

La investigación, el acceso y la actualización del Plan de Terapias Avanzadas, protagonistas del debate

- Pacientes, clínicos, gestores y administración coinciden en la necesidad de trabajar de forma conjunta para poder unificar los criterios de cribado y facilitar el acceso a tratamiento para enfermedades poco frecuentes.
- A lo largo de la jornada, los ponentes convergen en la necesidad de que la actualización del Plan para el Abordaje de las Terapias Avanzadas en el SNS, debe ir más allá de las CAR-T, centrándose en tres grandes áreas: el acceso, la evaluación y la financiación de las terapias avanzadas.

Madrid, 25 de marzo de 2025.- La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**) ha celebrado hoy la III *Jornada Nacional: El futuro de las Terapias Avanzadas en Enfermedades Raras*, con el objetivo de fomentar el diálogo y la reflexión crítica entre los diferentes agentes del sistema sanitario para poner en valor el desarrollo de terapias avanzadas para enfermedades poco frecuentes y el acceso para los pacientes en España. La jornada ha sido posible gracias a la colaboración de: Amgen, CSL Behring, PTC Therapeutics, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

Entre las principales conclusiones, los participantes han coincidido en señalar la importancia del valor terapéutico y social de las terapias avanzadas y la necesidad de trabajar conjuntamente para mejorar el abordaje de las enfermedades raras. Afrontando los grandes retos, tanto a nivel europeo como nacional o regional, referentes al diagnóstico, la investigación, el desarrollo, la financiación y el acceso a estos tratamientos.

Tras las palabras de bienvenida de **Beatriz Perales, presidenta de AELMHU**, quien ha señalado que “este encuentro muestra, una vez más, el firme compromiso de AELMHU, por trabajar juntos y en colaboración, con iniciativas que ayuden a potenciar e impulsar la investigación de las patologías poco frecuentes y en el desarrollo de nuevas terapias para ellas”. Igualmente, ha afirmado que las terapias avanzadas implican un cambio de paradigma, el cual supone un avance incuestionable en el tratamiento de numerosas enfermedades raras y ultrarraras. Por ello, considera que “debemos de dar los pasos necesarios para que el sistema sanitario se adapte a un escenario muy distinto del actual y podamos garantizar la medicina del futuro.”

La Jornada ha sido inaugurada por **Maria Jesús Lamas, directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)** ha querido reflejar el compromiso de la Agencia con “las personas que sufren una enfermedad rara y sus familias, ya que son, sin duda, los buscadores activos de soluciones”. En este sentido,

ha afirmado que como entidad reguladora intentan mantener un entorno regulatorio y normativo favorable y accesible a los grupos de investigación académicas y a las empresas que quieran desarrollar medicamentos huérfanos contra estas enfermedades, “siendo más que meros testigos pasivos de la innovación, para convertirse en catalizadores de la innovación”. Durante su intervención, ha realizado una radiografía del panorama actual con todos los avances que se están produciendo entorno a las terapias avanzadas y que ha servido para contextualizar la jornada e introducir las mesas debate.

A continuación, **Alejandro G. Solís**, representante del Área de Evaluación de Tecnologías Sanitarias e Informes de Posicionamiento Terapéutico de la AEMPS, ha intervenido para hablar sobre las evaluaciones clínicas conjuntas. Durante su participación, ha explicado detalladamente cómo se desarrollan los informes y cómo este proceso de evaluación clínica conjunta supone una oportunidad para mejorar el acceso a la innovación para todos los estados miembros.

La jornada que ha contado con dos mesas debate, moderadas por **Rubén Moreno**, ex secretario general de Sanidad y Consumo, y **Jorge Mestre**, economista de la salud ha contado con la participación de ponentes de relevante prestigio.

La primera mesa, **Diagnóstico de las Enfermedades Raras: Cribado Neonatal, Medicina de Precisión y Gestión de Datos** ha contado con la participación de **Domingo González-Lamuño**, presidente de la Asociación Española para el Estudio de los Errores Innatos del Metabolismo (AECOM), **María Luz Couce**, jefa de servicio de Neonatología y directora de la Unidad de Diagnóstico y Tratamiento de Enfermedades Metabólicas Congénitas del Hospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela y **Daniel de Vicente**, vocal de la junta directiva de FEDER. Todos ellos han puesto de manifiesto la importancia del diagnóstico precoz para mejorar el pronóstico y la calidad de vida de los pacientes. Los expertos han coincidido en que el cribado neonatal y la medicina de precisión están marcando un antes y un después en la detección de estas patologías, permitiendo intervenciones más tempranas y personalizadas. Además, se ha destacado el papel clave de la gestión de datos en la identificación de casos y la optimización de tratamientos, aunque sigue siendo necesario seguir avanzando en la equidad en el acceso a estas herramientas. A través de ejemplos de éxito, los ponentes han dejado claro que la combinación de innovación y colaboración es la clave para seguir mejorando el abordaje de las enfermedades raras.

La segunda mesa, **Avances y desafíos legislativos en el abordaje y financiación de las Terapias Avanzadas para Enfermedades Raras** que ha contado con la participación de **Carlos Martín Saborido**, director de la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del ISCIII; **Nekane Murga**, coordinadora de Terapias Avanzadas de Osakidetza; **Josep María Guiu**, director del Área de Farmacia de Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya (CSC); **José Luis Poveda**, coordinador del Grupo de Trabajo Medicamentos de Terapia Avanzada de la

Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH) y **Gerardo García-Álvarez**, investigador principal del proyecto *Innovación para una Salud de Vanguardia*.

Los ponentes han dejado de manifiesto la necesidad de establecer unas líneas claras de consenso y trabajo que deben ser incluidas en la actualización del Plan para el Abordaje de las Terapias Avanzadas en el SNS, más allá de las CAR-T. En este sentido, han destacado la necesidad de planificar una estrategia en tres grandes áreas: el acceso, la evaluación y la financiación de las terapias avanzadas, contando con el desarrollo de acciones que conlleven la implementación de dicha planificación y poniendo el acento principal en cómo mejorar el acceso de estas terapias y su llegada a los pacientes.

La Jornada ha concluido con unas palabras de **Marian Corral**, directora ejecutiva de **AELMHU**, quien ha destacado la importancia de actualizar el Plan de Abordaje para Terapias Avanzadas, e incluir en este proceso a comunidades autónomas, clínicos e investigadores y la industria farmacéutica, que actualmente, juega un papel fundamental en el desarrollo de estas terapias. Esperando que dicho plan refleje muchas de las demandas que hoy se han puesto sobre la mesa y que son tan necesarias, especialmente para los pacientes.

Con ello, ha resaltado que es vital que todos los actores del sistema sanitario trabajen de manera conjunta para garantizar que los avances en tratamientos para enfermedades raras lleguen a quienes más lo necesitan.



ORGANIZA:



PATROCINAN:



SECRETARÍA TÉCNICA:



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, Amgen, AOP Health, Argenx, Ascendis, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, CSL Behring, Esteve, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmad, Ipsen, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

Para más información:

comunicacion@aelmhu.es