

10

**PRIORIDADES
DE AELMHU
PARA LA PRÓXIMA
LEGISLATURA**

En España, alrededor de **3,4 millones de personas** conviven con alguna enfermedad rara. Para muchas de ellas, la innovación terapéutica puede representar la única alternativa disponible.

3,4



MILLONES DE PERSONAS

Este contexto exige un marco que favorezca la investigación y facilite la llegada de nuevas terapias a los pacientes de forma más ágil y equitativa. Las enfermedades raras requieren una respuesta específica de las políticas públicas ante una realidad marcada por la baja prevalencia, la elevada necesidad médica no cubierta y las dificultades estructurales para generar evidencia en condiciones comparables a las de enfermedades más frecuentes. España debe contar con un entorno capaz de responder a estas particularidades, favorecer la investigación y acelerar la llegada de nuevas terapias a los pacientes en condiciones de equidad.

Los medicamentos huérfanos son aquellos destinados a prevenir, diagnosticar o tratar

enfermedades raras. Su desarrollo presenta retos específicos derivados, entre otros factores, del reducido número de pacientes, la limitada disponibilidad de evidencia y la elevada necesidad médica no cubierta.

Ante el inicio de una nueva legislatura, la **Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)** propone diez prioridades orientadas a mejorar el acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, reforzar la investigación y la competitividad de España y avanzar hacia un entorno más estable, predecible y adecuado a las características de las enfermedades raras y sus tratamientos.

01

INTEGRAR LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA POLÍTICA NACIONAL DE ENFERMEDADES RARAS

España debe contar con una política de enfermedades raras que abarque las distintas etapas de la atención de los pacientes: investigación, diagnóstico, asistencia y acceso a los tratamientos.

El acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos debe incorporarse de forma expresa como uno de los objetivos de esta política, junto con la investigación, la equidad territorial y la participación de los pacientes.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Incorporar de forma expresa el acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos entre los objetivos de la política nacional de enfermedades raras, con metas e indicadores que permitan evaluar los avances en tiempos de acceso, equidad territorial y resultados.

02

POSICIONAR A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA POLÍTICA INDUSTRIAL Y EN LA ESTRATEGIA DE COMPETITIVIDAD

La investigación y el desarrollo de medicamentos huérfanos deben formar parte de la política industrial, científica y de competitividad de España.

La política industrial debe generar incentivos que favorezcan la inversión en I+D y en capacidades digitales. Es imprescindible reconocer las particularidades de las compañías que trabajan en enfermedades raras y reforzar la capacidad de España para atraer inversión, actividad innovadora, empleo cualificado y proyectos de alto valor añadido.

La regulación europea de medicamentos huérfanos ha sido determinante para estimular la investigación y favorecer la llegada de nuevas terapias. Por ello, las políticas nacionales deben ser coherentes con este principio

y evitar medidas económicas o regulatorias de carácter general que puedan tener un impacto desproporcionado sobre los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos o desincentivar la inversión y el desarrollo de nuevas alternativas terapéuticas.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Reconocer los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos como un ámbito estratégico de la política industrial farmacéutica, preservar los incentivos necesarios para su investigación y desarrollo y evaluar el impacto de las medidas económicas y de contención del gasto sobre la innovación y el acceso de los pacientes.

03

CONSOLIDAR ESPAÑA COMO PAÍS DE REFERENCIA EN INVESTIGACIÓN CLÍNICA EN ENFERMEDADES RARAS

España debe mantener y reforzar su posición de liderazgo europeo en investigación clínica en enfermedades raras.

Para ello, resulta necesario seguir simplificando los procedimientos, reducir los tiempos de puesta en marcha de los ensayos, fortalecer las redes de centros especializados y mejorar la identificación y derivación de pacientes candidatos a participar en investigación clínica.

La capacidad de atraer ensayos clínicos constituye un activo estratégico para el sistema sanitario y para el país.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Reducir los plazos de puesta en marcha de los ensayos clínicos en enfermedades raras, reforzar las redes de centros especializados y establecer circuitos que faciliten la identificación y derivación de pacientes.

04

REFORZAR LA GENERACIÓN Y UTILIZACIÓN DE DATOS EN ENFERMEDADES RARAS

España necesita avanzar hacia un sistema de información capaz de transformar los datos disponibles sobre enfermedades raras en conocimiento útil para la asistencia, la investigación y la toma de decisiones.

Es necesario impulsar registros interoperables, avanzar en la utilización sistemática de ORPHAcodes y otros sistemas de codificación adecuados y mejorar la medición de resultados en salud.

El desarrollo del Espacio Europeo de Datos Sanitarios representa una oportunidad para mejorar la investigación en enfermedades raras y reforzar la capacidad de España para generar y utilizar conocimiento.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Impulsar la implantación sistemática de ORPHAcodes en el Sistema Nacional de Salud y favorecer el desarrollo de registros interoperables entre comunidades autónomas, conectados con las infraestructuras del Espacio Europeo de Datos Sanitarios. Una gobernanza que promueva el uso secundario de estos datos para la toma de decisiones y mejora de resultados en salud.

05

IMPULSAR UN MODELO DE ACCESO TEMPRANO PARA MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

España debe disponer de un mecanismo estable de acceso temprano que permita responder a situaciones de necesidad médica no cubierta cuando exista una innovación terapéutica con potencial para aportar un beneficio clínico relevante.

Este modelo debe facilitar el acceso en aquellos casos en los que no existan alternativas terapéuticas adecuadas y concurren condiciones clínicas que justifiquen una respuesta más ágil, mientras se completa el procedimiento ordinario de evaluación y financiación.

Asimismo, debe contar con criterios claros, previsibles y transparentes, favorecer el diálogo temprano entre la Administración, los evaluadores y las compañías y promover la generación de información adicional que contribuya a reducir las incertidumbres.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Establecer un mecanismo estable de acceso temprano que permita financiar de forma provisional o condicionada medicamentos para enfermedades raras con necesidad médica no cubierta y sin alternativas terapéuticas adecuadas mientras concluye el procedimiento ordinario de evaluación y financiación.

06

DESARROLLAR MODELOS DE EVALUACIÓN ADAPTADOS A LAS ENFERMEDADES RARAS

La evaluación de los medicamentos huérfanos debe tener en cuenta las particularidades derivadas de la baja prevalencia, como el reducido número de pacientes, la ausencia de comparadores, la heterogeneidad clínica o la limitada disponibilidad inicial de datos.

Los procesos de evaluación deben aplicar criterios proporcionados que permitan incorporar, cuando resulte necesario, datos y evidencia en vida real para complementar la información disponible y reducir las incertidumbres asociadas a la evaluación.

Junto al valor clínico, la evaluación debe reconocer adecuadamente la necesidad médica no cubierta y el valor social de los tratamientos, incluyendo su impacto sobre la autonomía y la calidad de vida de los pacientes, sus familias y cuidadores, así como sobre otros recursos sanitarios y sociales.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Desarrollar metodologías de evaluación adaptadas a las particularidades de los medicamentos huérfanos, que reconozcan el valor de los datos y la evidencia en vida real, incorporen el valor social de los tratamientos y favorezcan la participación de pacientes y expertos clínicos.

07

IMPULSAR MODELOS DE FINANCIACIÓN MÁS FLEXIBLES Y ADAPTADOS A LA INCERTIDUMBRE

La incertidumbre clínica o económica asociada a determinados medicamentos huérfanos debe poder gestionarse mediante instrumentos de financiación que eviten que se convierta en una barrera para el acceso.

España debe favorecer modelos adaptados a las características de cada medicamento y de cada patología, que permitan compatibilizar acceso y sostenibilidad y revisar las decisiones a medida que se disponga de nueva evidencia y resultados en práctica clínica.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Impulsar, consolidar y desarrollar modelos de financiación flexibles para los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, adaptados a sus particularidades y a la evolución de la evidencia, favoreciendo el uso de acuerdos basados en resultados, financiación condicionada y otros mecanismos de gestión de la incertidumbre cuando resulten adecuados, dentro de un marco de criterios claros y previsibles.

08

GARANTIZAR LA EQUIDAD TERRITORIAL EN EL ACCESO A TRATAMIENTOS PARA LAS ENFERMEDADES RARAS

La financiación nacional de un medicamento debe traducirse en un acceso efectivo para los pacientes con independencia de su lugar de residencia.

Para hacerlo efectivo, resulta prioritario reforzar la coordinación entre el Estado y las comunidades autónomas, evitar reevaluaciones o requisitos adicionales que puedan demorar el acceso y mejorar la transparencia sobre los procedimientos y los tiempos reales de incorporación de los tratamientos.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Garantizar que las decisiones de financiación del Sistema Nacional de Salud se traduzcan en un acceso efectivo y equitativo en todas las comunidades autónomas, evitando retrasos injustificados y mejorando la transparencia sobre los tiempos reales de acceso.

09

GARANTIZAR EL ACCESO A LAS TERAPIAS AVANZADAS PARA LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS

Las terapias avanzadas destinadas a enfermedades raras requieren modelos específicos de organización, financiación y seguimiento por su elevada complejidad asistencial, su concentración en centros especializados y su impacto presupuestario.

España debe avanzar hacia mecanismos de financiación predecibles, incluidos modelos plurianuales, financiación finalista cuando resulte adecuada y acuerdos vinculados a resultados, reforzando al mismo tiempo la coordinación entre comunidades autónomas, CSUR, centros especializados y redes europeas de referencia.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Desarrollar mecanismos específicos de financiación y coordinación para las terapias avanzadas destinadas a enfermedades raras que garanticen un acceso equitativo, faciliten la atención en centros de referencia y eviten que el lugar de residencia del paciente condicione su acceso al tratamiento.

10

ESTABLECER UN MARCO ESPECÍFICO PARA LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

La aplicación de normas generales concebidas para medicamentos dirigidos a poblaciones más amplias puede generar efectos desproporcionados en el ámbito de las enfermedades raras. Por ello, resulta necesario incorporar un **principio de proporcionalidad regulatoria**, de forma que las obligaciones y requisitos se adapten a las características de estos medicamentos, a la baja prevalencia de las patologías y a las limitaciones reales para generar evidencia, evitando cargas que puedan desincentivar la investigación o dificultar la llegada de nuevas terapias.

PROPUESTA PARA LA PRÓXIMA LEGISLATURA

Incorporar de forma transversal el principio de proporcionalidad regulatoria en el marco normativo aplicable a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, evitando que medidas de carácter general generen un impacto desproporcionado sobre su investigación, desarrollo y acceso.

UN COMPROMISO DE PAÍS CON LAS ENFERMEDADES RARAS

España cuenta con las capacidades científicas, clínicas e industriales necesarias para consolidar su liderazgo en investigación, diagnóstico, desarrollo y acceso a tratamientos para las personas con enfermedades raras. El reto de la próxima legislatura es transformar ese potencial en mejores resultados para los pacientes mediante políticas estables, previsibles y adaptadas a las particularidades de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Estas diez prioridades ofrecen una hoja de ruta para avanzar en esa dirección. AELMHU pone su conocimiento, experiencia y capacidad de interlocución a disposición de los responsables públicos para contribuir a que la innovación llegue a los pacientes de forma más ágil, equitativa y sostenible.



aelmhu.es

