



RESPUESTA A LA CONSULTA PÚBLICA PREVIA

PROYECTO DE
REAL DECRETO
POR EL QUE SE
REGULAN LOS
PROCEDIMIENTOS
DE FINANCIACIÓN
Y PRECIO DE LOS
MEDICAMENTOS

aeLmhu

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), es una organización de 25 empresas farmacéuticas y biotecnológicas, con un **decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras.**

Entre los compromisos de la Asociación está:

- 1 **DAR VISIBILIDAD** a las características especiales de las EE.RR. y ultrarraras.
- 2 **FORMAR E INFORMAR** sobre el valor que aportan los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) y ultrahuérfanos para el tratamiento de estas patologías.
- 3 **COLABORAR** con organizaciones de pacientes, Administraciones públicas, así como con otros agentes, en aras de aportar conocimiento y experiencia en el tratamiento de las EE.RR.
- 4 **SUMAR ESFUERZOS** y apoyar la I+D+i para conseguir que nuevos MM.HH. lleguen al mercado en un tiempo aceptable.

Nuestra misión es contribuir a **mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras/poco frecuentes**, dando visibilidad a las patologías y **poniendo en valor la investigación y los tratamientos para ellas.**

A continuación, ofrecemos nuestros comentarios a nivel general del Proyecto de Real Decreto por el que se regulan los procedimientos de financiación y precio de los medicamentos, seguido de nuestras recomendaciones específicas a tener en cuenta en el procedimiento de financiación y precio de los medicamentos huérfanos, ultrahuérfanos, las terapias avanzadas, así como de los tratamientos para enfermedades raras o minoritarias, en los que valoramos que se ha de prestar una especial atención.

Comentarios generales al proyecto

Desde AELMHU reconocemos el **importante papel que realiza la administración** en el procedimiento de precio y financiación de los medicamentos, pues posibilita que las mejores terapias estén disponibles para los pacientes. En términos generales, nuestra Asociación quiere mostrar su agradecimiento a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia (DGCCyF) y a la Secretaría de Estado por esta iniciativa.

La reciente Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028 incluye a las enfermedades raras como área terapéutica estratégica, e identifica como una de las prioridades **mejorar el acceso a los medicamentos**. En este sentido, y como queda reflejado en nuestro último Informe de acceso¹, en los últimos años se ha mejorado el acceso a estas terapias, sin embargo, hay que seguir trabajando para **asegurar la llegada** de un mayor número de medicamentos a nuestro país.

Como se expone en el proyecto de Real Decreto, con independencia de lo establecido en la vigente normativa sanitaria, y teniendo en consideración el actual panorama normativo, vemos necesario que se proponga establecer un marco claro, consistente y transparente para la toma de decisiones, que garantice predictibilidad y confianza a los agentes involucrados. Por ello, coincidimos plenamente en que es necesario que se **revisen y definan criterios de inclusión, no inclusión y exclusión en la financiación de medicamentos**, el **beneficio clínico** de los mismos desde una **perspectiva del paciente**, la **evaluación económica** (eficiencia e impacto presupuestario), y la **incertidumbre** sobre cada uno de estos elementos.

Además, celebramos que la mencionada Estrategia identifique **tres fases diferenciadas** en el procedimiento de financiación: negociación con la industria, evaluación y decisión de financiación, todo ello en aras de la transparencia, independencia y separación del proceso de evaluación del de negociación y posicionamiento.

1- https://aelmhu.es/wp-content/uploads/2024/10/INFOGRAFIA_INFORME_AELMHU_-SEGUNDO-CUATRIMESTRE_2024.pdf (datos a 31 agosto 2024)

Por todo esto, conscientes de los últimos desarrollos normativos – Real Decreto de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y el Real Decreto que nos atañe en este momento – y los que llegarán, en AELMHU estamos comprometidos con alcanzar el mayor **consenso** posible, entre todos los agentes involucrados, con la necesaria **dotación de recursos al sistema**, velando por una **gobernanza** holística y garantizando la **perspectiva social** de la normativa sanitaria española.

Recomendaciones

Nuestra Asociación celebra la puesta en marcha de este proyecto de Real Decreto y aportamos las siguientes recomendaciones sobre aspectos relevantes y necesarios para regular el procedimiento de financiación y precio:

- 1 Consideramos fundamental implementar **mecanismos e instrumentos de gobernanza que faciliten el desarrollo conjunto y consensuado de modelos de evaluación de la innovación, adaptados a cada patología. En el caso de las enfermedades raras**, es crucial que estos modelos tengan en cuenta sus características específicas e inherentes. En este sentido, desde la Asociación recomendamos la constitución de 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 específicos de las EE.RR. Esta Comisión Mixta debería trabajar en colaboración con los organismos encargados para ello, incluido el Comité asesor de la prestación farmacéutica del SNS (CAPF), en su labor de desarrollo de las guías metodológicas más generales y que marcarán el camino a seguir durante los próximos años.

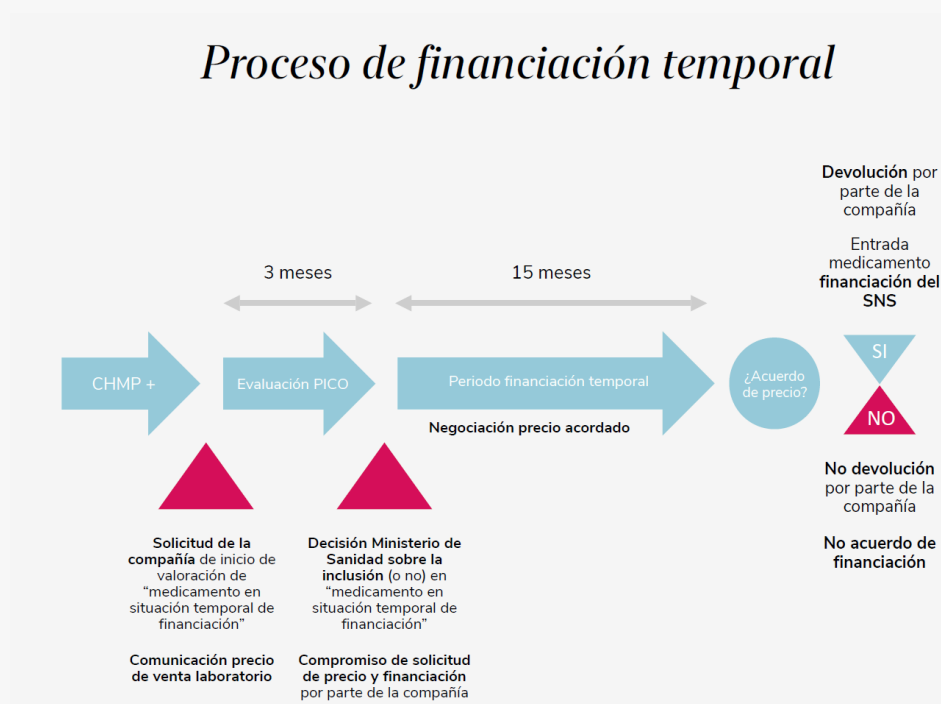
Por ello, consideramos necesario establecer espacios de consenso con los desarrolladores para que las guías sean efectivas durante el mayor tiempo posible, y así poder evitar cambios frecuentes para garantizar esa predictibilidad y confianza ya mencionadas.

- 2 Trabajar conjuntamente en los **procedimientos y condiciones para autorizaciones de financiación acelerada, condicional y provisional**, ya que es un tema que llevamos trabajando desde hace años, y que queda reflejado con el documento “Recomendaciones para un programa de “ACCESO TEMPRANO” en España para medicamentos con designación huérfana o medicamentos para Enfermedades minoritarias”. En el mismo se incluyen los **siguientes criterios de elegibilidad**, siendo

importante que se apliquen de manera uniforme en todas las CC.AA.:

- Tratar enfermedades raras o graves, o una patología crónica debilitante de rápida progresión o con riesgo para la vida y cuya progresión está ligada al acceso del citado medicamento huérfano.
- El inicio del tratamiento no se puede retrasar.
- No existen alternativas terapéuticas adecuadas (no existentes, agotadas o no óptimas para un perfil de paciente específico).
- La eficacia y la seguridad se presumen dados los resultados de los ensayos clínicos, pero teniendo en cuenta las particularidades de estos estudios en enfermedades minoritarias.

La siguiente figura resume el proceso propuesto por AELMHU para esta 'financiación condicional' o 'acceso temprano'.



FUENTE: Recomendaciones para un programa de "ACCESO TEMPRANO" en España para medicamentos con designación huérfana o medicamentos para Enfermedades minoritarias [Anexo]

- 3** Es importante resaltar que debido a las características de los MM.HH., **la evaluación de su eficiencia** debe regirse por un **marco flexible que utilice metodologías de evaluación que pongan en valor la contribución social** del medicamento, así como que contemple la **idiosincrasia específica** de los MM.HH. (baja prevalencia de las enfermedades, limitaciones en estudios epidemiológicos, falta de comparador, etc.). La evaluación de la eficiencia en base al tradicional 'coste por AVAC' resulta limitado a la hora de medir el valor de los medicamentos huérfanos, y podría dejar fuera del SNS a muchos medicamentos de alto valor terapéutico y social, negando el acceso a pacientes con importantes necesidades médicas no cubiertas. Además, en la aportación de los MM.HH. tiene especial relevancia la definición y medición correcta **de otros aspectos no-clínicos**, más allá de la evaluación económica (que incluye eficiencia e impacto presupuestario), como son los aspectos éticos, organizativos, sociales y jurídicos. Por último, en el ámbito de la evaluación es necesaria la **participación de profesionales expertos** en enfermedades raras - tras cumplir con las obligaciones de transparencia en su respectiva declaración de intereses -, así como de **asociaciones de pacientes** de la patología evaluada. El ámbito del comparador del medicamento huérfano en financiación, al igual que en el ámbito regulatorio, deberá reconocer solo aquellos medicamentos con autorización de comercialización por la Comisión Europea.
- 4** Debido a las particularidades de los MM.HH., es imprescindible **establecer y fortalecer un proceso de diálogo temprano y continuo** entre la Administración y las empresas, tanto para el horizon scanning como la preparación para la evaluación. El diálogo temprano tiene que permitir identificar terapias emergentes con antelación, generando la evidencia necesaria para facilitar el acceso, y alineando expectativas.

- 5 En aplicación del Reglamento (CE) 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo de 16 de diciembre de 1999 sobre medicamentos huérfanos² consideramos necesaria la implementación de las garantías asociadas a estos medicamentos en relación con la **exclusividad comercial**, incluyendo sucesivas indicaciones autorizadas de un mismo medicamento huérfano y su asociada exclusividad comercial. Será necesario, por lo tanto, limitar la entrada de medicamentos similares para la misma indicación terapéutica, y asegurar una **protección adicional** frente a otras alternativas utilizadas sin autorización de comercialización, como pueden ser las fórmulas magistrales o tratamientos con exención hospitalaria.
- 6 Además, como aparece en los objetivos del proyecto, para AELMHU es relevante que se tenga en cuenta la efectividad de los medicamentos, así como los datos de vida real que permitan resolver las incertidumbres identificadas durante el diálogo temprano y durante el proceso de precio y financiación. Por ello, recomendamos que la **recogida de estos datos se adapte a la práctica clínica de los Centros, Servicios y Unidades de Referencia del SNS (CSURs)**. Además, podría generar un mayor valor añadido poder **utilizar la evidencia de datos de vida real generada en España a través de uso compasivo/situaciones especiales**.
- 7 Incluir en las **definiciones de transparencia y de confidencialidad**, aquellos aspectos que, por la propia naturaleza del procedimiento en cuestión, deban permanecer confidenciales, con el fin de salvaguardar la competencia y el correcto funcionamiento del mercado, estando así en consonancia con la voluntad de la Estrategia de la Industria Farmacéutica.

² <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/ES/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141>

En este sentido, desde AELMHU consideramos fundamental la confidencialidad de aspectos tales como: el precio de financiación de los medicamentos, así como el de adquisición, fabricación, y sus condiciones de financiación; los costes de I+D y producción; las fuentes de financiación (de la I+D); la inversión comercial y los aspectos de promoción y publicidad de los medicamentos.

8

Revisión de los criterios de financiación: inclusión de atributos en la evaluación que vayan más allá de su coste - efectividad y criterios de eficiencia; reflejar claramente el valor clínico, económico y social de los medicamentos es esencial. En este sentido, recomendamos:

- La **inclusión de aspectos como la necesidad médica, la calidad de vida** de los pacientes y sus cuidadores, la carga familiar de la enfermedad y aspectos de **igualdad, equidad o solidaridad**; basar las decisiones tanto en resultados tradicionales como consideraciones de impacto clínico, ético y social (costes directos, indirectos y/o de productividad), y también desde la perspectiva del paciente; y los criterios de evaluación no tradicionales (*outcomes modeling*).
- También recomendamos **diferenciar los medicamentos huérfanos que suponen una innovación incremental, dada la ausencia de alternativas terapéuticas** o con respecto a posibles alternativas que puedan existir en el mercado, y que beneficien a los pacientes, la práctica clínica, al sistema sociosanitario, o al medioambiente.

9

Celebramos la voluntad del Ministerio de determinar los criterios para la **elaboración de las directrices, guías y procedimientos de evaluación** con reglas claras y transparentes para cada uno de ellos, así como sus mecanismos de aprobación. Desde la AELMHU consideramos que se deberían trabajar desde la colaboración y el consenso de todas las partes implicadas, incluyendo la industria. Además, estas guías y procedimientos deberían tener un carácter dinámico, con plazos de seguimiento,

revisión e incorporación de cambios para adaptarse a las necesidades cambiantes del sistema. Estos procedimientos deben explicitar tiempos máximos de resolución, tanto para nuevos medicamentos e indicaciones como para revisiones para medicamentos e indicaciones ya financiados por el SNS.

- 10** Dada la **naturaleza de los MM.HH., y las especificidades reconocidas a los mismos, y aun cuando estos pierden su designación huérfana**, desde AELMHU recomendamos que se limite el uso de mecanismos para reducir el precio en aquellos productos que ya cuentan con una decisión de financiación positiva, ya sea por la entrada de una nueva alternativa terapéutica con autorización de comercialización (pero nunca sin autorización de comercialización) o por desviaciones (a la alta) en su consumo.
- 11** Siguiendo la jurisprudencia del Alto Tribunal español y de acuerdo con la legislación europea vigente, los medicamentos que hayan sido designados como huérfanos **no deben ser incluidos en ningún conjunto de los órdenes de precios de referencia** porque afectaría negativamente de cara a conseguir el objetivo perseguido por el Reglamento (CE) 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo de 16 de diciembre de 1999 sobre medicamentos huérfanos en relación a los incentivos para fomentar la investigación, el desarrollo y la comercialización de los medicamentos declarados huérfanos.

aeLmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



aelmhu.es