

INFORME ANUAL DE ACCESO DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA 2023

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) publica los resultados de su Informe de Acceso 2023

ESPAÑA FINANCIA MÁS DE LA MITAD DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS AUTORIZADOS POR LA UE POR PRIMERA VEZ EN 5 AÑOS

- España financia el 53% de los medicamentos huérfanos que se autorizan en Europa
- En 2023, el tiempo medio desde el Código Nacional hasta la financiación pública de los MM.HH. es de casi dos años
- Los medicamentos huérfanos son tratamientos innovadores que se dirigen exclusivamente a diagnosticar, prevenir o tratar a pacientes con enfermedades minoritarias

Madrid, 24 de enero de 2024.- A falta de unas semanas para la celebración del Día Mundial de las Enfermedades Raras, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) hace público los resultados de su Informe Anual de Acceso, en el que se analizan todos los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con nombre comercial, que tienen vigente la designación huérfana europea a fecha de 31 de diciembre de 2023. En él, la Asociación analiza de forma detallada la situación de los productos huérfanos en Europa y su disponibilidad para los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.) en España.

Según los datos disponibles para 2023, a nivel europeo se ha producido un descenso tanto en el número de nuevas designaciones huérfanas, pasando de 29 en 2022 a 19, como en el número de nuevas autorizaciones comerciales, pasando de 24 en 2022 a 12. Sin embargo, en este mismo periodo, España ha mejorado sus datos de acceso, incrementando el número de medicamentos huérfanos financiados y reduciendo los tiempos para su financiación, contribuyendo de esta manera a mejorar el descenso que se ha producido en los últimos años.

En 2023 se financiaron 21 nuevos medicamentos huérfanos, 12 más que en el ejercicio anterior, alcanzándose un total de 78 medicamentos huérfanos financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS), de los 147 que disponen de autorización de comercialización por la Agencia Europea del Medicamento (EMA), es decir un **53%**.

Si estos datos los comparamos con años anteriores, es **la primera vez en cinco años que España financia más de la mitad de los medicamentos huérfanos autorizados por la Unión Europea**. A pesar de ello, hay que tener en cuenta que casi la mitad de estos nuevos productos están **financiados con restricciones**. Además, el 100% obtuvieron un precio condicionado: 5 presentan condiciones de seguimiento, 12 están sometidos a una revisión de ventas y precios, 1 está sometido a coste máximo por paciente y 9 tienen techo de gasto, entre otras condiciones.

Por el contrario, todavía hay un total de **45 medicamentos huérfanos que no se financian**, correspondientes a áreas terapéuticas como las oncológicas en un 40% y las metabólicas en un 24%, las áreas principales sin financiar. Además, **el 49% de estos productos llevan más de 3 años esperando financiación**. Los criterios por los que no se les financia son principalmente dos: por cuestiones de racionalización del gasto público en la prestación farmacéutica y por su valor terapéutico, social y beneficio clínico incremental, teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.

En este sentido, tampoco se ha aprobado la financiación de ninguna terapia avanzada huérfana el año pasado, algo que ya pasó en 2022.

A cierre del informe, España sólo contaba con 123 medicamentos huérfanos con Código Nacional de los 147 que estaban autorizados para su comercialización en la UE. Esto supone que **24 medicamentos huérfanos autorizados no llegaron a nuestro país** (un 16% de los autorizados). Se repite el mismo porcentaje que el año pasado, lo que supone la cifra más alta de los últimos 5 años.

Uno de los factores determinantes que podría hacer que la innovación no llegue a los Estados miembros de la UE, una vez que se ha obtenido una autorización de comercialización, son los **retrasos en los tiempos de financiación**. En 2022, la financiación de los medicamentos huérfanos alcanzó una media de espera de 3 años, lo que en parte podría explicar que en 2023 no haya llegado el 16% de los medicamentos autorizados en Europa.

Sin embargo, el tiempo medio para la financiación en el último año se ha reducido a 23 meses, 11 menos que en 2022. Sin duda, esto representa un avance importante con respecto a los retrasos producidos en los últimos años. No obstante, es necesario continuar con este impulso para poder alcanzar los tiempos de financiación de 2019, cuya media de espera estaba en 14 meses o, incluso, reducirlos.

Según María José Sánchez Losada, presidenta de AELMHU, “durante 2023 y pese a la intensidad electoral, desde AELMHU hemos intensificado el diálogo con las distintas administraciones públicas para sensibilizar sobre la ralentización y el descenso que se produjo en el acceso a los medicamentos huérfanos durante los últimos años. Las mejoras producidas tanto en financiación como en tiempos de espera durante este último ejercicio han supuesto un cambio significativo que, desde nuestra Asociación, valoramos positivamente y esperamos que se convierta en una tendencia de cara a los próximos años”.

En este sentido, desde la Asociación destacan el esfuerzo conjunto de todos los actores en estos cambios liderados por el **Ministerio de Sanidad** y refuerzan el compromiso de la organización en “seguir trabajando y aportando recomendaciones sobre evaluación, acceso y financiación de medicamentos huérfanos con los agentes implicados en la mejora de la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras”, concluye la presidenta.

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 asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, AOP Health, Argenx, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, Csl Behring, Grupo Italfarmaco, Horizon, Immunocore, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.