

PROPUESTAS de Imhu

**APORTACIONES al
ANTEPROYECTO de
LEY que MODIFICA el
REAL DECRETO
LEGISLATIVO 1/2015**

**por el que se
APRUEBA el
TEXTO
REFUNDIDO
de LA LEY de
GARANTÍAS y
USO RACIONAL
de los
MEDICAMENTOS
y PRODUCTOS
SANITARIOS**

Recomendaciones

Desde AELMHU, celebramos que el actual Ejecutivo 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”. (apartado 2.2.11).

Para contribuir a materializar el impulso que este gobierno quiere dar a las enfermedades raras, conforme al citado compromiso en el acuerdo de gobierno y en las prioridades establecidas en materia de Sanidad para esta legislatura, **AELMHU considera muy oportuno actualizar el Real Decreto legislativo 1/2015**, por el que se aprueba el Texto Refundido de la ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios.

Es preciso seguir profundizando en numerosos aspectos como el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación farmacéutica sobre nuevos productos e indicaciones, la equidad en el acceso a esos tratamientos, la agilización de procesos burocráticos, la mejora del proceso de evaluación, etc., y dotar de mayor certidumbre, transparencia, y participación a todo el trámite de aprobación, entre otras cuestiones.

Así que desde la convicción de que es un asunto que nos interpela a todos -pacientes, profesionales, industria y decisores públicos- desde AELMHU queremos hacer las siguientes recomendaciones:

1. Sobre el mecanismo de fijación de precios

El proceso de financiación y fijación de precios de los medicamentos huérfanos y su inclusión en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud, debe contemplar una evolución en la gobernanza que aporte certeza, agilidad y una mayor transparencia en sus diferentes procedimientos. A tal fin, proponemos una serie de medidas encaminadas a dotarlo de mayor fiabilidad y seguridad para todos los usuarios:

- El proceso de aprobación en sus diferentes fases debe establecer una **predictibilidad en los tiempos** que permitan una mejor toma de decisiones de gestión y la articulación de las inversiones oportunas por parte de los laboratorios. Para ello deben cumplirse los tiempos de resolución fijados de 90 a 180 días según se establece en el Real Decreto 271/1990, de 23 de febrero.
- En aras de garantizar una correcta interacción entre la Administración y el laboratorio, sería oportuno establecer también una serie de medidas que faciliten el intercambio de información entre las partes, para **aumentar la transparencia del proceso**.

- ▶ **Establecer un número mínimo de reuniones presenciales** (recomendable un mínimo de tres) entre la Administración y el laboratorio para poder intercambiar información y datos sobre el estado de situación en cada fase del proceso. Como mínimo:
 - Una primera reunión inicial que establezca las bases de la negociación y permita compartir información del proceso de solicitud de precio y financiación, aclarar las dudas iniciales y favorecer una mejor comprensión del contexto general.
 - Dos reuniones adicionales (mínimo) distribuidas a lo largo del proceso de evaluación y resolución, para compartir las dudas que vayan surgiendo, conocer el estado de situación y buscar soluciones para un mayor entendimiento que dote de predictibilidad del proceso.
- ▶ Permitir la interacción presencial en la presentación de la propuesta de precio y financiación en la Comisión Interministerial de precios de medicamentos y productos sanitarios (CIPM).
- ▶ Favorecer el seguimiento de los expedientes generados en el proceso (preferiblemente en formato digital).
- ▶ Compartir con cada laboratorio los informes de evaluación del MM.HH. desarrollados por la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia (DGCCSF) y presentados al CIPM.
- ▶ Constituir una comisión mixta entre los órganos competentes (y en su defecto, grupos de trabajo) de la Administración y los representantes sectoriales de la industria farmacéutica, para el desarrollo conjunto y consensuado de modelos de evaluación de la innovación específicamente en el ámbito de las EE.RR.

2. Sobre el nuevo modelo de IPT

En cuanto al nuevo enfoque planteado por parte de la DGCCSF al procedimiento de desarrollo, aprobación y comunicación del Informe de Posicionamiento terapéutico (IPT) creemos conveniente trabajar en una solución consensuada que permita:

- **Compartir información de forma ágil (preferiblemente en formato digital)** sobre: fecha de inicio; nombre de la persona encargada de su elaboración; perfil de los profesionales encargados de su redacción; fecha de entrega; existencia o no de alternativas terapéuticas; gravedad de la patología y necesidad de un inicio terapéutico rápido; mecanismos de evaluación empleados; mecanismo de actualización con los datos de los nuevos tratamientos; y resultados de la práctica clínica habitual (aunque no sean ensayos clínicos controlados).
- Establecer un **procedimiento** ágil y predecible de **presentación, resolución e información de alegaciones**.
- **Incrementar la participación de los pacientes** en el proceso de desarrollo de los IPT, con “voz y voto” en la toma de decisiones.

De igual manera, proponemos dotar de mayor rigor metodológico al informe de evaluación económica, incluyendo:

- Metodologías específicas que recojan **la evaluación de los Ensayos clínicos (EE.CC.)** de un solo brazo, evitando así la utilización de comparaciones indirectas cuando no haya otro tratamiento autorizado y en poblaciones de pacientes diferentes.

- Información relativa a **Real World Evidence** (estudios observacionales), garantizando evidencia en el corto, pero también medio y largo plazo.
- **Outcomes** tradicionales y **consideraciones de impacto clínico, ético y social** (costes directos, indirectos y/o de productividad).
- Criterios de evaluación no tradicionales (**outcomes modeling**).
- **Metodologías que revelen la adecuación** o no del dimensionamiento de parámetros **de estudios poblacionales** a pacientes individuales (variables y tiempos).
- Otros atributos más allá de la evaluación de su coste-efectividad y criterios de eficiencia, cómo la **necesidad médica**, la **calidad de vida** de los pacientes, y aspectos de **igualdad, equidad o solidaridad**.

3. Sobre mecanismos de financiación

Modelo de financiación ligado a resultados clínicos (Valtermed): En cuanto al procedimiento de evaluación de resultados clínicos, consideramos imprescindible que la plataforma de evaluación tenga un modelo de transparencia, gobernanza y publicidad adecuado.

A nuestro entender, para ser reconocido como un mecanismo de evaluación adecuado son fundamentales las siguientes cuestiones:

- **C O N S E N S U A R** criterios adecuados, rigurosos y transparentes en los protocolos farmacoclínicos, a fin de evitar interpretaciones y arbitrariedades.
- **E V I T A R** la recogida de datos adicionales a los que ya se recojan en las historias de los pacientes y los registros de los hospitales o las CC.AA., con el objetivo de evitar duplicidades y garantizar una información más integrada (historia clínica, registros de utilización del medicamento, etc.).
- **P E R M I T I R** a la industria participar en la funcionalidad de descarga de los datos, estableciéndose distintos perfiles de accesibilidad en función de su rol: clínico, farmacéutico, gestor sanitario y evaluador.
- **E S T A B L E C E R** un canal de comunicación hacia las CC.AA., fijando un modelo de información básica sobre las evaluaciones y los datos obtenidos, y una periodicidad.

- **HOMOGENEIZAR** la disparidad territorial existente entre las evaluaciones y las implementaciones del pago por resultados (modelos de abonos o crédito también diferentes entre CC.AA.).
- **DEFINIR** un canal de recogida de información de la opinión de los pacientes para incorporar su perspectiva de la calidad de vida.

Modelo de financiación ligado a resultados financieros: En las enfermedades raras, limitar el número de pacientes que pueden beneficiarse de una terapia o prueba diagnóstica mediante techos de consumo u otros mecanismos pueden desincentivar la inversión y el avance en estas áreas y no ser una estrategia eficiente para proveer de mayores niveles de salud a la sociedad.

En los casos específicos en que sea una alternativa de modelo de financiación, **deben de existir unos rangos más amplios en la fijación de los techos de consumo en los casos de mayor incertidumbre**, ya que ésta existe tanto para las autoridades como para el propio laboratorio.

Se propone, asimismo, establecer diferentes mecanismos adaptados a las necesidades específicas de cada caso con un margen que aumente de forma paralela a la posible variabilidad en la incorporación de nuevos pacientes con el transcurso de los años, un retorno variable en función del grado de superación, y otros elementos de ajuste.

4. Exclusión del sistema de precios de referencia para los MM.HH.

Para garantizar la primacía del Reglamento 141/2000 sobre la norma nacional (artículo 98.2 del RDL 1/2015), tal y como ha establecido la Audiencia Nacional, en el procedimiento contencioso-administrativo contra la Orden SND/1308/2021, de 26 de noviembre, por la que se procedía a la actualización en 2021 del sistema de precios de referencia de medicamentos en el SNS, indicando que la indexación de los MM.HH. al sistema de precios de referencia “estaría vulnerando la normativa europea”, solicitamos **excluir estos medicamentos del sistema de precios de referencia con el objetivo de continuar fomentando la investigación, el desarrollo y la comercialización de los productos que cubren las necesidades médicas de los pacientes con EE.RR.**

5. Excluir a los MM.HH. de la ampliación de la aportación cuatrimestral a la dispensación en centros sanitarios

Tal y como establece la Disposición Adicional Sexta del Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, los agentes “que se dediquen en España a la fabricación, importación u oferta al SNS de medicamentos y/o productos financiados con fondos públicos, que se dispensen en oficinas de farmacia deberán ingresar cuatrimestralmente las cantidades que resulten de aplicar entre un 1,5 y un 2% de su volumen de ventas. Por otro lado, la ley establece que las cuantías resultantes, se podrán ver minoradas hasta un 25% en función de la valoración que se haga de las compañías en el marco del programa PROFARMA anualmente, una bonificación que es ampliable en un 10% adicional para las calificadas como muy buenas o excelentes. En este sentido, el texto de la consulta pública previa plantea la posibilidad de modificar dicho sistema con el fin de extenderlo a “los medicamentos dispensados en centros sanitarios”. En este sentido, por el tipo de patologías que abordan (altos costes de investigación, gran volumen de necesidades no cubiertas, volumen de pacientes muy reducido y con mayor vulnerabilidad), los MM.HH. son objeto de una serie de incentivos económicos y fiscales, recogidos en diversas normas, como el Reglamento 141/2000 a nivel europeo, o el Real Decreto Ley 8/2010, de 20 de mayo, por el que se adoptan medidas extraordinarias para la reducción del déficit público a nivel, y que se verían desvirtuados por esta modificación. Por ello, recomendamos mantener la exclusión de los beneficios derivados de los tratamientos para EE.RR. de esta obligación de aportación.

6. Nuevos mecanismos de agilización del acceso y alusión específica a los MM.HH.

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 requieren de un abordaje precoz en el acceso. Por ello, y en cumplimiento de los objetivos marcados en la Estrategia Farmacéutica para Europa (abordaje de necesidades médicas no satisfechas y fomento de la competitividad, la innovación y la sostenibilidad de la industria, mediante el desarrollo de medicamentos de calidad, seguros y eficaces) se propone el desarrollo de un apartado específico en materia de MM.HH., dentro de la nueva Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos, que refleje sus propias especificidades en consonancia con las previsiones del Reglamento Europeo de Medicamentos Huérfanos, y contribuya a mejorar las condiciones de acceso.

7. Comité Asesor Para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del SNS (CAPF)

En aras de profundizar en la multidisciplinariedad en los trabajos del CAPF, y dadas las condiciones especiales que presentan las EE.RR. (que son graves, crónicas e incapacitantes, con fuertes demoras en el diagnóstico y el tratamiento, y dado el reducido número de personas que las sufren), se recomienda incorporar la perspectiva del paciente y el clínico en los grupos de apoyo técnico que informan las diferentes líneas estratégicas relativas a terapias sobre este tipo de enfermedades, con el fin de que aporten su conocimiento acerca de los tratamientos, necesidades y resultados que experimentan y conocen.

8. Exención de la aportación de los usuarios en la aportación farmacéutica ambulatoria de MM.HH.

Tal y como indican numerosos estudios, las familias en las que alguno de sus miembros padece una enfermedad rara, viven situaciones graves de vulnerabilidad derivadas de los costes directos (el 44% de los pacientes no tiene totalmente cubiertos los costes de los productos sanitarios que necesita para su EE.RR., según datos publicados por la Federación Española de Enfermedades Raras) e indirectos (coste de oportunidad económica, laboral y formativa del paciente y sus cuidadores) de la enfermedad. Por ello, consideramos necesario excluir a los pacientes con EE.RR. del sistema de aportaciones en la prestación farmacéutica ambulatoria.

9. Aprendizajes de la pandemia

Es necesario incorporar las mejoras para la **agilización de los procesos de autorización y comercialización de vacunas** que se han emprendido durante la pandemia de la COVID 19, como un aprendizaje a trasladar en situaciones de alto impacto como es el caso de los MM.HH.

Asimismo, para mitigar la incidencia de la pandemia en los resultados de salud, muchos reguladores y autoridades sanitarias han mostrado más flexibilidad en el **uso de soluciones digitales para ensayos clínicos, presentaciones regulatorias y atención domiciliaria**. Por ello, consideramos oportuno conectar la experiencia en el uso de las herramientas digitales, como instrumentos capaces de acelerar el desarrollo y mejorar la atención de los pacientes, en la nueva legislación.

Finalmente, la **colaboración público-privada** en la mejora de la accesibilidad a los medicamentos también ha demostrado ser una herramienta muy útil para mejorar la calidad de vida de los pacientes durante esta crisis, sobre todo en casos de interrupción de sus tratamientos, con programas de soporte y servicios añadidos (ej. home delivery). Por ello, recomendamos contemplar sus beneficios en la regulación farmacéutica.

10. Suficiente dotación de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)

Es preciso que el órgano evaluador nacional se encuentre suficientemente dotado de medios económicos y personales para desarrollar su labor, sobre todo en un escenario como el actual, en el que existe un volumen ingente de expedientes de evaluación.

11. Establecer mecanismos para asegurar la equidad en el acceso entre las diferentes Comunidades Autónomas

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 EE.RR., 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.**

12. Incentivos a la actividad farmacéutica y garantías de acceso a la innovación para los pacientes

La investigación y el desarrollo de nuevos medicamentos pueden ser impulsados por políticas industriales 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.

Por ello, cualquier actualización de la Ley del Medicamento debe tener en cuenta el valor terapéutico y social de la innovación para que, **desde la seguridad jurídica, la industria pueda tomar decisiones a largo plazo que garanticen la disponibilidad futura de medicamentos para todos los pacientes españoles.**

13. Apoyo a la transformación digital del sector farmacéutico

Se hace más necesario que nunca disponer de un marco regulatorio farmacéutico que armonice el uso de datos y la aplicación de soluciones tecnológicas a lo largo de todo el ciclo de vida del medicamento, permitiendo:

- El acceso en tiempo real a los ensayos clínicos para facilitar y acelerar la revisión y aprobación de medicamentos y vacunas.
- Facilitar el intercambio de datos anónimos y estandarizados, garantizar la interoperabilidad dentro de España y Europa, así como mejorar la productividad de I+D.
- Desarrollar modelos de precios y financiación que valoren soluciones de atención sanitaria digital.

aeLmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

