



EN VOZ RARA.

REVISIÓN DE LA NORMATIVA
EUROPEA DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS.
CONCLUSIONES.

Impacto y contribución de En Voz Rara
en la calidad asistencial, calidad de vida y mejora
de la eficiencia en el manejo de las Enfermedades
Raras y los Medicamentos Huérfanos.

EN VOZ RARA. REVISIÓN DE LA NORMATIVA EUROPEA DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS. CONCLUSIONES.

En el año 2000 la Unión Europea adoptó un Reglamento sobre medicamentos huérfanos que supuso un punto de inflexión al establecer incentivos para la investigación y desarrollo de tratamientos. Fue posible gracias al diálogo entre autoridades e industria farmacéutica, y estimuló fuertemente el trabajo de las compañías en este campo.

Puede claramente afirmarse que el actual reglamento ha sido un éxito, que Europa se ha beneficiado enormemente de su Reglamento sobre medicamentos huérfanos.

El sistema actual de incentivos a la investigación, desarrollo y registro de estos medicamentos ha permitido poner en el mercado mayor número de terapias, transformando por tanto la vida de los pacientes y de sus familias, mejorando los resultados en salud y contribuyendo a la economía de toda la Unión Europea. Pero, a pesar de los logros conseguidos, el 95% de las Enfermedades Raras aún necesitan opciones de tratamiento. El 50% de los afectados son niños.

El reglamento actual ha contribuido a hacer realidad alrededor de 200 medicamentos para los países de la Unión Europea y ha beneficiado a más de 20 millones de pacientes en toda la región, investigación clínica (AEMPS: más de 4.000 ensayos en marcha en 2019, 837 están focalizados en patologías raras) mayor conocimiento de las Enfermedades Raras, lo cual es esencial para el desarrollo de nuevos tratamientos: se han creado 24 redes de referencia en Europa; 23 Estados Miembros han puesto en marcha planes nacionales de Enfermedades Raras, España incluida.

Ahora, la iniciativa denominada con acierto **EN VOZ RARA**, ha permitido escuchar la voz de los diferentes agentes del ecosistema sanitario implicados en la mejora de vida de las personas afectadas por las denominadas *Enfermedades Raras o poco frecuentes*, empezando por la de los propios pacientes y las asociaciones que los engloban.

El momento en el que hemos desarrollado este proyecto no puede ser más oportuno ya que asistimos a un interesante debate en el seno de la Unión Europea, orientado a remodelar el marco normativo que regula el entorno de los medicamentos huérfanos y sobre el que nos ha ilustrado con acierto el Dr. Álvaro Lavandeira. Un nuevo entorno que sin duda nos ha de permitir avanzar hacia un futuro más esperanzador para los afectados y sus familias.

En Voz Rara, anticipándose a la remodelación del actual marco normativo en la Unión Europea, ha debatido en un entorno transparente en el que se ha puesto en valor lo conseguido con la normativa actual y señalar los puntos de mejora que han de tenerse en cuenta en la nueva propuesta de cambio.

Es necesario seguir garantizando un marco regulatorio estable y predecible, con incentivos para la industria farmacéutica, que apoye aún más la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos, tan necesario para ese 95% de las Enfermedades Raras que no disponen aún de alternativa terapéutica.

Predecible debido a que las decisiones que se toman desde el sector se realizan como mínimo 10 años antes de que el medicamento llegue al mercado.

Actualmente, el marco regulatorio para los medicamentos huérfanos en la Unión Europea prevé 10 años de exclusividad de mercado junto con asistencia de protocolo y exenciones de tarifas. Seguimos convencidos de que el marco existente es un éxito y que una parte sustancial de la desigualdad de acceso observada se deriva de las políticas nacionales y los procesos de toma de decisiones.

No es momento de poner en peligro la continuidad de los logros conseguidos con un Reglamento probado y efectivo, sino de incentivar aún más la investigación de nuevos tratamientos para pacientes con necesidades



médicas no cubiertas, máxime cuando una de las deficiencias identificadas por la Comisión en su informe de evaluación es la falta de tratamientos para todavía el 95% de las Enfermedades Raras.

En el actual contexto de diálogo y debate sobre regulación, hemos de dar la bienvenida a los esfuerzos de la Comisión Europea para explorar la creación de incentivos adicionales para estimular la innovación y el desarrollo de medicamentos huérfanos en áreas con necesidades médicas no cubiertas. Al respecto, se ha de promover un diálogo abierto y constructivo con todas las partes interesadas en torno a la definición de lo que se debe considerar como necesidad médica no cubierta.

Por otro lado, que no se ponga en riesgo el necesario equilibrio entre innovación, acceso y sostenibilidad.

Se ha de profundizar con las autoridades sanitarias en la definición de acuerdos de entrada de medicamentos que sean novedosos (pago por resultados, pago diferidos en el tiempo, etc...) y que faciliten un acceso ágil de los pacientes a los nuevos tratamientos, permitiendo a los pagadores gestionar mejor la incertidumbre clínica, el impacto presupuestario y, por tanto, la sostenibilidad de los sistemas sanitarios.

Estamos convencidos de que aún queda mucho por avanzar. La creación de registros de pacientes, la compartición de datos y una mayor colaboración público-privada ayudarían también en este viaje que inició hace 20 años el Reglamento Europeo de Medicamentos Huérfanos, que requiere de la cooperación global de todos los agentes para seguir investigando y, por tanto, ofreciendo esperanza para los pacientes en las próximas décadas.

Hay múltiples vías aún por explorar:

- Procedimiento de financiación acelerada.
- Diálogo temprano.
- Criterios de evaluación y financiación propios de Medicamentos Huérfanos que, además del impacto presupuestario y el coste-efectividad, consideren la gravedad de la patología, las necesidades de los colectivos y el valor social del medicamento.
- Mayor implicación de expertos y pacientes en la toma de decisiones.

Entre las principales consideraciones abordadas y los retos planteados, destacan:

- Las personas que sufren enfermedades poco frecuentes deben beneficiarse de la misma calidad de tratamiento que cualquier otra persona.
- El actual reglamento de medicamentos huérfanos ha favorecido la investigación y desarrollo de tratamientos incentivando el tejido de emprendimiento biotecnológico.
- Acelerar el acceso a la innovación, reduciendo los tiempos entre la aprobación de un medicamento y su comercialización en España, evitando la sensación de abandono del paciente y la impotencia del profesional sanitario.
- Incrementar la equidad y la coordinación entre comunidades autónomas españolas e incluso entre hospitales.
- España debe mejorar el retraso frente a otros países europeos en cuanto al número de tratamientos disponibles y plazos de financiación, favoreciendo a los pacientes.
- Se debe implementar la participación efectiva de pacientes y profesionales en todos los niveles del proceso de aprobación.
- Hemos de velar para que los criterios de acceso al fármaco sean principalmente las necesidades sanitarias del paciente.
- Hay que impulsar en la Unión Europea la investigación en Enfermedades Raras, garantizando su competitividad frente, por ejemplo, a Estados Unidos o Japón.
- La futura presidencia española de la Comisión Europea en 2023 es una gran oportunidad para que la administración sanitaria española consolide su compromiso con las Enfermedades Raras.
- La modificación del Reglamento debe continuar favoreciendo la investigación, resolviendo a su vez los problemas existentes en el acceso y mejorando la calidad de vida del paciente.

CONCLUSIONES

A pesar de que hemos avanzado necesitamos mantener el incentivo para el desarrollo de Medicamentos Huérfanos. Las actuales dificultades en su acceso no pueden abordarse desde el entorno normativo europeo al tratarse de una responsabilidad de cada uno de los Estados Miembros.

Es crítico proporcionar un entorno regulatorio que permita dar respuesta desde el impulso a la ciencia. Sin necesidad de cambiar la legislación podemos optimizar el acceso en un entorno sostenible: nuevos modelos de acceso, digitalización, etc.

Para concluir decir que:

- 1º Es el momento oportuno para evaluar con serenidad el papel que ha jugado el Reglamento de Medicamentos Huérfanos. Han pasado 20 años, tenemos los datos. Es la hora de construir y también de conservar.
- 2º El campo de las Enfermedades Raras es tan extenso que es normal que todavía quede un enorme número de necesidades médicas no cubiertas. Debemos pensar que la causa no está en imperfecciones de la normativa sino en la enormidad del reto de tantas y tantas patologías distintas.
- 3º Queda claro que el sistema de incentivos es irrenunciable, aunque la forma de concebirlo pueda admitir mejoras.
- 4º Los dos problemas principales son el número de necesidades médicas no cubiertas y el deterioro del acceso (dificultad e inequidad).