

# ACCESO A TRATAMIENTO FARMACOLÓGICO EN LOS PACIENTES AFECTADOS POR ENFERMEDADES RARAS.

**AUTORÍA:**

HENAR SANZ TINAQUERO.

**EJE TEMÁTICO: ACCESO A MEDICAMENTOS Y/O PRODUCTOS SANITARIOS**

## INTRODUCCIÓN

Los medicamentos huérfanos (MMHH) están dirigidos al tratamiento de enfermedades raras, entendidas en la Unión Europea (UE) como aquellas cuya prevalencia es menor de 5 casos por cada 10.000 personas. En general, el desarrollo de estos fármacos carece de rentabilidad para la industria farmacéutica. Por ello, en el año 2000 se establecieron desde la UE una serie de incentivos (Reglamento CE 141/2000) para favorecer la investigación, desarrollo y comercialización de medicamentos adecuados para este colectivo de personas, con el fin de garantizar su derecho a la protección de la salud.

## OBJETIVOS Y MÉTODO

- Describir el proceso de desarrollo que siguen los MMHH, desde su designación hasta su comercialización en nuestro país.
- Analizar la situación de los MMHH en España en la actualidad.

Se realiza una búsqueda bibliográfica a través de Pubmed utilizando los descriptores MeSh "orphan drugs", "rare diseases" y "Europe" sin discriminar idioma de publicación de los artículos. Para completar la información se recurrió a los datos aportados por organismos oficiales como la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

## RESULTADOS

### 1 SOLICITUD DE DESIGNACIÓN COMO MEDICAMENTO HUÉRFANO

- Voluntaria y gratuita.
- No implica la aprobación del uso del fármaco para la enfermedad señalada.
- Permite beneficiarse de los incentivos recogidos en el Reglamento Europeo.
- ≤ 90 días.

### 2 AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN

- Tras determinar su calidad, seguridad y eficacia mediante los ensayos clínicos oportunos.
- Permite comercializar el fármaco en todos los países miembros de la UE.

### 3 FIJACIÓN Y FINANCIACIÓN DEL PRECIO DEL FÁRMACO

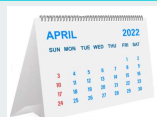
- Negociación particular entre el laboratorio titular y cada estado miembro de la UE.
- El fármaco llegaría al Sistema Nacional de Salud (SNS) español.



Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)

Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)

Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social.



A 30 de abril de 2023



146 principios activos huérfanos autorizados

127 (87%) están registrados en España.  
70 fármacos (48%) financiados por el SNS.

## CONCLUSIONES

- Los pacientes que sufren una enfermedad rara tienen derecho a disponer de tratamientos al igual que el resto de pacientes.
- Es necesario promover e incentivar las inversiones en el desarrollo de MMHH.
- Los procesos centralizados de designación y autorización de comercialización no garantizan el acceso equitativo de los pacientes a los fármacos en los distintos países europeos.

## REFERENCIAS

- Micallef J, Blin O. Orphan drug designation in Europe: A booster for the research and development of drugs in rare diseases. *Therapie*. 2020 Apr;75(2):133-139. doi: 10.1016/j.therap.2020.02.003. Epub 2020 Feb 13. PMID: 32156423.
- Blin O, Micallef J. Drugs and orphan diseases. *Therapie*. 2020 Apr;75(2):131-132. doi: 10.1016/j.therap.2020.02.002. Epub 2020 Feb 13. PMID: 32247679.
- Blin O, Lefebvre MN, Rascol O, Micallef J. Orphan drug clinical development. *Therapie*. 2020 Apr;75(2):141-147. doi: 10.1016/j.therap.2020.02.004. Epub 2020 Feb 13. PMID: 32247678.
- Informes de acceso » [Internet]. AELMHU. 2021 [citado el 28 de agosto de 2023]. Disponible en: <https://aelmhu.es/informes-de-acceso/>
- Ciberer.es. [citado el 28 de agosto de 2023]. Disponible en: <https://www.ciberer.es/media/810678/guia-medicamentos-huerfanos.pdf>
- BOE.es - DOUE-L-2000-80074 Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos [Internet]. Boe.es. [citado el 28 de agosto de 2023]. Disponible en: <https://www.boe.es/buscar/doc.php?id=DOUE-L-2000-80074>

**II CONGRESO INTERNACIONAL ACCESIBILIDAD A LOS SISTEMAS PÚBLICOS DE SALUD**



COFINANCIAN



COLABORAN

