



Universidad
de Alcalá



FUNDACIÓN
GENERAL
UNIVERSIDAD
DE ALCALÁ

Evaluación del modelo de gestión actual de las enfermedades raras y medicamentos huérfanos

OBSERVATORIO LEGISLATIVO DE ENFERMEDADES
RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



CON LA COLABORACIÓN DE

ALEXION

Cariotipo
Lobby & Comunicación

Introducción

Los medicamentos huérfanos, dada su complejidad, presentan unas necesidades específicas, para una adecuada gestión, que se evidencian tanto en los trámites administrativos para su autorización, como en los plazos de análisis y fijación de precios. Estas circunstancias pueden provocar, además, inequidades en el acceso a tratamientos innovadores en las diferentes Comunidades Autónomas.



El presente documento, el segundo de una serie, pretende identificar los principales retos legislativos a los que hay que dar respuesta para mejorar la calidad de vida de estos pacientes y sus familias.



Análisis de la situación actual en la gestión de enfermedades raras y medicamentos huérfanos

Observando el actual modelo de gestión de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, se detectan una serie de factores que influyen directamente en el acceso a los tratamientos por parte de los pacientes y, en consecuencia, en su calidad de vida.

En la mayoría de los casos, **el origen de la problemática** relacionada con los medicamentos huérfanos **se encuentra en los procesos administrativos vigentes y en la falta de plazos claramente definidos para su evaluación, aprobación y fijación del precio.**

Además, de acuerdo con el reparto competencial en materia de salud, nos encontramos con un modelo descentralizado. Esto supone que, una vez autorizado un medicamento y establecido el precio y su financiación por la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos y Productos Sanitarios, las Comunidades Autónomas realizan una reevaluación que, en base a criterios económicos principalmente, en algunos casos provoca el retraso de la entrada o la no incorporación de determinados medicamentos en la prestación farmacéutica. Así mismo, todo este proceso acaba derivando en inequidades entre Comunidades Autónomas o incluso dentro de las mismas.

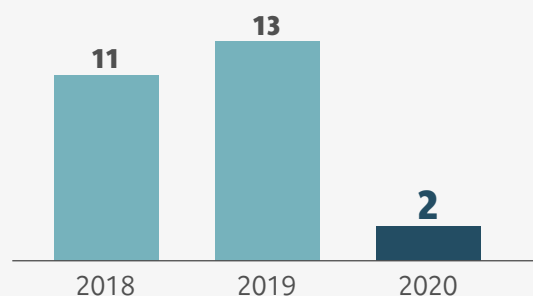
El origen de la problemática se encuentra en los procesos administrativos vigentes y en la falta de plazos claramente definidos para su evaluación

Una herramienta clave en el proceso de evaluación de los medicamentos son los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) emitidos por la AEMPS. Hasta ahora estos documentos no incluían una evaluación económica ampliada de los medicamentos, ni evaluaciones terapéuticas independientes para los medicamentos huérfanos. Este año, sin embargo, el Ministerio de Sanidad ha presentado una renovación de los modelos de IPTs que contarán con una evaluación económica de coste-efectividad de los medicamentos, así como una evaluación diferenciada por patologías, entre las que se encuentran las enfermedades raras.

Según el último boletín informativo de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), correspondiente al mes de agosto de 2020:

- **Medicamentos huérfanos comercializados**

En este último año únicamente han sido dos los medicamentos huérfanos comercializados en España, frente a los 13 y 11 de los años 2019 y 2018 respectivamente.



- **Tiempo para su comercialización**

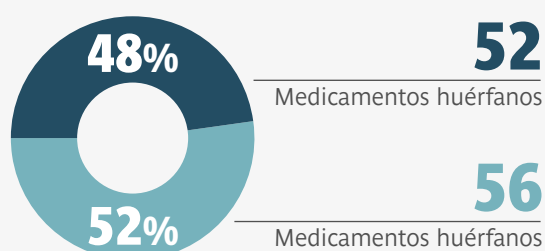
La media entre la asignación del Código Nacional y la comercialización es de

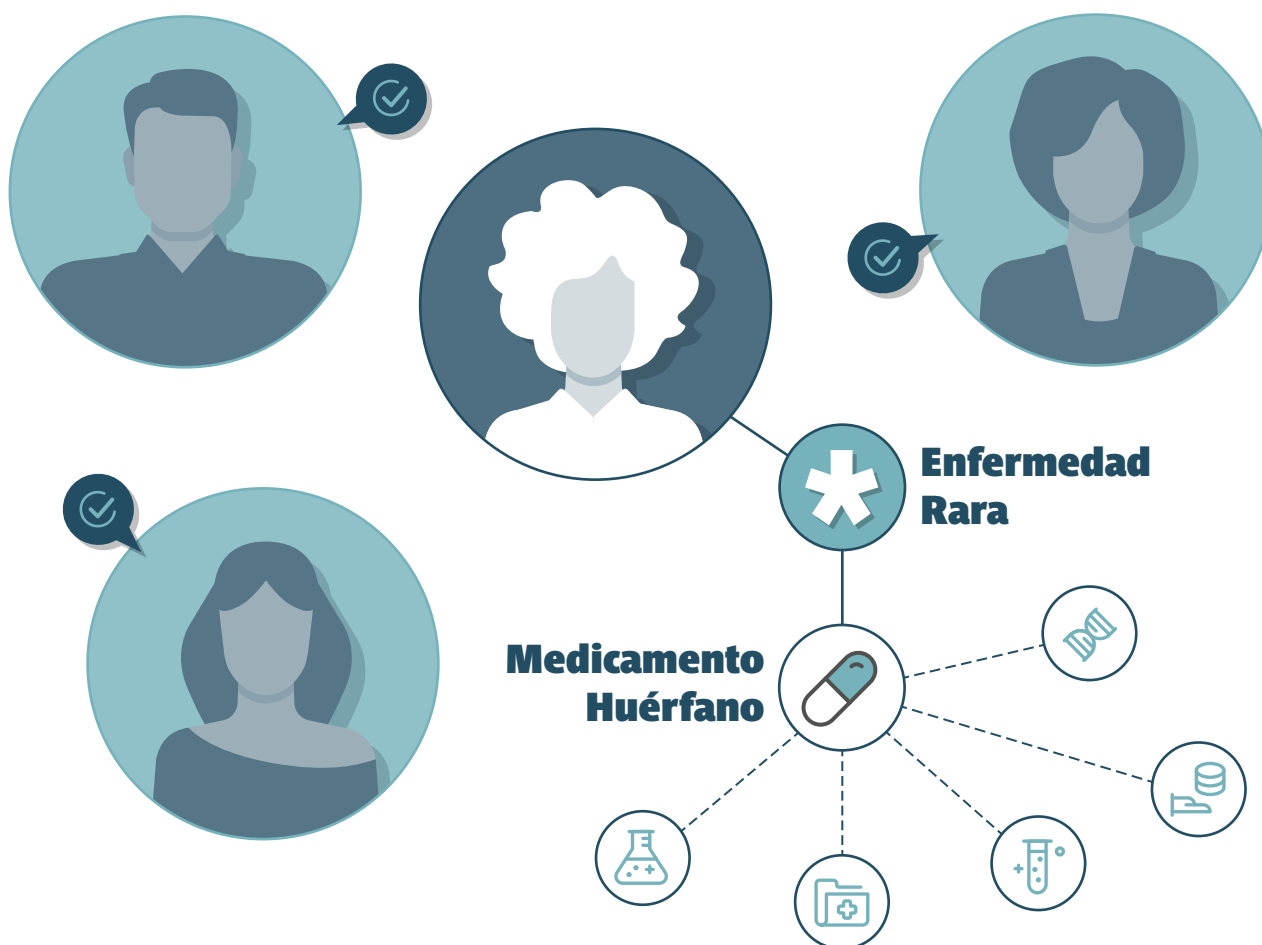
13
meses

- **Medicamentos huérfanos disponibles**

Tan sólo el 48% de los medicamentos huérfanos aprobados en la Unión Europea están disponibles en España.

■ Disponibles en España
■ No disponibles en España





Modelos de gestión en el marco europeo

Algunos países de la Unión Europea, conscientes de las particularidades de estos medicamentos, han elaborado vías alternativas para acelerar los procesos administrativos que se podrían tomar en consideración en España.

Por ejemplo, en **Alemania**, el modelo se basa en un **cumplimiento estricto de plazos de autorización y asignación de los precios**, en este último caso en un plazo de 15 días, y en la aplicación de una reevaluación anual del medicamento ya comercializado, contando para ello con información actualizada.

Otra vía consistiría en **establecer un procedimiento aplicado exclusivamente con los medicamentos huérfanos acorde con sus características específicas**. Este es el caso de Italia, donde se ha optado por la creación de un comité específico de medicamentos huérfanos para el proceso de fijación de precio y financiación.

Posiblemente, **aplicar un procedimiento administrativo diferenciado en España aceleraría la**

entrada de los medicamentos huérfanos en el Sistema Nacional de Salud y el acceso de los pacientes a estos fármacos.

En los últimos años, en nuestro país, se han desarrollado iniciativas que ofrecen perspectivas halagüeñas para el abordaje de los medicamentos huérfanos. Por una parte, el reciente **Plan para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los Medicamentos en el Sistema Nacional de Salud**; y por otra parte, el **Plan de abordaje de las Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud: Medicamentos CAR**, que puede servir de modelo para la mejora de la gestión de los medicamentos huérfanos.

Plan para la consolidación de los informes de posicionamiento terapéutico de los medicamentos en el Sistema Nacional de Salud

La iniciativa más reciente impulsada por el Ministerio de Sanidad, y que tendrá un efecto directo sobre las enfermedades raras, ha sido la implantación y coordinación de la red de evaluación de medicamentos del SNS 'Revalmed', contemplada en los presupuestos de 2021.

Este proyecto propone una **renovación del procedimiento de elaboración de los informes de posicionamiento terapéutico (IPTs)**.

Para ello, el Ministerio de Sanidad ha elaborado el **Plan para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los Medicamentos en el Sistema Nacional de Salud**, acompañado de un procedimiento normalizado de trabajo.

Las modificaciones más relevantes que introduce este nuevo Plan en los IPTs es la **incorporación de la evaluación fármaco-económica**. Además, la estructuración de la información descriptiva de acuerdo a las alternativas terapéuticas disponibles y sus resultados; así como la clasificación de los medicamentos en grupos y subgrupos en base a sus resultados o bien de acuerdo a las características de los pacientes que más se beneficiarían del tratamiento.

Al margen de todo esto, lo especialmente destacable de este Plan es la creación de **nodos de evaluación** de los borradores de los IPTs agrupados

por patologías incluyendo uno específico para las enfermedades raras. Estos nodos, además, están integrados por profesionales expertos, gestores y clínicos designados de las CCAA, lo que significa una mayor implicación de estas en la evaluación de los medicamentos y, en consecuencia, una posible simplificación de las re-evaluaciones realizadas a nivel autonómico.

Por otra parte, **establece unos plazos temporales delimitados para la aprobación de los IPTs** e incluye la información farmacoeconómica de los medicamentos que evalúan, agilizando, probablemente, el proceso administrativo de autorización y financiación de los medicamentos. En definitiva, este proyecto impulsado por el Ministerio de Sanidad refleja la voluntad del Gobierno por mejorar el proceso de autorización de los medicamentos y resulta especialmente destacable la mención específica a las enfermedades raras.

Ahora bien, habrá que esperar todavía para evaluar los resultados de este plan y su cumplimiento.



Propuesta: Plan integral de abordaje de los medicamentos huérfanos

El Ministerio de Sanidad ha aplicado iniciativas muy interesantes con otros medicamentos complejos. Un buen ejemplo es el del Plan de abordaje de las Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud: Medicamentos CAR, que ha tenido una muy buena acogida entre los agentes de interés, principalmente por su modelo organizativo.

Dada la complejidad de los medicamentos huérfanos y del proceso financiación y fijación de precios en España, **resulta necesario la elaboración de un plan integral de alcance nacional**. Este Plan estaría inspirado en el plan de abordaje de terapias avanzadas, con el objeto de garantizar el acceso de

los pacientes con enfermedades raras a los tratamientos disponibles de forma planificada, equitativa, segura y eficiente. Asimismo, **supondría una herramienta efectiva para mejorar el actual modelo de gestión de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos**.

A. Objetivo principal

Realizar un **análisis del actual modelo de gestión** de los medicamentos huérfanos **para detectar sus posibles deficiencias** con objeto de garantizar de forma planificada, equitativa, segura y eficiente el acceso de los pacientes a ellos.

Debido al número reducido de pacientes afectados por las llamadas enfermedades raras, **es necesario aplicar incentivos para impulsar la investigación y cubrir las carencias terapéuticas** que todavía existen.

B. Principios generales

El plan integral debe elaborarse en torno a los principios de:



El SNS debe disponer de un **modelo organizativo y de un modelo asistencial** para la utilización óptima de estos medicamentos que facilite los trámites administrativos de autorización y fijación de precios de los mismos, así como un acceso equitativo, seguro y eficiente a todas las personas para las que está indicado.

Para ello, es preciso:

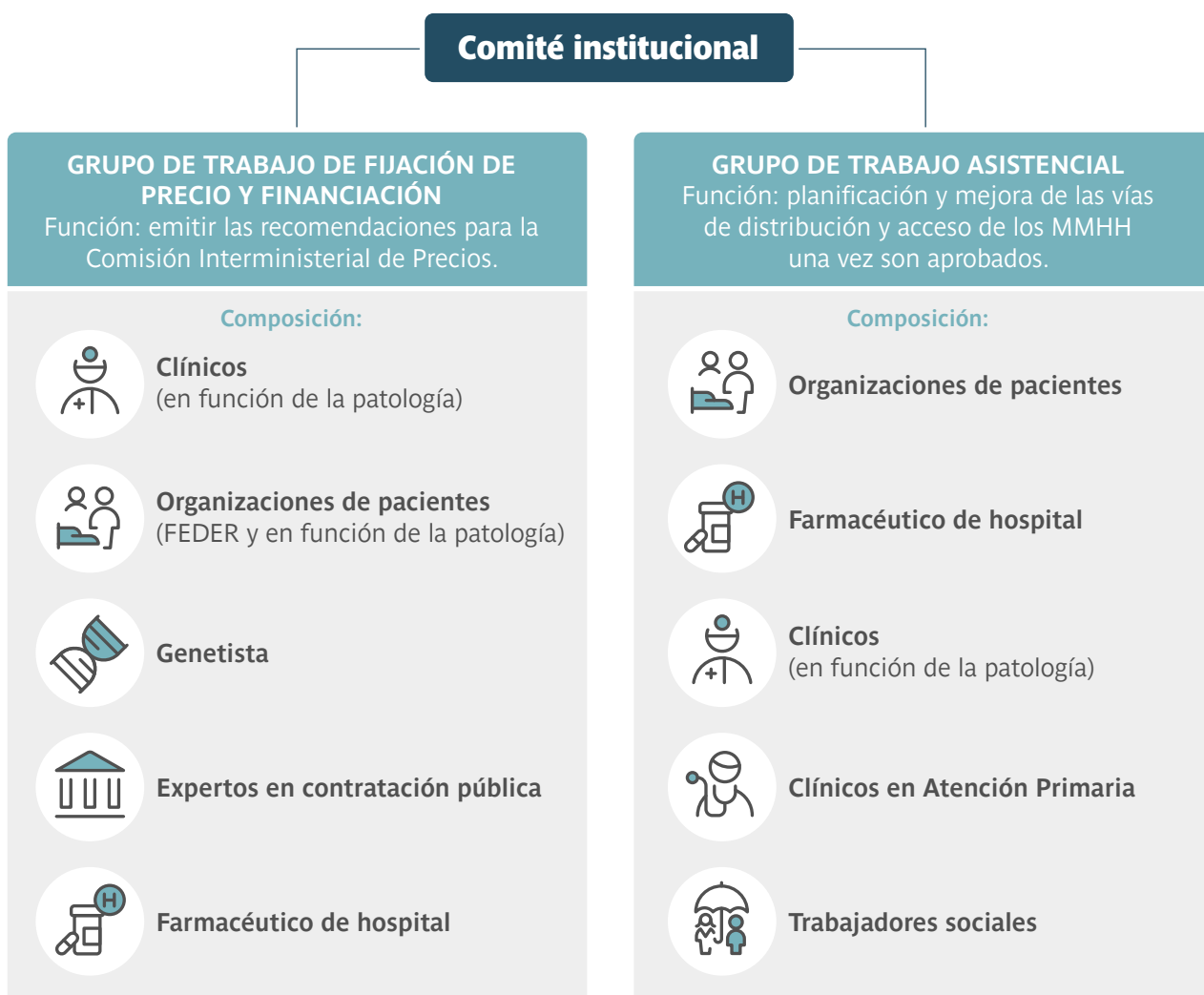
- 1 Reforzar la atención primaria:** formación e información de profesionales médicos y pacientes.
- 2 Mejorar la red de Centros de Referencia (CSUR)** y su interoperabilidad con los centros de referencia en otros países europeos.
- 3 Creación de un comité independiente** que emita recomendaciones para la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- 4 Promover una financiación adecuada y suficiente** para la gestión de los medicamentos huérfanos y las enfermedades raras.

C. Modelo organizativo

Creación de un Comité institucional con representación de, al menos, los siguientes organismos:



Este Comité constituirá **2 grupos de trabajo** específicos que **se reunirán de forma ordinaria una vez al año y de forma extraordinaria cuando haya 2 medicamentos pendientes de fijación de precio y financiación.**



D. Participación en el diseño y mejora del plan

La participación de los grupos de interés en el diseño y mejora del presente Plan es un elemento relevante para la identificación tanto de las necesidades de los mismos como para su mejora.

Para ello, se establecerán los canales necesarios para que los agentes implicados en el proceso puedan realizar las aportaciones que consideren, tanto a nivel profesional como a nivel de la sociedad civil, estableciéndose un plazo para ello.

Financiación

Un último punto que tiene un impacto directo en la gestión de los medicamentos huérfanos y las enfermedades raras es su financiación.

La Administración debe prepararse para integrar modelos innovadores de financiación, y para ello es preciso que disponga de un buen registro de datos en relación a los MMHH sobre el gasto real que están teniendo las CCAA. Solo así es posible establecer una financiación fija, adecuada y suficiente independiente de los cambios de gobierno y de la situación económica.

En este sentido, **Valtermed puede ser una herramienta para** facilitar esa información que permita **valorar el uso de modelos como el pago por resultados**. No obstante, pese a su utilidad, debe mejorarse facilitando la introducción de datos y el acceso a ellos.

En cualquier caso, la cuestión de **la financiación de los medicamentos huérfanos es fácilmente mejorable** estableciendo una financiación finalista específica, adecuada y suficiente dentro del Fondo

de Cohesión, para lo cual sólo es necesario la aprobación de una orden ministerial que lo habilite.

Un último aspecto a tener en cuenta sería **revisar los modelos de contratación** ya que actualmente y apostar por nuevas alternativas, como son el pago por indicación, el modelo Netflix o el pago por resultado. Este último tendría un efecto positivo de cara a las reevaluaciones de algunas CCAA porque les permitiría partir de evidencias terapéuticas que, de otra manera, no siempre se tienen en consideración. Por otra parte, el modelo Netflix, sin duda el más innovador, debería ser objeto de estudio como una alternativa.

En cualquier caso, **se deberá analizar la Ley de Contratos del Sector Público para regular la contratación** en el ámbito de la salud, y concretamente, en el ámbito de los medicamentos huérfanos.

Conclusiones

Aunque en los últimos meses se han introducido mejoras en la gestión de los medicamentos huérfanos y las perspectivas son halagüeñas, todavía hay aspectos que deberían ser objeto de revisión.

Aspectos destacados que deberían ser revisados:

1.- La necesidad de regular con **plazos, criterios objetivos y transparencia** el procedimiento de fijación de precio de los medicamentos.

2.- El establecimiento de **protocolos homogéneos** para las re evaluaciones de las Comunidades Autónomas.

3.- La realización de un seguimiento del **cumplimiento del Plan para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los Medicamentos en el Sistema Nacional de Salud** y su impacto en el proceso de autorización de los medicamentos huérfanos.

4.- La elaboración de un **Plan de Abordaje específico** de Medicamentos Huérfanos.

5.- La creación, en el marco de este Plan, un **comité específico que busque soluciones** a las

deficiencias en el proceso administrativo de gestión de los medicamentos huérfanos.

6.- El desarrollo de **registros minuciosos** de información para disponer de criterios para una financiación adecuada y suficiente.

7.- El **conocimiento del gasto actual en medicamentos huérfanos y enfermedades raras** a nivel nacional y autonómico.

8.- La creación de **epígrafes específicos dentro del Fondo de Cohesión** para la gestión de las EERR y los MMHH.

9.- El estudio y valoración de **nuevos modelos de contratación**.

Anexo

Ante cualquier problemática con medicamentos huérfanos en España hay una doble solución; una solución general mediante el diseño de un Plan de Abordaje específico de Medicamentos Huérfanos y, por otro lado, una solución específica a cada problemática concreta.



Equipo multidisciplinar

El Observatorio lo compone un grupo multidisciplinar de expertos. A todos ellos les une un mismo interés, el de impulsar mejoras en la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras y sus familias.

Los expertos que conforman el grupo inicial son:



José Manuel Baltar

Ex consejero de Sanidad del Gobierno de Canarias.



Miguel Ángel Calleja

Jefe de Servicio de Farmacia Hospitalaria del Hospital Virgen de la Macarena y ex presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria.



Manuel Macía

Jefe del Servicio de Nefrología del Hospital Universitario Ntra. Sra. Candelaria y vicepresidente de la Sociedad Española de Nefrología (SEN).



Remedios Martel

Farmacéutica y ex directora general de Salud Pública de la Junta de Andalucía.



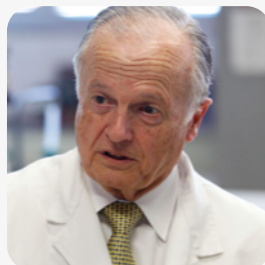
Julio Sánchez Fierro

Abogado y doctor en Ciencias de la Salud.



Conxita Tarruella

Presidenta de la Asociación Esclerosis Múltiple Lleida y ex portavoz de Sanidad en el Congreso de los Diputados.



Francisco Zaragoza

Catedrático de Farmacología de la Universidad de Alcalá.

CON LA COLABORACIÓN DE

ALEXION

Cariotipo
Lobby & Comunicación

Referencias

- Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) (2020), Los Medicamentos Huérfanos en España, Boletín Informativo Nº4. <https://aelmhu.es/>
 - Base de Datos de Información Sanitaria, Bot PLUS: <https://botplusweb.portalfarma.com/>
 - European Commission. Febrero 2020. Collaboration: a key to unlock the challenges of Rare Diseases Research, junio 2020. <https://cutt.ly/iyV7lQ1>
 - Eurordis Rare Diseases Europe. Último acceso: enero 2021. <https://www.eurordis.org/es>
 - Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Último acceso: enero 2021. <https://enfermedades-raras.org/index.php>
 - Hidalgo Vega A., et al. Diciembre 2019. News RARE 5. El Análisis de Decisión Multi-Criterio como modelo alternativo de evaluación de medicamentos huérfanos (Fundación Weber), mayo 2020. <https://cutt.ly/2yFkBAy>
 - Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento: [https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-\(orphan\)-designations-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#rare-disease-(orphan)-designations-section)
 - Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS: <https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>
 - Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social (2018), Plan de Abordaje de las Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud: Medicamentos CAR. Recuperado de: <https://www.msccbs.gob.es/>
 - Our World in Data and OECD. Último acceso: junio 2020. <https://ourworldindata.org/>
 - Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos: https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=a
- MARCO NORMATIVO:**
- Reglamento (CE) Nº 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo de 13 de noviembre de 2007 sobre medicamentos de terapia avanzada.
 - Directiva 2001/83/CE del Parlamento Europeo y del Consejo de 6 de Noviembre de 2001, por la que se establece un código comunitario sobre medicamentos para uso humano.
 - Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial
 - Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios (artículo 47), que traspone la Directiva 2001/83/CE del Parlamento Europeo y del Consejo de 6 de Noviembre de 2001, por la que se establece un código comunitario sobre medicamentos para uso humano
 - Real Decreto 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente.
 - Orden SAS/1144/2010, de 3 de mayo, por la que se modifica el anexo I del Real Decreto 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente, en lo que se refiere a los medicamentos de terapia avanzada.
 - Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial.
 - Real Decreto Ley 9/2014, de 4 de julio, por el que se establecen las normas de calidad y seguridad para la donación, la obtención, la evaluación, el procesamiento, la preservación, el almacenamiento y la distribución de células y tejidos humanos y se aprueban las normas de coordinación y funcionamiento para su uso en humanos.



Universidad
de Alcalá



FUNDACIÓN
GENERAL
UNIVERSIDAD
DE ALCALÁ

OBSERVATORIO LEGISLATIVO DE ENFERMEDADES
RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Evaluación del modelo de gestión actual de las enfermedades raras y medicamentos huérfanos

CON LA COLABORACIÓN DE

ALEXION

ALX21/ES003 FEBRERO 2021

Cariotipo
Lobby & Comunicación