

JORNADAS ASEDEF - INDUSTRIA Y PACIENTES: UN ENCUENTRO NECESARIO

MADRID 15 DE MARZO DE 2016

DERECHO DE ACCESO A TRATAMIENTOS INNOVADORES Y MH

Extracto ponencia impartida por Alba Ancochea Díaz. Directora de FEDER

Definición MH

1. Según la UE, un medicamento huérfano es aquel fármaco que se destina a establecer un diagnóstico, a prevenir o a tratar una enfermedad que pone en peligro la vida o conlleva una incapacidad grave y crónica, y que no afecta a más de 5 personas de cada 10.000.
2. Debe estar, además, destinado a una enfermedad que carece de tratamiento alternativo o bien que se trate de un nuevo medicamento que brinde beneficios adicionales a los pacientes, comparado con los tratamientos disponibles.

Por lo tanto, los llamados medicamentos “huérfanos” están destinados a tratar enfermedades que, por su rareza, los patrocinadores se muestran reacios a desarrollar bajo las condiciones de mercado habituales, ya que el pequeño tamaño del mercado al que van dirigidos no permitiría recuperar el capital invertido en la investigación y en el desarrollo del producto.

Derecho al acceso y normativa de referencia

Según el Estudio ENSERio de FEDER, un 51,28% de los pacientes manifiestan tener dificultades para acceder a los MH ya aprobados y autorizados. Tanto es así, que cerca de la mitad de ellos se ha visto obligada a viajar fuera de su provincia o comunidad en los últimos años a causa de su enfermedad.

Tan sólo el 23 % de las personas con enfermedades raras considera que es adecuado el nivel de financiación de la seguridad social de los tratamientos para su patología.

El 55 % de las personas con enfermedades raras señala que tiene serias dificultades para poder acceder a los tratamientos para su patología.

Los pacientes con enfermedades raras no pueden ser excluidos de los progresos realizados por la ciencia y la práctica médica, y tienen el mismo derecho a ser tratados que cualquier otro paciente.

Un buen medicamento para un paciente de una enfermedad rara es un medicamento que esté disponible en el país donde vive y a la vez sea asequible.

Normativa de referencia:

UNIÓN EUROPEA

El Reglamento Europeo sobre medicamentos huérfanos [Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos]

ESPAÑA

Ley 29/2006, de 26 de julio, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios

Artículo 88. Principio de igualdad territorial y procedimiento coordinado.

- 1. Se reconoce el derecho de todos los ciudadanos a obtener medicamentos en condiciones de igualdad en todo el Sistema Nacional de Salud, sin perjuicio de las medidas tendentes a racionalizar la prescripción y la utilización de medicamentos y productos sanitarios que puedan adoptar las Comunidades Autónomas en ejercicio de sus competencias.*

Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales, establece las condiciones para el uso compasivo, el acceso a medicamentos extranjeros y el uso en condiciones distintas a las autorizadas

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

Dificultades para para la fabricación y para el acceso a los MH

1. Son muy pocos los laboratorios que se dedican a la I+D de este tipo de medicamentos tan necesarios. Los que sí lo hacen, contribuyen no sólo al desarrollo del fármaco sino también al mejor conocimiento de la propia enfermedad.

El riesgo y el coste del desarrollo de un nuevo medicamento es muy elevado, y más aún en el caso de las enfermedades raras ya que no existe conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico.

Tanto es así, que sólo 1 de cada 100.000 moléculas investigadas llega finalmente al mercado.

2. Se tarda más de 12 años de media desde la síntesis de un fármaco hasta su comercialización, siendo el coste medio de pre-comercialización de un nuevo tratamiento de unos 3.500 millones de euros (rango entre 1.200 a 15.000 millones de euros).

3. Retrasos en la decisión de financiación y precio imposibilitan el rápido acceso a los tratamientos. Los datos hablan por sí solos.
Casi el 40% de los medicamentos huérfanos autorizados en Europa están pendientes de comercialización en España.
4. La falta de prioridad dada a las enfermedades raras y medicamentos huérfanos en los presupuestos sanitarios. Desde el punto de vista del impacto financiero en el Sistema Nacional de Salud, los medicamentos huérfanos representan tan sólo el 3,8% del total del gasto farmacéutico en España.
5. A pesar de las conclusiones establecidas por el Reglamento (CE) nº 141/2000 que prevé que cuando un medicamento es autorizado por la Agencia Europea del Medicamento (EMA), queda autorizado automáticamente en todos los países miembros, esta normativa no contempla las políticas de acceso, que son competencia exclusiva de los Estados Miembros y de las Regiones, como por ejemplo la decisión de financiación y precio, evaluación de tecnologías y condiciones utilización.

Así, la concesión de una autorización europea para la comercialización de un medicamento no significa que esté disponible en todos los países de la Unión Europea. El titular de la autorización de comercialización debe decidir de antemano el estado de comercialización en cada país y, después, el medicamento pasará los trámites necesarios en cada país, para establecer las condiciones de reembolso y, generalmente, el precio. A pesar de los esfuerzos comunes, la heterogeneidad de enfoques entre los países hace más complejo el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos.

6. En cuanto a la fijación del precio: Cada estado de la Unión Europea negocia el precio por separado con la compañía farmacéutica. A veces las compañías tienden a empezar las negociaciones con estados miembros que conceden precios más altos, lo que después se utiliza como precio de referencia en las negociaciones con otros países.
7. Los estados miembros retrasan las negociaciones lo más posible para evitar tener que hacer disponible un medicamento y por lo tanto tener que pagar por ello. Los estados miembros acaban por pagar precios más altos por los medicamentos, y las compañías pierden parte de la exclusividad de Mercado de 10 años porque las negociaciones pueden durar hasta cuatro años.
8. Tras la fase de la fijación del precio y comercialización del medicamento, en España, la existencia de 8 Agencias autonómicas e innumerables comités hospitalarios que re-evalúan el fármaco y sus condiciones de uso, tiene como consecuencia que se establezcan criterios de acceso distintos.
9. La mayor parte de los MH están clasificados como de “uso hospitalario”, lo cual significa que el coste del tratamiento recae sobre el presupuesto del propio hospital. Derivado del elevado coste que suponen los tratamientos, el hospital normalmente solicita a la Comunidad Autónoma financiación específica para el tratamiento, con el objetivo de minimizar al máximo el impacto sobre el presupuesto del hospital.

El proceso de toma de decisión, “normalmente”, sigue el flujo:

Dicho proceso, conlleva a un retraso considerable para iniciar el tratamiento. Tenemos experiencias de aprobación de tratamientos que pueden variar desde las 2 semanas hasta los 2 años. Podríamos establecer un periodo medio de 18 meses.

10. Este modelo de toma de decisión no es igual en todos los casos. En determinadas ocasiones, incluso dentro de una misma comunidad autónoma, el hospital autoriza directamente el tratamiento agilizando el proceso.

Nuestra experiencia nos dice que en el caso de pacientes pediátricos, los tiempos de aprobación son considerablemente inferiores respecto a pacientes adultos.

11. No existe un procedimiento administrativo específico ni tampoco un procedimiento judicial que resuelva sobre las solicitudes de acceso a un MH que tenga en consideración la extremada urgencia que subyace en estas peticiones.

Así, la Administración dispone de hasta 3 meses para resolver sobre la solicitud que lleve a cabo un afectado o familiar que le represente. Transcurrido este periodo sin resolución expresa el solicitante podrá acudir a la vía judicial contencioso-administrativa para que se le reconozca el derecho.

Llegados a este punto lo que tenemos es que en la mayoría de los casos los afectados no pueden plantearse acudir a la vía judicial para hacer valer sus pretensiones ya que no existe un procedimiento judicial abreviado de urgencia para la solución de estos asuntos. Y es que no olvidemos que la necesidad que subyace en las solicitudes de acceso a un MH es muchas veces de carácter vital y no tiene mucho sentido acudir a los tribunales cuando la resolución llegaría seguramente tarde. No olvidemos tampoco que además estamos hablando del orden contencioso-administrativo que es justamente el orden judicial cuyos procedimientos son más largos y tienen mayor retraso. Téngase en cuenta además que el acceso al contencioso – administrativo por la vía judicial tendría que sustanciarse, en la mayoría de los casos, por el procedimiento ordinario (no por el procedimiento abreviado) por superarse la cuantía máxima de 30.000 euros establecida para los procedimientos abreviados.

12. Cuando pretendemos hacer valer el derecho de acceso al MH nos encontramos con demasiada frecuencia con una interpretación excesivamente restrictiva de lo que ha de ser un “uso racional del medicamento”. Dicho uso racional suele limitarse (aunque expresamente no se diga) a criterios económicos igualándose de forma jurídicamente dudosa coste con calidad, y calidad asistencial y profesional con uso y prescripción de medicamentos de menor coste, con flagrante olvido de los derechos del paciente.

Objetivos estratégicos

1. Garantizar la accesibilidad en tiempo y forma de los medicamentos huérfanos necesarios para el tratamiento de las enfermedades raras en todo el territorio nacional.
2. Favorecer el uso adecuado de estrategias regulatorias de autorización (por ejemplo, la autorización condicionada) que no retrasen el acceso a los medicamentos huérfanos.
3. Establecer, a través de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, un sistema de seguimiento y evaluación adecuado sobre las propuestas de nuevos tratamientos autorizados para enfermedades raras.
4. Mejorar las herramientas de información on-line sobre medicamentos para el tratamiento de las enfermedades raras que faciliten el acceso de profesionales, pacientes y la sociedad en su conjunto a información de calidad (por ejemplo, ficha técnica, prospecto, informe público de evaluación, e informe de posicionamiento terapéutico)
5. Optimizar los plazos en el procedimiento de fijación del precio de los medicamentos huérfanos que hayan obtenido la autorización de comercialización en el marco de los criterios que se establezcan de acuerdo con la Ley 29/2006, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios.
6. Evitar la inequidad en el acceso de pacientes con enfermedades raras a los medicamentos huérfanos en los diferentes centros y servicios sanitarios y entre las Comunidades Autónomas a través de la creación de un comité asesor de medicamentos huérfanos y terapias para las enfermedades raras.
7. Promover, desde el Sistema Nacional de Salud, mecanismos de colaboración económica solidaria entre Comunidades Autónomas para mejorar la provisión y el acceso a medicamentos huérfanos de forma equitativa en el Sistema Nacional de Salud.
8. Promover la consulta de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios con las organizaciones de pacientes antes de la suspensión o revocación de la autorización de comercialización de medicamentos y/o productos farmacéuticos destinados al tratamiento de las enfermedades raras.

Recomendaciones de actuación para alcanzar un sistema equitativo de acceso a los MH

Hacia un sistema equitativo de acceso a los MH.

1. En otros países europeos ya se han producido iniciativas para combatir la inequidad del sistema de acceso a los Medicamentos Huérfanos. Así lo muestra el Informe de Posicionamiento y Evaluación de tratamientos dirigidos a enfermedades raras y ultra-raras: Revisión Sistemática de la Literatura realizado por la Consultoría Weber Economía y Salud, que hace referencia al reto de asegurar la equidad en el acceso a los Medicamentos Huérfanos en las distintas regiones y de contribuir al reparto de riesgos financieros.

2. En zonas como el Reino Unido u Holanda se ha interiorizado la necesidad de transferir los costes derivados de estos fármacos desde los presupuestos locales hasta un fondo nacional controlado de forma centralizada para mantener la equidad y evitar niveles inaceptables de riesgo de los proveedores más pequeños. Países como Francia, Australia, Reino Unido u Holanda cuentan con un presupuesto destinado específicamente a Medicamentos Huérfanos, de modo que éstos no tienen que competir con otras provisiones más generales.
3. El escenario planteado evidencia una necesidad creciente de establecer estrategias, consensuadas por los distintos actores implicados en el manejo de estas enfermedades, que garanticen el acceso de los medicamentos huérfanos y contribuyan a optimizar y mejorar el manejo de los pacientes con enfermedades raras. En este sentido, los resultados del estudio Acceso y financiación de los medicamentos huérfanos. Consenso de Expertos¹ resultan esclarecedores por cuanto son muestra de que para solventar estas deficiencias se hace necesario el empleo de una evaluación única y válida en todo el territorio así como la elaboración de protocolos de actuación y derivación, así como de guías de práctica clínica.
4. Llegados a este punto, quizá la solución recaería en la creación de un fondo económico específico, siendo este además un aspecto muy demandado por los pacientes, gracias al que podría asegurarse la equidad en el acceso a los medicamentos huérfanos y en la asistencia sanitaria a los pacientes con enfermedades raras en todo el territorio. Destinado a cubrir las necesidades sanitarias de los pacientes con enfermedades raras, su definición y gestión debería contar con la participación de equipos de profesionales médicos, farmacéuticos y gestores especializados.
5. Asimismo, resulta evidente la necesidad de unificar el sistema de evaluación de los medicamentos huérfanos, con criterios homogéneos y válidos, en todo el territorio español con el fin de evitar desigualdades entre Comunidades Autónomas. Con ello el objetivo es asegurar la equidad en el acceso a los Medicamentos Huérfanos así como la asistencia sanitaria a los pacientes con enfermedades raras en todo el territorio.
6. La razón de ser de lo antedicho, en definitiva, es que un sistema completo que cubra las necesidades sanitarias de los pacientes con enfermedades raras debe en todo caso, contar con la participación de equipos multidisciplinares de profesionales médicos, gestores y principalmente farmacéuticos especializados.

Recomendaciones de actuación

1. Impulsar mecanismos que potencien el desarrollo de los medicamentos huérfanos por las empresas farmacéuticas y de biotecnología que complementen las ayudas y medidas adoptadas en la Unión Europea.
 2. Mantener la consideración de los medicamentos huérfanos y tratamientos de alta complejidad en enfermedades raras como líneas prioritarias de investigación dentro de los Planes Nacionales de I+D+i.
 3. Posibilitar y agilizar la transferencia de resultados de investigación.
-

4. Fomentar la investigación independiente de los medicamentos huérfanos.
5. Estudiar mecanismos de retorno de la inversión en la investigación de medicamentos huérfanos que sean alternativos al precio del medicamento.

Conclusiones finales. Propuestas de actuación

1. El 44% de los medicamentos autorizados por la EMA no se encuentran disponibles en España y de los que la AEMPS ha aprobado, el 33% siguen sin tener autorización de financiación y precio. A ello se une el hecho de que los retrasos diagnósticos de las Enfermedades Poco Frecuentes se perciben entre 5 y 10 años y que más del 40% de los pacientes han de desplazarse en busca de tratamientos, existiendo una manifiesta falta de presupuesto específico para el tratamiento de estas patologías en las Comunidades Autónomas.
2. De este modo el factor fundamental que contribuye a la inequidad es el elevado impacto presupuestario que tienen estos medicamentos. Aunque en términos macroeconómicos estos medicamentos sólo representan el 0,5% del presupuesto sanitario nacional, estamos hablando del 3% respecto del gasto farmacéutico total lo que supone más de 500 millones euros.
3. En la actualidad, el coste de los medicamentos huérfanos puede superar el 10% del presupuesto de medicamentos en los hospitales españoles, y en algunos de tercer nivel llegar al 20%. Además, se trata de un gasto imposible de planificar de antemano, siendo común la identificación simultánea de varios casos en un mismo centro debido al carácter hereditario de muchas de estas enfermedades. Su trascendencia relativa variará en función del tamaño y complejidad del hospital: Así, un paciente adulto con enfermedad de Pompe por ejemplo, tiene un coste anual de unos 400.000 euros, lo que supone respecto al coste total en medicamentos un 0,5% en un hospital de tercer nivel y un 15% en un hospital pequeño.
4. Estas cifras que se han ofrecido demuestran que es insostenible la adquisición de tratamientos por parte de los hospitales y todos los colectivos de profesionales que trabajan en enfermedades raras ven la imperiosa necesidad de crear una partida económica específica para este tipo de tratamientos.
5. Hay que tener en cuenta a este respecto que las compañías que actualmente están invirtiendo en I+D para medicamentos huérfanos y ultra huérfanos, suelen ser en su mayoría, relativamente pequeñas hablando en términos de infraestructura, e invierten alrededor de un 30% de su beneficio neto en I+D. Estas empresas, en su mayoría biotecnológicas, tienen un impacto macroeconómico importante en nuestro país (suponen alrededor del 1,2% del PIB) y ofertan empleos de alto valor y cualificación.
6. No obstante también es cierto que el I+D en España para el desarrollo de medicamentos huérfanos supone un bajo atractivo ya que no existe ninguna protección legal añadida ni prioridad en la fijación de precio y reembolso. Además, hay reevaluaciones constantes del coste/efectividad de los fármacos por las diferentes Comunidades Autónomas, y los tratamientos están sometidos a revisiones en el inicio, uso y seguimiento por comités de expertos. Todo ello conlleva una inequidad en el acceso a los medicamentos huérfanos,

violando por tanto, el primer objetivo de la estrategia en enfermedades raras del SNS del 2009 que, si bien recordamos, consistía en:

“Garantizar accesibilidad en tiempo y forma de los medicamentos huérfanos necesarios para el tratamiento de las enfermedades raras en todo el territorio nacional”.

Principales propuestas de Actuación.

1. Deviene imperativo para los pacientes con una Enfermedad Poco Frecuente el llevar a cabo un diagnóstico firme y una adherencia rigurosa a las indicaciones clínicas del fármaco. A este respecto, la prescripción de un nuevo y caro medicamento debe ser validada por un centro de referencia en el tratamiento de pacientes con esa enfermedad. Facilitar los recursos económicos para el tratamiento y adoptar criterios únicos en el acceso a los medicamentos, hace necesario que se establezcan equipos de referencia con profesionales especializados que coordinen la atención médica y el seguimiento de los pacientes.
2. Además, debe haber disponible un registro basado en el diagnóstico, actualizado, con datos de alta calidad para cada Enfermedad Poco Frecuente para que haya disponible un fármaco al respecto. Esto permitirá evaluar la eficacia del fármaco en un número mayor de pacientes que el usado para su aprobación, comparar el curso clínico de los pacientes que reciben el fármaco con aquellos que no y proporcionar datos completos y no sesgados sobre los efectos adversos. Para ello, es esencial que el registro sea gestionado por un organismo independiente y ha de tratarse en todo caso de un sistema de registro por patología que permita integrar la información existente con la nueva que se genere con el propósito de crear un conjunto de evidencias, de valor clínico.
3. Asimismo, el coste de los medicamentos huérfanos debe ser negociado sistemáticamente. Los costes de desarrollo de los medicamentos huérfanos deben estar documentados, el número de pacientes estimado y se debe permitir un margen razonable de lucro. El coste del fármaco se debe acordar sobre esta base y la Unión Europea, en este marco, actuando de forma unificada, estaría en disposición de negociar el precio de los medicamentos huérfanos desde una posición de fuerza moral y económica.