

Real Academia Nacional de Farmacia
15 de marzo de 2016

INDUSTRIA Y PACIENTES UN ENCUENTRO NECESARIO



El martes 15 de marzo de 2016 (entre las 9,30 y las 14,30 horas) se ha celebrado en la sede de la Real Academia Nacional de Farmacia la Jornada “*Industria y Pacientes un encuentro necesario*” promovida por la Asociación Española de Derecho Farmacéutico (ASEDEF) dentro de su programación de debates para 2016. El acto ha contado con representantes de las Administraciones central (Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad y Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios) y de la Comunidad de Madrid, de la Corporación Farmacéutica, de la Industria Farmacéutica, de la Universidad y del mundo asociativo de los pacientes (Federación Española de Enfermedades Raras y Plataforma de Organizaciones de Pacientes).

La Jornada, a la que han asistido un centenar de especialistas y público, ha contado con el patrocinio de la Fundación GENZYME. La convocatoria de la ASEDEF se ha estructurado en dos sesiones, en primer lugar, un debate sobre el derecho de acceso a tratamientos innovadores y medicamentos huérfanos, y, en segundo lugar, sobre la nueva regulación de los ensayos clínicos en España.

Sobre el alcance y principales contenidos de ambas sesiones se recoge a continuación un amplio resumen.

1ª SESIÓN (10/11,45 horas)

*Moderador Doctor José María Martínez García
Director New Medicals Economics*

Se debate en primer lugar sobre el derecho de acceso a los tratamientos innovadores y su incidencia en el ámbito de los llamados medicamentos huérfanos, aquellos destinados a las llamadas “*enfermedades raras*” de baja o muy baja prevalencia (entre un 5 y un 10 por mil de la población). En la actualidad asistimos a una aceleración de la innovación en materia de medicamentos, pero frente a las innovaciones del siglo XX en la actualidad disponemos de

innovaciones desarrolladas para ámbitos muy precisos, por tanto muy pequeños, de pacientes, y cuyo desarrollo supone un alto coste y, por tanto, un precio muy elevado.

El fundamento del debate propuesto por la ASEDEF para esta primera sesión pivota sobre estos dos caracteres (subpoblación asistencial y sobrepeso de los tratamientos) y sobre el efecto que estas circunstancias genera en la accesibilidad a los denominados medicamentos huérfanos (MH) y ultra huérfanos (MHU) desarrollados por algunos laboratorios con alto compromiso con la innovación y elevada tasa de inversión en I+D.

Para mantener el debate están presentes la industria, la Administración sanitaria y los pacientes que intervienen por el siguiente orden:

- FERNANDO ROYO (FUNDACIÓN GENZYME)

El Presidente de la Fundación GENZYME subraya de entrada la necesidad de situar a los pacientes como ejes de la acción del Sistema Nacional de Salud (SNS). Pone de manifiesto que durante las últimas dos décadas se han logrado enormes avances en el ámbito de las enfermedades raras, que 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, también han surgido nuevos problemas, como dificultades e inequidades crecientes en el acceso a los medicamentos más innovadores. De hecho, el reciente Foro Multisectorial organizado por EURORDIS (Organización Europea de Enfermedades Raras) estuvo enfocado a mejorar el acceso a los medicamentos huérfanos.

En él se puso de manifiesto que las discrepancias entre los distintos actores son consecuencia 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 financieros públicos el control del presupuesto farmacéutico. Las barreras no surgen de procesos de decisión inadecuados sino, posiblemente, de un marco referencial contradictorio. 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.

- MARÍA MARTINEZ DE LA GANDARA (DG CARTERA BASICA)

La representante de la DG de Cartera Básica de Servicios del Ministerio de Sanidad, por su parte, recuerda que el derecho de acceso a los medicamentos destinados a patologías graves y que supongan una relación coste-efectividad más favorable que las alternativas existentes, está establecido en la Ley de Garantías.

Los precios tan elevados que solicita la industria farmacéutica en los últimos 15 años para medicamentos que van destinados a pocos pacientes con enfermedades graves, como son los medicamentos huérfanos y otros medicamentos indicados en patologías graves como: antineoplásicos, antihepatitis C, antiVIH, anticuerpos monoclonales para enfermedades autoinmunes, han provocado reacciones a nivel mundial por el impacto que suponen en los presupuestos públicos y privados y en algunos casos por la imposibilidad de acceso a los mismos.

La primera cuestión es cómo definir la innovación terapéutica. En el SNS contamos desde 2013 con los informes de posicionamiento terapéutico (IPT) que posicionan el nuevo medicamento en la terapia de cada patología. En España, para abordar la financiación de este tipo de medicamentos procurando la sostenibilidad del SNS se han establecido nuevos mecanismos como: techos de gasto, “riesgo compartido”, gasto máximo por paciente, acuerdos precio-volumen.

- LUIS CRUZ (PRESIDENTE AELMHU)

El Presidente de la Asociación de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra (AELMHU) expresa el compromiso de la industria con las enfermedades raras y recuerda que en el año 2000, con el objetivo de paliar el escaso conocimiento científico e impulsar la investigación en el campo de las enfermedades raras, la UE aprueba el Reglamento de la UE 141/2000, que dictamina que «*Los pacientes afectados por EERR deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes*» y establece incentivos para promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos por parte de la industria farmacéutica.

Subraya que si bien es cierto que la legislación impulsada desde la UE y la puesta en marcha de la Estrategia en Enfermedades Raras del SNS en España han sentado las bases para facilitar la investigación y desarrollo de nuevos tratamientos para estas personas, de momento son muy pocos los tratamientos eficaces para un número reducido de patologías. Todavía existen más de 5.000 enfermedades raras para las que no hay ninguna opción farmacológica. Para el Presidente de la Asociación de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra Huérfanos se hace evidente la

necesidad de apoyar la investigación desde todos los sectores, tanto públicos como privados.

- ALBA ANCOCHEA (DIRECTORA FEDER)

La Directora de la FEDER pone de manifiesto, de entrada, que según un estudio de la Federación un 51,28% de los pacientes manifiestan tener dificultades para acceder a los medicamentos huérfanos (MH) ya aprobados y autorizados, al margen del problema de su diagnóstico previo (5 años para identificar la enfermedad).

Por otra parte casi el 40% de los medicamentos huérfanos autorizados en Europa están pendientes de comercialización en España, a pesar de los esfuerzos comunes, la heterogeneidad de enfoques entre países de la UE hace complejo el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos, entre otros aspectos por las diferencias en precios. Recuerda la FEDER que el 44% de los MH autorizados por la EMA no se encuentran disponibles en España y de los que la AEMPS ha aprobado, el 33% siguen sin financiación y precio.

Contribuye a la inequidad el elevado impacto presupuestario, especialmente en la Farmacia hospitalaria, aunque los MH sólo representan el 0,5% del presupuesto sanitario, 3% del gasto farmacéutico total. Eso si los MH pueden superar el 10% del coste de medicamentos en los hospitales, y en algunos de tercer nivel llegar al 20%. El acceso a los medicamentos huérfanos es una fuente de inequidad territorial si se tiene en cuenta el diferente comportamiento de las Comunidades Autónomas que ha hecho expresar al Presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla que *“en salud en España tanto importa el código genético como el código postal”*.

Las compañías que actualmente están invirtiendo en I+D para los MH, suelen ser relativamente pequeñas en infraestructura pero invierten alrededor de un 30% de su beneficio en I+D. Estas empresas, en su mayoría biotecnológicas, suponen alrededor del 1,2% del PIB con empleos de alto valor y cualificación.

No existe un procedimiento administrativo específico ni tampoco un procedimiento judicial que resuelva sobre la problemática de acceso a un MH que tenga en consideración la extremada urgencia en estas peticiones. 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”*, que 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.

La FEDER entiende como objetivos estratégicos: garantizar la accesibilidad en tiempo y forma, favorecer el uso adecuado de estrategias regulatorias de autorización, mejorar las herramientas de información on-line para el tratamiento de las enfermedades raras, optimizar los plazos en el procedimiento de fijación del precio, evitar la inequidad en el acceso de pacientes, y promover, desde el Sistema Nacional de Salud, mecanismos de solidaridad entre Comunidades y la adecuada participación de las organizaciones de pacientes.

Para combatir la inequidad la FEDER pone énfasis en su iniciativa para la creación de un *fondo económico específico* 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.

Tras las intervenciones tiene lugar un amplio debate con los asistentes moderado por el Sr. José María Martínez

2ª SESIÓN (12/14,30 horas)
Moderador Sr. Carmelo Encinas Gamazo
Periodista

Se debate en segundo lugar sobre la nueva regulación de los ensayos clínicos en España que incorpora el Real Decreto 1090/2015, publicado el 24 de diciembre que entró en vigor el 13 de enero; se trata de una de las primeras normas nacionales de transposición del Reglamento UE 536/2014, sobre ensayos clínicos con medicamentos, que se plantea como factor y una oportunidad de mejorar la posición de nuestro país como referente para el desarrollo de la investigación terapéutica en medicamentos a nivel internacional.

Teniendo en cuenta la perceptible caída de la cifra de novedades terapéuticas, se debate sobre el significado de la nueva normativa europea y española en el impulso de la I+D+i farmacéutica para hacer frente a los nuevos retos de la medicina, especialmente en la atención a los sectores más vulnerables.

Para mantener ese debate están presentes los pacientes, la Administración sanitaria, la Universidad y la industria que intervienen por el siguiente orden:

- TOMÁS CASTILLO (PLATAFORMA DE ORGANIZACIONES DE PACIENTES)

El presidente de Plataforma de Organizaciones de Pacientes, enlazando con la sesión anterior, plantea de entrada el reto del valor de la vida y la necesaria solidaridad que exige al SNS frente a quienes tienen necesidades asistenciales especiales. Destaca, a esos efectos, el papel de la Plataforma, que preside, y que integra 26 entidades de pacientes de ámbito estatal y un sinnúmero de regionales y locales y reivindica la presencia activa de estas organizaciones en los foros de decisión sanitaria.

Señala, a ese respecto, que estamos en un cambio de paradigma, que lleva a trabajar en red dentro de un nuevo marco de colaboración de los pacientes y el sistema sanitario. Los pacientes (*paciente experto*) deben ser protagonistas que aporten sus experiencias al sistema, desde la responsabilidad, la formación y el compromiso.

Dejando atrás al paternalismo, que no tenía en cuenta la opinión de los pacientes, hay que promover un nuevo marco de relación y alude, entre otras iniciativas de la Plataforma, a una futura proposición de nueva *ley del paciente crónico* para esta legislatura.

Insiste en la plena participación de los pacientes en las estructuras del SNS poniendo como ejemplo el nuevo Real Decreto de ensayos clínicos en el que se prevé por primera vez la presencia de los intereses de los pacientes en los Comités de Ética de la Investigación con Medicamentos (CEIM)¹.

- CELINA GONZALEZ-COLAÇO (AGENCIA ESPAÑOLA DEL MEDICAMENTO)

La representante de la Agencia se centra en la descripción en detalle de los contenidos del nuevo Real Decreto, en sus avances, como consecuencia del nuevo Reglamento comunitario, y en los desarrollos aún pendientes, especialmente en materia de tramitación telemática y disponibilidad de la información en red a través de la EMA. Aún queda un cierto período de transición e implementación a nivel comunitario pero España estaría en avanzada para la plena vigencia de la reglamentación europea. Recuerda que España es, a nivel internacional, un país atractivo para la investigación clínica con medicamentos y el aumento de las cifras

¹ El artículo 15 del nuevo RD establece que los CEIM estarán constituidos por un mínimo de diez miembros al menos uno de los cuales será lego, ajeno a la investigación biomédica o a la asistencia clínica, que representará los intereses de los pacientes.

de ensayos en la última década lo pone de manifiesto (650 en 2005 frente a 815 en 2015).

La nueva regulación aporta, fundamentalmente, simplificación y agilidad. Se sientan las bases para que pueda lograrse un modelo de contrato único para todo el SNS que se puede formalizar en cualquier momento), se impulsa la generación de conocimiento, la seguridad de los pacientes, la utilidad, la transparencia y se facilita, en general, la investigación con medicamentos, entre otras novedades con la regulación de la llamada investigación clínica sin ánimo comercial (promovida universidades, centros sanitarios etc.). En el ámbito de los estudios clínicos se diferencia el estudio observacional (uso en condiciones comerciales) como el ensayo de bajo nivel de intervención que no precisa de aseguramiento específico cuando el seguro de la práctica clínica habitual lo cubra.

Finalmente pone énfasis en la difusión de resultados haciendo hincapié en el registro español de estudios clínicos, dependiente de la Agencia, que incluye obligatoriamente los datos y resultados de los ensayos y de los estudios de post-autorización y que está abierto de forma libre y gratuita a través de la web.

- CESAR NOMBELA (RECTOR UNIVERSIDAD MENÉNDEZ PELAYO)

En función de su experiencia en materia de ética clínica pone énfasis en el tema de los Comités y sitúa a la nueva regulación en la dinámica de promover un incremento de la investigación y, en consecuencia, de la aparición de nuevos medicamentos. Entiende que a pesar de los notables avances en investigación biomédica, la introducción de nuevos medicamentos, que supongan verdaderas novedades terapéuticas, resulta cada vez más costosa en tiempo y en recursos.

De ahí la caída en las autorizaciones de nuevos medicamentos, por ejemplo por parte de la FDA, en los últimos diez años, algo que parece puede estar remontando parcialmente. A pesar de todo, entiende que hacen falta nuevos esfuerzos y nuevas normativas que favorezcan un verdadero impulso de la innovación farmacéutica. La razón es que son muchas las dolencias que carecen de terapia o que requieren mejorar el tratamiento.

En esa línea plantea la posibilidad de nuevas regulaciones, por ejemplo de la propiedad industrial que dé mayor cobertura a la innovación, incluida una ampliación del periodo de protección en lo que se refiere a patentes de medicamentos. Con ello, se podría lograr tanto un incremento de competencia, como una mayor racionalización de los esfuerzos en pro de un desarrollo que

mejore el panorama actual, al igual que una reducción de los costes de acceso a las novedades en terapias.

- CAROLINA PUEYO (PFIZER)

Interviene finalmente la representante de Pfizer, una compañía farmacéutica líder en investigación biomédica y desarrollo de medicamentos innovadores, para analizar desde el punto de vista crítico las características y fundamentos de la nueva regulación. En ese sentido subraya, de entrada, los cinco factores clave para la promoción de los ensayos (tiempo de tramitación, calidad, costes, infraestructuras sanitarias y facilidad de reclutamiento) señalando el significado del Real Decreto en simplificación, colaboración y en transparencia pero destacando y advirtiendo sobre los factores ajenos a la nueva normativa. Recuerda, como sede de la investigación a nivel mundial, la relativamente buena posición de España que, en lo que se refiere a su compañía, es el segundo país después de los Estados Unidos en la promoción de ensayos clínicos de Pfizer.

Expresa que desde la industria farmacéutica hay un acuerdo en que este cambio es una evidencia de que queremos atraer investigación clínica a España y ser competitivos. Los cambios que nos aporta este nuevo entorno son positivos porque todos apuntan a simplificar, estandarizar, ser más transparentes y dar voz al paciente. Sin embargo, en este periodo de implementación y transición, se han identificado algunos aspectos que no están muy detallados en la nueva legislación, por lo que tenemos que seguir trabajando para acabar de definirlos. Sin duda, la colaboración basada en la confianza entre todas las partes implicadas es crucial y nos pone una vez más a prueba para demostrar que todos tenemos un interés común en la investigación clínica.

Por otro lado, para la representante de Pfizer, hay que tener en cuenta que el nuevo RD no cubre todos los factores clave de competitividad, sólo algunos, y aspectos como el reclutamiento, crucial en un ensayo, sigue estando en manos de los que directamente participamos en el desarrollo de una investigación. El nuevo RD es un hito importante pero hay que seguir trabajando para conseguir la excelencia en investigación clínica. La nueva regulación no es una panacea pero es una norma pionera a nivel comunitario y una buena oportunidad para avanzar en la competitividad de nuestro país.

Tras las intervenciones tiene lugar un amplio debate con los asistentes moderado por el Sr. Carmelo Encinas Gamazo.

La Jornada se clausura a las 14,30 horas comprometiéndose la ASEDEF a elaborar un documento resumen de intervenciones que se remitirá a los participantes para observaciones y que posteriormente se trasladará a las autoridades sanitarias, estatales y de las Comunidades Autónomas, y se difundirá través de los medios profesionales y de su página web.

Madrid, 15 de marzo de 2016

