



aeImhu

# RESPUESTA *a la* AUDIENCIA PÚBLICA

SOBRE EL PROYECTO  
DE REAL DECRETO POR  
EL QUE SE MODIFICA  
EL REAL DECRETO  
1093/2010, DE 3 DE  
SEPTIEMBRE, POR EL  
QUE SE APRUEBA EL  
CONJUNTO MÍNIMO  
DE DATOS DE LOS  
INFORMES CLÍNICOS  
EN EL SISTEMA  
NACIONAL DE SALUD

# 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 y ultrahuérfanos (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 texto, queremos agradecer la oportunidad de poder participar en el presente trámite de Audiencia Pública y contribuir con nuestras recomendaciones y comentarios.

# Análisis

**Los medicamentos huérfanos 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 calcula que en el mundo existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras**, de las que solo un 5% dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento, por lo que la investigación y la innovación en este campo representan una necesidad urgente para toda la sociedad.

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 en el campo de las EE.RR.

En este sentido, llama la atención **el esfuerzo investigador de los laboratorios farmacéuticos en este periodo, aumentando la disposición de un número creciente de empresas capaces de aportar innovaciones** en el campo de las enfermedades minoritarias.

Tanto es así que, **en el año 2021 se produjo una cifra histórica de ensayos clínicos** dedicados a enfermedades raras en nuestro país, con 225 estudios autorizados (el 23% del total). Sin embargo, **esa apuesta por la investigación no tiene un reflejo directo en la disponibilidad para los ciudadanos en España**.

De hecho, según los últimos datos del Segundo Informe Cuatrimestral de Acceso, elaborado por la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) que analiza la evolución de los medicamentos huérfanos en España a fecha 31 de agosto de 2022, **solo el 43% de los MM.HH. autorizados en la UE son financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)**.

# Recomendaciones

Desde AELMHU, celebramos que el actual Gobierno considere a las enfermedades raras una prioridad, como ha manifestado en su acuerdo de gobierno comprometiéndose a “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.).

Por eso, con el fin de contribuir a materializar ese compromiso **AELMHU considera muy oportuno que el Gobierno actualice el Real Decreto por el que se modifica el Real decreto 1093/2010, de 3 de septiembre, por el que se aprueba el conjunto mínimo de datos de los informes clínicos en el SNS.**

En este sentido, **desde nuestra Asociación consideramos imprescindible avanzar en la mejora de la interoperabilidad de la información que se produce en el marco del SNS**, en cuanto a la composición de los datos requeridos, formulando modelos de información e integrando los recursos de normalización semántica, siempre en beneficio de la mejor asistencia sanitaria a las personas.

Concretamente, dentro **del proceso de aprobación y financiación de medicamentos de alto impacto, como son los medicamentos huérfanos**, desde octubre de 2019 se encuentra en vigor el instrumento **VALTERMED**, un sistema de información del SNS para determinar su valor terapéutico en la práctica clínica real.

Este sistema nació con la voluntad de generar información óptima para la adecuada toma de decisiones en la gestión macro, meso y micro de la prestación farmacéutica, en las distintas etapas del ciclo del medicamento, a través de la recogida de datos de carácter administrativo, clínico y terapéutico que permiten conocer el estado inicial y la evolución del paciente tras iniciar un tratamiento farmacológico. Datos que en muchos casos son coincidentes o redundantes con los incluidos en los informes clínicos en el SNS, razón por la cual AELMHU estima relevante participar en este trámite de Audiencia.

Y es que dos años después de la puesta en marcha de VALTERMED se ha puesto de manifiesto la necesidad **de adecuar, entre otros, la carga administrativa que supone para los facultativos la recogida de datos.**

Entre los principales aspectos de mejora se encuentran la **eliminación y prevención de duplicidades en el proceso; la reducción de información manual y el desarrollo de futuros escenarios que permitan captar la información disponible de la historia clínica del paciente.**

Tenemos una excelente oportunidad para "unificar" el lenguaje de los diferentes sistemas de información clínica (desde VALTERMED hasta la Historia Clínica o la tarjeta sanitaria) que ayudaría a compartir información en el futuro, fomentando la interoperabilidad de los sistemas.

Por eso, desde la convicción de que **es un asunto que nos interpela a todos** -pacientes, profesionales, industria y decisores públicos- participamos en el trámite de Audiencia con las siguientes recomendaciones:

- 1 EVITAR**  
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 Comunidades Autónomas (CC.AA.), con el objetivo de evitar duplicidades y garantizar una información más integrada (historia clínica, registros de utilización del medicamento, esquemas de pago por resultados, VALTERMED, etc.).
- 2 IMPULSAR**  
la interoperabilidad de las historias clínicas entre los centros de proximidad y los Centros, Unidades y Servicios de Referencia (CSUR) y con los distintos registros de las European Reference Networks (ERN).
- 3 PERMITIR**  
a la industria participar en la funcionalidad de descarga de los datos, estableciéndose distintos perfiles de accesibilidad en función del rol: clínico, farmacéutico, gestor sanitario y evaluador.

**4 INCORPORAR**

la participación en ensayos clínicos como información relevante en el apartado de tratamiento, especificando el título del ensayo o, al menos, la posibilidad de recibir un tratamiento experimental, así como datos adicionales relevantes tales como la dosis, la vía de administración o la posología.

**5 REFORZAR**

la oportunidad que podrían ofrecer los datos de vida real (RWE) para mejorar el conocimiento en el diagnóstico, tratamiento y seguimiento de los pacientes. Y, a través de herramientas de inteligencia artificial, aprovechar los datos obtenidos para poder generar nuevas hipótesis o anticipar posibles diagnósticos y mejorar el manejo del paciente.

**6 CONSENSUAR**

criterios adecuados, rigurosos y transparentes en los protocolos farmacoclínicos, a fin de evitar dobles interpretaciones y arbitrariedades.

**7 ESTABLECER**

un canal bidireccional de comunicación hacia las CC.AA., fijando un modelo de información básica sobre las evaluaciones y los datos obtenidos, así como su periodicidad.

**8 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.).

**9 DEFINIR**

un canal de recogida de información de la opinión de los pacientes para incorporar su perspectiva de la calidad de vida, mediante cuestionarios o escalas validadas generales y en función de la patología.



# aeLmhu

asociación española de laboratorios de  
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

