

INDUSTRIA Y PACIENTES: UN ENCUENTRO NECESARIO

Sesión “EL DERECHO DE ACCESO A TRATAMIENTOS INNOVADORES Y MEDICAMENTOS HUERFANOS”

Intervención de Fernando Royo

Durante las últimas dos décadas se han logrado enormes avances en el ámbito de las enfermedades raras: médicos, legislativos, científicos, organizativos, etc. Pero, sobre todo, han pasado de ser un tema minoritario, de interés solo anecdótico y para un puñado de especialistas, a una prioridad socio-sanitaria, con amplia presencia en los medios de comunicación y en las políticas públicas. El acto que hoy nos reúne es sólo un eslabón más de una larga cadena de eventos, inimaginable hace 10 o 15 años.

Todos estos progresos han mejorado la expectativa y calidad de vida de muchos pacientes y sus familias, además de proporcionar algo también valiosísimo, *esperanza*, para muchísimos más.

Sin embargo, junto a estas renovadas esperanzas han surgido nuevos problemas, como dificultades crecientes en el acceso a los medicamentos más innovadores y a los escasos centros de referencia (CSUR), a pesar de haber sido aprobados regulatoriamente por las autoridades correspondientes.

Además, la inequidad es un elemento que puede trastocar rápidamente la esperanza en frustración: a menudo el acceso depende más del lugar de residencia del paciente que de su gravedad o la presumible eficacia del tratamiento. Es cierto que no es una situación exclusiva de España, aunque nuestra organización territorial acentúe, por proximidad, la percepción de diferencias que, en otros casos, son entre países más lejanos entre sí.

De hecho, el último Foro Multisectorial, que Eurordis convoca anualmente en Bruselas en torno al Día Mundial de las enfermedades raras, estuvo enfocado a mejorar el acceso a los medicamentos huérfanos*.

En él, aparte de múltiples e interesantes presentaciones y debates, se llevó a cabo una sesión que me pareció especialmente clarificadora: se reunió a los participantes en salas separadas según su adscripción: pacientes, industria, reguladores, gestores, etc. A cada grupo se le plantearon varios supuestos (ficticios pero basados en casos reales) en los que tenían que decidir qué hacer, pero actuando desde la perspectiva y con los condicionantes propios de otros grupos. Es decir, los pacientes y la industria tenían que decidir qué se aprobaba y financiaba, los reguladores o gestores qué indicación y precio solicitarían teniendo en cuenta las expectativas de los inversores, etc.

Curiosamente, todos los grupos decidieron de forma similar a los actores correspondientes en la vida real. En definitiva, las discrepancias no son fruto de una actuación irracional, o de un

sesgo deliberado. Son, simplemente, fruto de distintas –y, casi siempre, contrapuestas– perspectivas y prioridades: mientras que para los pacientes lo principal es el acceso rápido y amplio, para la industria es la rentabilidad y viabilidad económicas, para los reguladores la certeza respecto a la eficacia y seguridad, y para los gestores el control del presupuesto farmacéutico.

Por tanto, resulta evidente que las barreras no surgen de procesos de decisión inadecuados sino, posiblemente, de un marco referencial contradictorio. Es necesario establecer vías de diálogo y negociación, que permitan buscar soluciones innovadoras sobre la base del máximo consenso posible. Y, para ello, tal vez deberíamos identificar los elementos más disgregadores, pues sólo actuando sobre ellos será posible un acercamiento.

Por ejemplo, frecuentemente el problema parte de una relación inversa costo-beneficio derivada de esquemas de reembolso tradicionales, basados en € por unidad farmacéutica (mg, viales, etc.). Muchas enfermedades –raras o no– se manifiestan más precozmente cuanto mayor es la severidad; por tanto, esta será mayor en los casos infantiles que en los adultos. Pero, para una misma dosis/kg de peso, el costo del tratamiento será proporcional al peso del paciente y, por tanto, muy superior en un adulto. Un reembolso capitolativo, i.e., por paciente en vez de por unidad farmacéutica reequilibraría, al menos parcialmente, esta distorsión.

De igual modo, un tratamiento precoz suele ser económicamente más eficiente que uno tardío, al prevenir secuelas a veces irreversibles. Pero a los gestores sanitarios se les evalúa con criterios cortoplacistas, no por el posible ahorro ni la evolución del paciente a medio o largo plazo. Por el mismo motivo, es improbable que un gestor esté dispuesto a promover la búsqueda y el diagnóstico proactivo de casos aún no detectados. Un paciente no diagnosticado se convierte, casi automáticamente, en un paciente menos a tratar, en vez de una oportunidad de evitar secuelas y costos mayores en el futuro, por no hablar de la angustia, la incertidumbre, y los largos peregrinajes en busca de un diagnóstico. Resulta imperativo profesionalizar y despolitizar la gestión sanitaria para alargar el horizonte temporal de las actuaciones.

Existen otros muchos aspectos que distorsionan la situación: la fijación de precios en base a referencias internacionales entre países con niveles de renta enormemente dispares, los distintos catálogos de prestaciones respecto a derechos supuestamente universales, etc. Pero no quiero abusar de su paciencia, ni extenderme más de lo imprescindible. Quisiera tan sólo plantear una reflexión, que ni siquiera es mía sino del anterior Director de la Agencia Europea del Medicamento: como sociedad, lo verdaderamente absurdo es dedicar ingentes recursos a desarrollar medicamentos para, en las escasas ocasiones en que tenemos éxito, no usarlos y negárselos a los pacientes que los necesitan... *porque son demasiado caros.*

Nadie tiene la clave para resolver estos problemas, ni existe una solución mágica y universal, pero todos tenemos la responsabilidad y la obligación de dialogar, debatir y, conjuntamente, buscar consensos en pro de los pacientes y sus familias.

*.- www.eurordis.org/es/publication/multi-stakeholder-symposium-improving-patient-access-rare-disease-therapies