

CON MOTIVO DEL PRÓXIMO DÍA MUNDIAL DE LAS  
ENFERMEDADES RARAS, EL 28 DE FEBRERO

## AELMHU DEMANDA UN CAMBIO DE MODELO EN ESPAÑA: 60 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO TIENEN FINANCIACIÓN

- Los datos definitivos del Informe Anual de Acceso 2022 confirman las dificultades que sufren los pacientes con patologías minoritarias en España
- Nuestro país solo financia el 43% de los productos huérfanos autorizados en Europa, lo que arroja una cifra de 60 medicamentos sin financiación pública a cierre del pasado año
- Para la presidenta de AELMHU, María José Sánchez Losada, “la innovación es un activo tangible para los pacientes y la sociedad, pero también un proyecto de futuro y de país”
- La Asociación mira con esperanza los nuevos desarrollos emprendidos por el Ministerio, y urgen a todos los agentes implicados a un cambio de modelo. “Miles de pacientes y familias nos están esperando”

**Madrid, 13 de febrero de 2023.**- La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) ha hecho público el texto completo de su Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España, un estudio que confirma que 2022 fue un año muy esperanzador para los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.) a nivel europeo, mientras en España siguen aumentando los retrasos en la aprobación de estos tratamientos.

Así, ante la próxima conmemoración del Día Mundial de las Enfermedades Raras, AELMHU hace una valoración de sus indicadores de acceso, advirtiendo que “estamos ante un curso decisivo para la industria farmacéutica en nuestro país”, ya que están previstos proyectos importantes como la nueva Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos, el nuevo Reglamento Europeo de MM.HH., la nueva Estrategia Farmacéutica para Europa, el Plan Estratégico de la Industria Farmacéutica 2023-2025 o la presidencia española del Consejo de la UE.

Por eso, AELMHU da un paso al frente y, por vez primera en sus documentos de análisis, plantea una propuesta alternativa de modelo para los MM.HH., con recomendaciones que ya se han dado a conocer al Ministerio de Sanidad, y que abordan aspectos variados: desde el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación sobre nuevos productos e indicaciones, la equidad en el acceso a los tratamientos, la agilización de procesos burocráticos, la mejora del

proceso de evaluación, los nuevos modelos de financiación, etc. Y, sobre todo, que se dirigen a dotar de mayor certidumbre, transparencia y participación a todo el trámite de aprobación de los MM.HH. en España.

En palabras de la presidenta de la Asociación, María José Sánchez Losada, “esta iniciativa es más oportuna que nunca, en un momento en el que el diálogo y la colaboración entre el Ministerio de Sanidad y la industria han mejorado”, ya que “la innovación es un activo tangible para los pacientes y la sociedad, pero también un proyecto de futuro y de país. Por eso, planteamos una completa batería de recomendaciones, para urgir a todos los agentes implicados a un cambio de modelo, ya que miles de pacientes y familias nos están esperando”.

A partir de los datos recabados a lo largo del pasado año, AELMHU quiere invitar al debate público de sus propuestas y convoca a todos los agentes implicados - industria, pacientes, comunidad científica, profesionales, decisores públicos y a toda la sociedad- a un gran pacto colectivo con el fin de buscar consensos alrededor de las soluciones que de verdad mejoran la calidad de vida de todas las personas y familias que padecen una enfermedad minoritaria y miran a la investigación con total esperanza.

Esta nueva iniciativa se enmarca dentro del Resumen Ejecutivo del Informe de Acceso Anual 2022, un análisis de indicadores que la Asociación realiza desde hace ya 7 años y cuyos resultados preliminares se dieron a conocer hace solo unas semanas. Como novedad, este año el estudio también profundiza en el examen de algunos aspectos relevantes, como aquellos tratamientos huérfanos que cuentan con autorización de comercialización comunitaria pero todavía no disponen de Código Nacional en nuestro país, revisando los plazos y las áreas terapéuticas con las que se corresponden.

Entre las principales conclusiones del documento destacan que la UE alcanzó en 2022 máximos históricos tanto en nuevas designaciones huérfanas de productos con nombre comercial (29) como en nuevas autorizaciones de comercialización (24), lo que ha elevado la cifra de productos con designación huérfana positiva a 195, y a 146 los autorizados.

Sin embargo, a 31 de diciembre de 2022, España contaba con 123 MM.HH. con Código Nacional y 63 financiados, lo que significa que 60 productos huérfanos siguen pendientes de financiación en nuestro país, 5 más que en 2021, cerca de la mitad (45%) de los cuales lleva más de 3 años esperando su incorporación al SNS.

Por otro lado, el tiempo medio de espera para lograr una decisión de precio y reembolso, en el caso de los 9 medicamentos huérfanos que sí fueron financiados, se elevó hasta los 34 meses, 10 meses más de media que el año pasado, lo que podría estar alejando la llegada de la innovación a nuestro país, como demuestran los 23 MM.HH. con autorización comunitaria que, según este informe, todavía no habrían llegado al mercado español.

## 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 ultrarraras. 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 miembros de AELMHU son: Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam, AMRYT Pharma, Biocryst, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Ferrer, Gensight Biologics, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis Gene Therapies, PTC Therapeutics, Sanofi, SOBI, Takeda, UCB, Ultragenyx y Vertex.