

de **lmhu**

RESPUESTA a la CONSULTA PÚBLICA

PROYECTO DE ORDEN
POR LA QUE SE CREA EL

**OBSERVATORIO
DE ENFERMEDADES
POCO FRECUENTES DE
LA COMUNIDAD DE
MADRID**

Y SE ESTABLECE SU
**COMPOSICIÓN,
ORGANIZACIÓN Y
FUNCIONAMIENTO**



deLmhu

AELMHU, Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos, es una entidad sin ánimo de lucro que agrupa a 21 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.

Desde nuestra Asociación:

- 1 DAMOS VISIBILIDAD** a las características especiales de las enfermedades raras y ultrarraras (EE.RR.).
- 2 FORMAMOS E INFORMAMOS** sobre el valor que aportan los medicamentos huérfanos (MM.HH.) para el tratamiento de estas patologías.
- 3 COLABORAMOS con organizaciones de pacientes, administraciones públicas y otros agentes** implicados, con el ánimo de aportar nuestro conocimiento y experiencia en el tratamiento de las enfermedades raras.
- 4 SUMAMOS ESFUERZOS y apoyamos la I+D+i** para conseguir que nuevos medicamentos huérfanos lleguen al mercado.

Por eso, tras haber analizado el proyecto, queremos agradecer a la Comunidad de Madrid la oportunidad de poder participar en el presente trámite de Consulta Pública y contribuir con nuestras recomendaciones y comentarios.

Análisis

Se calcula que en el mundo existen entre 6.000 y 8.000 EE.RR., de las que solo un 5% dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento. Concretamente, en España existen cerca de 3 millones de familias en las que alguno de sus miembros sufre algún tipo de enfermedad rara, **400.000 de ellos solo en la Comunidad de Madrid.**

La investigación y la innovación en este campo representan una necesidad urgente para toda la sociedad, ya que se considera la única esperanza para miles de pacientes y familias que todavía buscan diagnóstico y/o tratamiento para sus patologías. Por ello, estimular e impulsar todos los desarrollos posibles que incidan en el conocimiento y el progreso de la salud en este campo es una cuestión esencial.

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

Desde que en el año **2000**, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaran 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 en el campo de las EE.RR., **el esfuerzo investigador de los laboratorios ha sido muy notable.**

En los últimos 20 años, ha aumentado la disposición de un número creciente de empresas capaces de aportar innovaciones. **Tanto es así que en el año 2021 se produjo una cifra histórica de ensayos clínicos** dedicados a EE.RR. en nuestro país, con 225 estudios autorizados (el 23% del total). La apuesta por la innovación volvió a crecer un 15% en el último año.

Sin embargo, **esa apuesta no tiene un reflejo directo en la disponibilidad de medicamentos para los ciudadanos** en España, lo que nos sitúa en una posición de desventaja con respecto a otros países de nuestro entorno.

Según los últimos datos del Informe Cuatrimestral de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España, elaborado por la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), que analiza la evolución de los medicamentos huérfanos en España a fecha 30 de abril de 2022, **solo el 44% de los medicamentos huérfanos autorizados en la UE son financiados por el SNS.**

Actualmente, hay 181 productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por la Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés), de los que 132 cuentan con autorización para la comercialización comunitaria. A nivel nacional, entre enero y abril de 2022, se asignaron 4 nuevos Códigos Nacionales y se aprobó la financiación de 2 nuevos medicamentos huérfanos, hasta alcanzar los 113 productos huérfanos con Código Nacional y los 58 productos financiados. En cómputo global, en el primer cuatrimestre de este año llegaron a España un 86% de los medicamentos huérfanos autorizados en la UE, pero solo se ha financiado un 44% de los mismos, lo que supone un punto porcentual más de productos financiados con respecto a 2021.

Por otro lado, **ha empeorado el tiempo de espera para lograr una decisión de precio y reembolso** en nuestro país, pasando de los 24 meses en 2021, a 32 meses en los inicios de 2022, lo que supone un incremento del 33% en los tiempos de espera a lo largo de este año. Finalmente, hay 55 medicamentos huérfanos que continúan pendientes de financiación en España, el 49% de los cuáles lleva tres años o más esperando una resolución favorable de financiación. **Y 19 medicamentos con autorización comercial comunitaria no han llegado todavía a nuestro país, lo que representa un 14% de la innovación autorizada a nivel europeo.**

CONCLUSIÓN

Se produce la paradoja de que mientras aumenta la inversión en investigación por parte de la industria, así como el interés político por situar a las enfermedades raras en el centro de la política sanitaria autonómica, se está ralentizando, cada vez más, el acceso a la innovación para los pacientes madrileños y españoles, lo que puede alejar el interés por introducir nuevas terapias en nuestro país y perjudicar la atención sanitaria a los ciudadanos.

Recomendaciones

Desde AELMHU, celebramos que el Gobierno de la Comunidad de Madrid mantenga y fortalezca su compromiso con las enfermedades raras, apostando por iniciativas como la puesta en marcha de este Observatorio de Enfermedades Poco Frecuentes.

La región madrileña constituye un referente nacional por sus desarrollos en el campo de las EE.RR.: sus 86 Centros, Servicios y Unidades de Referencia Nacional) o las 33 EPF integradas por equipos multidisciplinares que se coordinan con otras especialidades médicas y quirúrgicas en función de las necesidades asistenciales del paciente, entre otros, dan buena muestra de ello.

Sin embargo, consideramos muy oportuno que se siga profundizando en nuevos desarrollos y propuestas que den visibilidad a las patologías menos frecuentes y sus desafíos, así como abordar nuevas propuestas de mejora, como el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación farmacéutica en este campo, la equidad en el acceso a los tratamientos en toda España, la agilización de procesos burocráticos o la mejora del proceso de evaluación de la innovación, entre muchos otros.

Cuando en enero de 2020, la presidenta de la Comunidad de Madrid, Isabel Díaz Ayuso, anunció la puesta en marcha de la Red de Terapias Avanzadas de Hematología, donde profesionales del SERMAS - y la industria farmacéutica- comenzaron a unificar esfuerzos para potenciar este tipo de ensayos clínicos, **la presidenta pidió la colaboración de la industria farmacéutica, para que investiguen y se instalen en la Comunidad de Madrid, y se comprometan “de la misma forma que nosotros lo hacemos con la innovación farmacéutica”.**

AELMHU, como asociación representativa de la industria de los MM.HH., coincide plenamente con las palabras de la presidenta, y lo hacemos desde la convicción de que la situación de las personas con EE.RR. es un asunto que nos interpela a todos –pacientes, profesionales, decisores públicos y, por supuesto, industria-. Por eso, queremos participar en este trámite de Consulta Pública, con las siguientes recomendaciones:

1 PARTICIPACIÓN DE LA INDUSTRIA

En primer lugar, y en el marco de los objetivos de planificación y coordinación de actividades y decisiones relacionadas con el Plan de Mejora de la Atención Sanitaria a Personas con Enfermedades Poco Frecuentes, así como en el desarrollo, seguimiento y evaluación de sus prioridades, **creemos imprescindible que el nuevo Observatorio de Enfermedades Poco Frecuentes cuente con la industria de los medicamentos huérfanos en sus órganos consultivos y grupos de trabajo para la toma de decisiones.** Especialmente en cuatro de las ocho líneas estratégicas del plan: la 1ª (Sistemas de información sobre EPF: recursos, registros y sistemas de información) 4ª (Terapias: Medicamentos huérfanos, coadyuvantes y productos sanitarios), la 6ª (Investigación) y la 8ª (Participación y Asociacionismo), y desde la convicción de que la industria puede y debe jugar un papel decisivo en la consecución de las siguientes metas:

- Facilitar la accesibilidad de las nuevas terapias.
- Mejorar las herramientas de información online sobre MM.HH. (SIERMA y coordinación con el Registro Nacional).
- Establecer registros epidemiológicos y clínicos de pacientes que, a su vez, permitan la interoperabilidad con el registro estatal de Enfermedades Raras.

- Mayor información sobre los MM.HH. autorizados a nivel comunitario no comercializados en España o factibles para el acceso en fase de investigación, así como diseño de un registro de Ensayos Clínicos.
- Mejora en el acceso a las terapias huérfanas en los diferentes centros Comité asesor con criterios comunes; y CSUR.
- Diseño de indicadores de conocimiento sobre los resultados en salud (seguimiento, información periódica sobre efectividad y respuesta, etc.) e impulso de la información relativa a **Real World Evidence** (estudios observacionales), garantizando evidencia en el corto, pero también medio y largo plazo.

2 MEJORA DE LOS INDICADORES Y SISTEMAS DE INFORMACIÓN Y DE LA ASISTENCIA SANITARIA. APRENDIZAJES DE LA PANDEMIA

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 innovación sanitaria tiene en su día a día. Los ciudadanos madrileños y españoles reivindican, con premura, una mayor protección y atención por parte de todos los agentes implicados. Es por eso que desde AELMHU entendemos que el nuevo Observatorio de Enfermedades Poco Frecuentes de la Comunidad de Madrid debe estudiar y promover todas aquellas mejoras en la **agilización de los procesos** que se han emprendido durante la pandemia de la COVID 19 en la región, como un aprendizaje a trasladar en situaciones de alto impacto como es el caso de los MM.HH. Entre ellas, destacamos:

- El **uso de soluciones digitales para ensayos clínicos, presentaciones regulatorias y la atención domiciliaria**, instrumentos capaces de acelerar el desarrollo innovador y mejorar la atención de los pacientes durante los momentos más duros de la crisis sanitaria.
- **La colaboración público-privada** en la mejora de la accesibilidad a los medicamentos, que también ha demostrado ser una herramienta muy útil para mejorar la calidad de vida de las personas, sobre todo en casos de interrupción de sus tratamientos, con programas de soporte y servicios añadidos (ej. home delivery, tratamiento domiciliario, etc.).
- Y el **diálogo y colaboración conjunta entre la industria y los profesionales y los pacientes**. Un diálogo y una colaboración que en el nuevo Observatorio pueden encontrar el foro idóneo para desarrollar nuevos resultados que incidan en la mejora formativa de los primeros y la calidad asistencial para los segundos.

3 PUESTA EN COMÚN DE LA INFORMACIÓN

El enorme avance en el conocimiento científico y en las herramientas tecnológicas está permitiendo a la investigación pública y privada diferenciar más entre síntomas y posibles causas que antes se incluían en una misma categoría, de modo que cada vez más se diagnostican nuevas enfermedades raras. Además, la ciencia de datos está permitiendo realizar más y mejores análisis y esta información puede ser compartida en el marco del Observatorio Regional, con el fin de visibilizar los progresos diagnósticos y mejorar la atención y el conocimiento sobre las enfermedades.

4

**APOYO A LAS INICIATIVAS
INNOVADORAS**

La investigación y el desarrollo de nuevos medicamentos pueden ser impulsados por políticas industriales regionales que apoyen la investigación básica y permitan el desarrollo clínico y su aprobación regulatoria; PERO también por políticas sanitarias capaces de estimular los avances terapéuticos como, por ejemplo, el desarrollo y actualización de la Estrategia Regional de Terapias Avanzadas. En este sentido, el nuevo Observatorio debería contar con **un grupo de trabajo sobre las nuevas líneas de investigación** (ej, terapia génica y celular), en el que pacientes, profesionales, decisores públicos e industria podamos poner en común nuevas experiencias y resultados.

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

