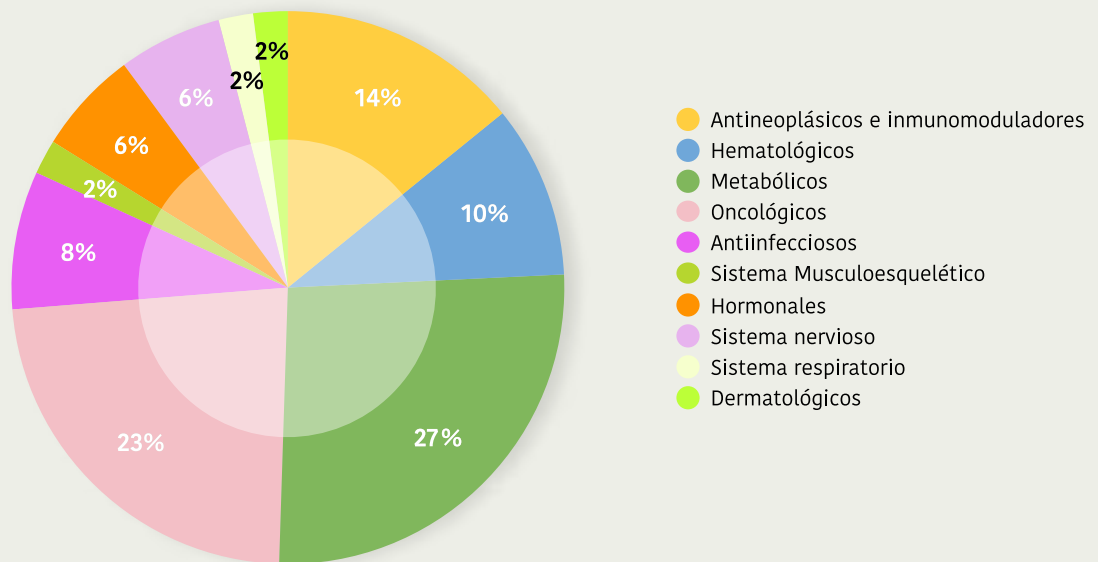
ANÁLISIS POR ÁREA TERAPÉUTICA DE LOS IPT PERTENECIENTES A MM.HH.



Las mismas áreas terapéuticas prevalecen entre el 40% de IPT de MM.HH. que, a fecha de mayo de 2022, todavía no estaban publicados. Ahora bien, en un orden y proporción diferente: metabólicos (27%), oncológicos (23%) y antineoplásicos e inmunomoduladores (14%).



ANÁLISIS POR ÁREA TERAPÉUTICA DE LOS IPT PERTENECIENTES A MM.HH. QUE NO HAN SIDO PUBLICADOS

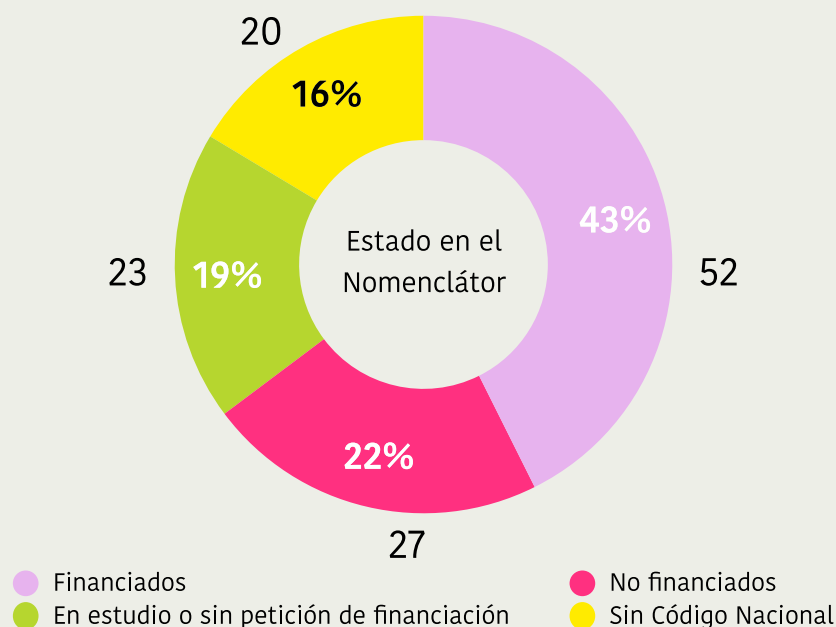


Análisis del estado de financiación de los IPT iniciados sobre MM.HH.

De los 122 IPT para MM.HH. iniciados en España, un 43% ya está financiado, mientras que del 57% restante:

- **Un 41% no está financiado por haber recibido una resolución negativa de precio y reembolso (27); o porque la petición de financiación está en estudio o no ha sido solicitada (23).**
- **El 16% restante (20 productos) son IPT de MM.HH. para los que no se ha solicitado Código Nacional (CN).**

ANÁLISIS DEL ESTADO DE FINANCIACIÓN DE LOS IPT PARA MM.HH. INICIADOS ENTRE 2013-MARZO 2022



Además, de los 52 MM.HH. financiados:

- En **38 (73%) el IPT se publicó con posterioridad** a la resolución favorable de precio y reembolso, con una diferencia en promedio de 78 días entre la financiación y la publicación (2,6 meses).
- En **9 (17%) la financiación llegó después de la publicación del IPT**, con un promedio de 487 días de espera (16,2 meses).
- **Los 5 restantes todavía no tienen IPT** (4 ni siquiera han sido enviados a Cartera Común).

En cuanto a los **IPT de MM.HH. que no tienen precio y reembolso:**

- De los 27 que obtuvieron resolución negativa, 3 todavía no tienen IPT publicado (2 sin enviar a Cartera Común).
- **De los 23 que se encuentran en estudio, solo 1 tiene IPT publicado.**

Análisis de los IPT iniciados sobre MM.HH. con informe Génesis

Como se indicó al comienzo del estudio, **todavía existen en nuestro país un 40% de IPT sobre MM.HH. pendientes de publicación**. En total, son 49 productos de los que **4 poseen informe del Grupo GENESIS**.

El Grupo GENESIS es un Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos, creado en el seno de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH), con el fin de mejorar la coordinación y colaboración entre Centros Hospitalarios para la evaluación de los medicamentos.

De los 4 medicamentos que poseen informe del Grupo Génesis:

- **1 está financiado.**
- 2 no tienen CN.
- Y 1 se encuentra en estudio o sin petición de financiación.

IPT de Terapias Avanzadas con designación huérfana¹⁰

Según la propia definición de la AEMPS, las terapias avanzadas “son medicamentos de uso humano basados en genes (terapia génica), células (terapia celular) o tejidos (ingeniería tisular) e incluyen productos de origen autólogo (del mismo individuo), alogénico (de la misma especie) o xenogénico (de otras especies)”. Representan nuevas estrategias terapéuticas y, a juicio de la Agencia y de toda la comunidad científica, su desarrollo contribuirá a ofrecer oportunidades para algunas enfermedades que hasta el momento carecen de tratamientos eficaces, como las EE.RR.

En este sentido, **el 100% de las Terapias Avanzadas con designación huérfana positiva y autorización de comercialización europea tienen su IPT iniciado (12)**. De ellas:

- El 58% tienen publicado el informe (7).
- La media de tiempo transcurrido entre el inicio del IPT y su publicación es de 592 días (20 meses).
- De los 5 IPT pendientes de publicar, 4 aún no se han enviado a Cartera Común.

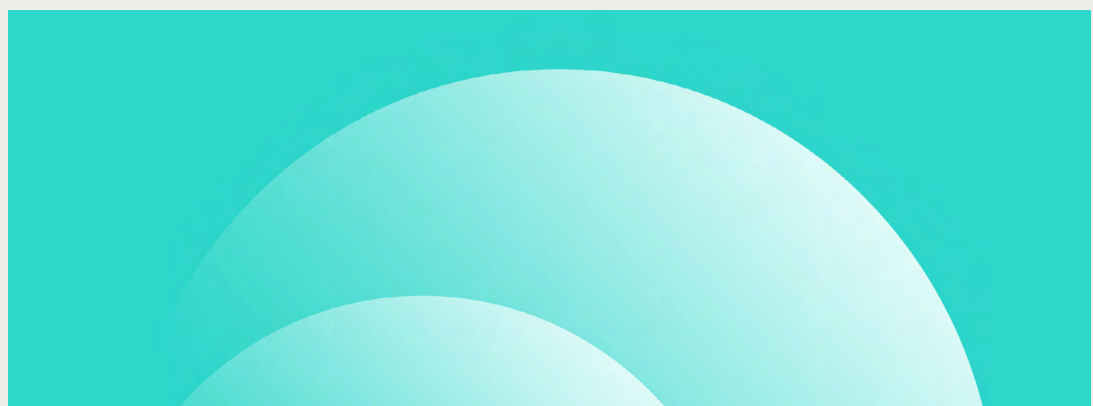
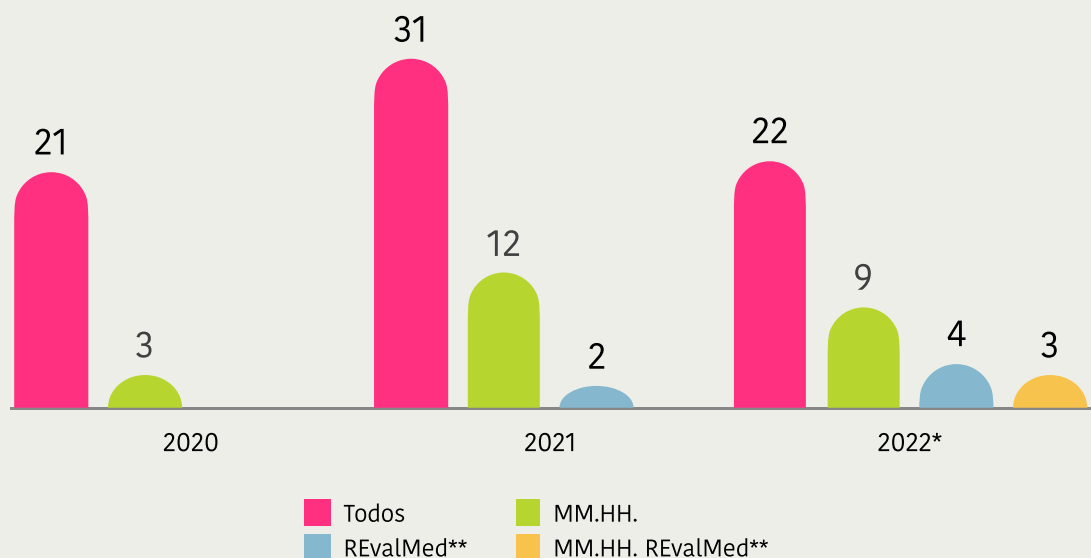
¹⁰ Revisados los IPT con fecha de publicación hasta 13/05/2022.

IPT de nuevos productos que se han publicado entre 2020 y mayo de 2022¹¹

Entre 2020 y mayo de 2022 se han publicado 74 IPT de nuevos productos en nuestro país (21 en 2020; 31 en 2021; y 22 entre enero y mayo de 2022). De ellos:

- 24 fueron sobre MM.HH., (32%).
- 6 se habían iniciado con el nuevo procedimiento de REvalMed (el 8%), la mitad de ellos de MM.HH.

Durante 2021 no se publicó ningún IPT de MM.HH. iniciado con el nuevo procedimiento y de los 22 IPT publicados en 2022, solo 4 se habían iniciado por el nuevo procedimiento REvalMed (**18%**), de los cuales **3 eran de MM.HH.**



¹¹ IPT publicados hasta la última actualización de la página web de la AEMPS - 13/05/2022.

** IPT iniciados a modo de piloto de acuerdo al nuevo procedimiento del Plan REvalMed y publicados.

IPT Piloto REvalMed

Según las actas del Grupo Coordinador de REvalMed, en total, **desde 2020 se han iniciado 20 IPT** conforme al nuevo procedimiento, de los cuales:

- 7 se corresponden con **nuevas indicaciones** (1 de ellos es MM.HH.).
 - 6 han sido publicados.
- 13 con nuevos productos (6 MM.HH.).
 - 6 han sido publicados (3 MM.HH.).

Si atendemos específicamente a los **IPT iniciados para nuevos productos**, el 46% son MM.HH., de los cuales 2 son TT.AA. (un 15% del total).

Finalmente, de los 7 IPT sobre MM.HH. que se han iniciado conforme al nuevo mecanismo (1 nueva indicación y 6 nuevos productos), **la media de tiempo transcurrido desde el inicio del informe hasta su envío a Cartera Común es de 363 días, 51 días más si esperamos a su publicación (414).**

Conviene tener en cuenta que según los plazos marcados por el Ministerio de Sanidad en el nuevo procedimiento (analizados en el apartado 3.2.3. Metodología REvalMed del presente documento) el tiempo máximo hasta el envío a Cartera Común (IPT en Fase II) debería ser de 97 días (60 en fase I y 27 en fase II), **por lo que hay un retraso de 266 días (casi 9 meses) en los nuevos IPT en el ámbito de las enfermedades raras.**



05 CONCLUSIONES AELMHU

Para AELMHU, los datos recogidos en este análisis tienen una lectura muy clara:

- 01** De un lado, demuestran **la esperanzadora progresión que se ha producido en nuestro país dentro de un ámbito tan complejo y sensible como el de los MM.HH.:** a pesar de que las EE.RR. afectan a menos de 5 de cada 10.000 pacientes, casi 3 de cada 10 medicamentos que han llegado a España eran huérfanos. De hecho, entre 2013 y 2018, el número de IPT iniciados sobre MM.HH. creció, nada más y nada menos, que un 137,5%, desarrollándose en un gran número de áreas terapéuticas, entre las que destacan la oncología (30%), los productos metabólicos (21%) y los antineoplásicos e inmunomoduladores (10%), que representan el 60% del total.
- 02** Sin embargo, a pesar de ese gran interés manifestado por investigadores y laboratorios de ahondar en este campo, y de las demandas crecientes de los miles de pacientes que buscan una solución a una de las más de 6.000 EE.RR. que, se calcula, existen en el mundo, **el acceso a la innovación en nuestro país es cada vez más lento e impredecible.**
- 03** **Uno de los elementos que más está demorando e, incluso, disuadiendo esa llegada de innovación a España son los retrasos en la evaluación.** Sirva un dato para ilustrar esta afirmación: un 40% de los informes sobre MM.HH. iniciados en nuestro país en el periodo 2013-2022, todavía no está publicado.
- 04** El instrumento REvalMed no está dando los resultados esperados. Aunque según el documento de preguntas y respuestas del Ministerio, “el tiempo estimado para la elaboración de los IPT, desde el momento de la comunicación de intención de comercialización por parte de los titulares de autorización, hasta la publicación de la fase 2 será de unos 90 días hábiles”, **actualmente el promedio de tiempo desde el inicio del informe hasta su publicación supera los 400 días, retraso mayor en todos los ejercicios de la serie histórica, si hablamos de MM.HH.**
- 05** Asimismo, si examinamos los 7 IPT sobre MM.HH. que se han iniciado conforme al nuevo Mecanismo (20 en el total general de medicamentos), **la media de tiempo transcurrido desde el inicio del informe hasta su envío a Cartera Común es de 363 días**, 51 días más si esperamos a su publicación (414). Y como se analiza en el apartado 3.2.3. Metodología RevalMed en el este documento, el tiempo máximo hasta el envío a Cartera Común (IPT en Fase II) debería ser 97 días, así que hablamos de un retraso de 266 días (casi 9 meses) en un IPT de producto para una enfermedad rara.

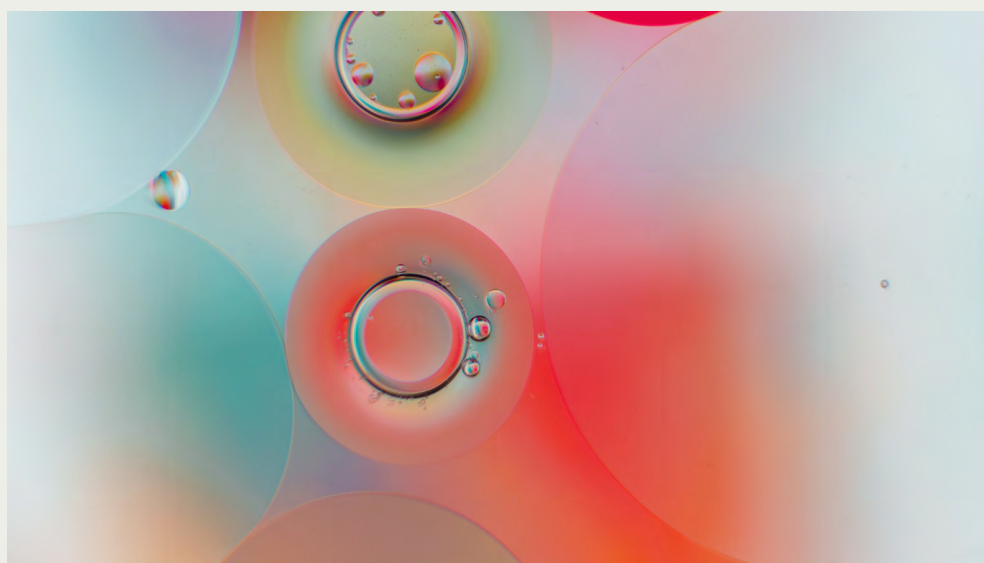
06 Además, REvalMed tampoco ha cumplido con alguno de sus objetivos:

- **No están claros los criterios de priorización.**
- **Falta transparencia en el seguimiento y la coordinación**, ya que nunca se ha hecho público el “cuadro de mando” para el control y monitorización del proceso de evaluación, anunciado por el Ministerio, con los indicadores relativos al tiempo de cada etapa, así como otros elementos de seguimiento clínico y económico de los informes.
- Y finalmente, **los trabajos del Grupo Coordinador están siendo llamativamente opacos**, sin que se tenga verdaderamente en cuenta la voz de todos los agentes implicados.

07 Como AELMHU viene afirmando desde su constitución, por el tipo de patologías que tratan, los MM.HH. no pueden ser objeto de los datos de evidencia clínica y los criterios de evaluación económica que son aplicables a los tratamientos para enfermedades más prevalentes. **Las necesidades no cubiertas que estos medicamentos vienen a tratar requieren de un abordaje precoz en el acceso.**

08 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.

09 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.



06 ACRÓNIMOS

- **AC:** Autorización de comercialización
- **AELMHU:** Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos
- **AEMPS:** Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
- **CC.AA.:** Comunidades Autónomas
- **CFT:** Comisiones de Farmacia y Terapéutica
- **CHMP:** Committee for Medicinal Products for Human Use
- **CISNS:** Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud
- **CN:** Código Nacional
- **CPF:** Comisión Permanente de Farmacia
- **DGCCSYF:** Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia
- **EE.RR.:** Enfermedades Raras
- **EMA:** European Medicines Agency
- **GC:** Grupo Coordinador.
- **GCPT:** Grupo de Coordinación del Posicionamiento Terapéutico
- **GENESIS:** Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos
- **IPT:** Informe de Posicionamiento Terapéutico
- **KPI:** Key Performance Indicators (indicadores clave)
- **MM.HH.:** Medicamentos huérfanos
- **RD:** Real Decreto
- **SEFH:** Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria
- **SNS:** Sistema Nacional de Salud
- **TT.AA.:** Terapias Avanzadas

07 FUENTES

- **Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.** Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia. Propuesta de colaboración para la elaboración de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los medicamentos. 21 de mayo de 2013. Disponible en aemps.gob.es.
- **Comisión Permanente de Farmacia. Ministerio de Sanidad.** Plan para la consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los Medicamentos en el Sistema Nacional de Salud. 3 de febrero de 2020 (Actualizado: 8 de julio de 2020). Disponible en mscbs.gob.es.
- **Preguntas y respuestas sobre regulación de medicamentos de terapia avanzada.** Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. 17 de noviembre de 2020. Disponible en aemps.gob.es.
- **Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH).** Disponible en gruposdetrabajo.sefh.es/genesis
- [Informes de Evaluación con Metodología Programa MADRE. Génesis-SEF](#)
- Notas informativas de las reuniones del Grupo de Coordinación de Posicionamiento Terapéutico y del Grupo Coordinador REvalMed. Disponible en aemps.gob.es.
- Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea de Medicamentos:
 - [https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-\(orphan\)-designations-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-(orphan)-designations-section)
 - [Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS: https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html](#)
 - [Medicamentos Huérfanos financiados por el SNS \(Nomenclátor\): https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/home.htm](#)

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



www.aelmhu.es
comunicacion@aelmhu.es

Resumen ejecutivo elaborado por:



Datos obtenidos por:



Arte

Immaculada Cagliostro
+++ **23** *Monalissas*