

# SITUACIÓN ACTUAL SOBRE LA ACCESIBILIDAD A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA



Margarita Iniesta<sup>1</sup>, Naciba Zetchi<sup>1</sup>, Noemí López<sup>2</sup>, Maribel Cuesta<sup>2</sup>, Max Brosa<sup>2</sup>

<sup>1</sup>AELMHU (Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos), Madrid. <sup>2</sup>Oblikue Consulting S.L., Barcelona.

## INTRODUCCIÓN Y OBJETIVOS

- Los medicamentos huérfanos (MMHH) se destinan al diagnóstico, prevención y tratamiento de las enfermedades raras (EERR) que en la Unión Europea (UE) son aquellas con prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes<sup>1,2</sup>.
- La legislación europea actual y estrategias existentes constituyen las bases para facilitar el desarrollo y la puesta a disposición de los MMHH<sup>3,4</sup>.
- Las políticas de acceso a los MMHH son competencia de cada país lo que da lugar a situaciones de inequidad y diferencias en el acceso y precios dentro de la UE<sup>5</sup>.
- La repercusión económica de su comercialización no se espera desproporcionada<sup>6</sup>.
- El objetivo de este estudio es evaluar la situación actual del acceso al mercado de los MMHH en España junto con el impacto económico que supondría la comercialización de los MMHH no oncológicos no comercializados sobre el gasto sanitario y farmacéutico.

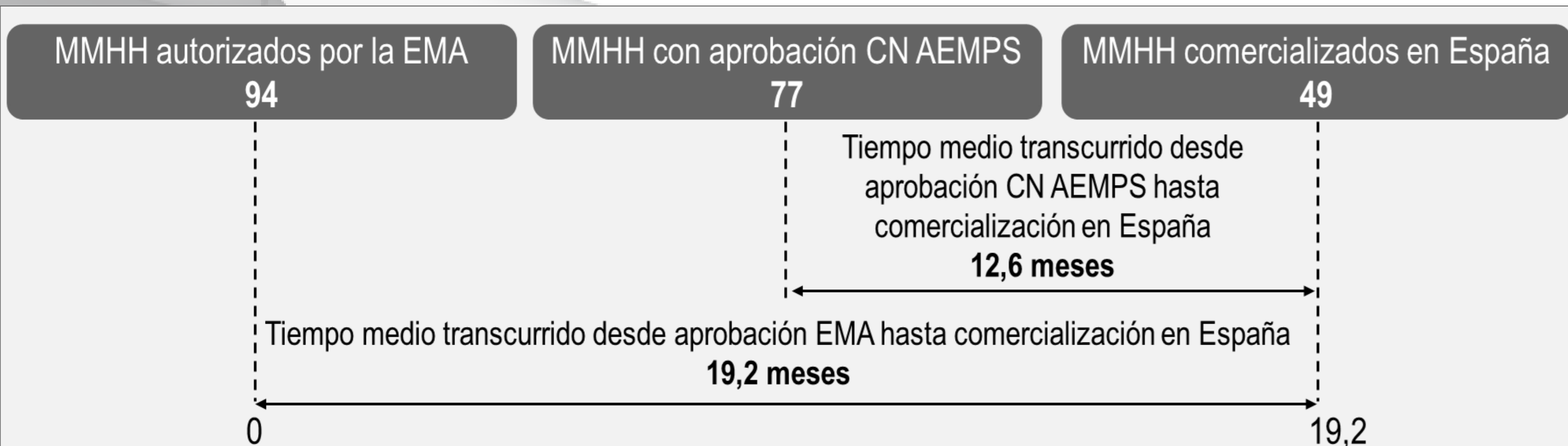
## MÉTODOS

- Para evaluar la situación actual se analizaron los MMHH autorizados en la UE<sup>7</sup>, cuantos fueron financiados en España entre 2002-2016<sup>8-9</sup> y el tiempo transcurrido hasta su comercialización.
- Para evaluar el impacto económico de los MMHH no oncológicos no comercializados en 2016 en España:
  - se identificó su indicación, epidemiología, población tributaria máxima, cronicidad, posología, estatus de comercialización y precio en Reino Unido, Italia, Francia, y existencia de alternativas terapéuticas<sup>10-18</sup>.
  - se aproximó el coste anual a partir del precio unitario por envase menor en los tres países evaluados, los envases anuales necesarios y los pacientes tributarios máximos.
  - se evaluó el impacto sobre el gasto total sanitario público (GTSP)<sup>19</sup> y sobre el gasto farmacéutico hospitalario (GFH) asociado al primer año tras su comercialización<sup>20</sup>.

## RESULTADOS

- Entre 2002 y 2016, la Agencia Europea del Medicamento (EMA) ha autorizado 94 MMHH con designación huérfana todavía vigente, para los que la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha otorgado 77 códigos nacionales (CN) y, finalmente, sólo se han comercializado 49 MMHH (Figura 1).
- El tiempo medio transcurrido entre la autorización de la EMA y la comercialización fue de 19,2 meses y desde la obtención del CN-AEMPS a la comercialización de 12,6 meses.

Figura 1. MMHH autorizados por la EMA y comercialización en España en 2002-2016\*



\*Excluye aquellos MMHH que han perdido la designación de orfandad entre 2002-2016. La totalidad del periodo transcurrido desde la autorización de la EMA hasta la obtención del CN no es atribuible a la AEMPS sino a la fecha de solicitud por parte de la compañía.

- En comparación con el periodo 2002-2011, en el periodo 2012-2016 aumentó del 9,5% al 39,7% el número de MMHH que seguían en el proceso de negociación de precio y reembolso (P&R) en España (Tabla 1).

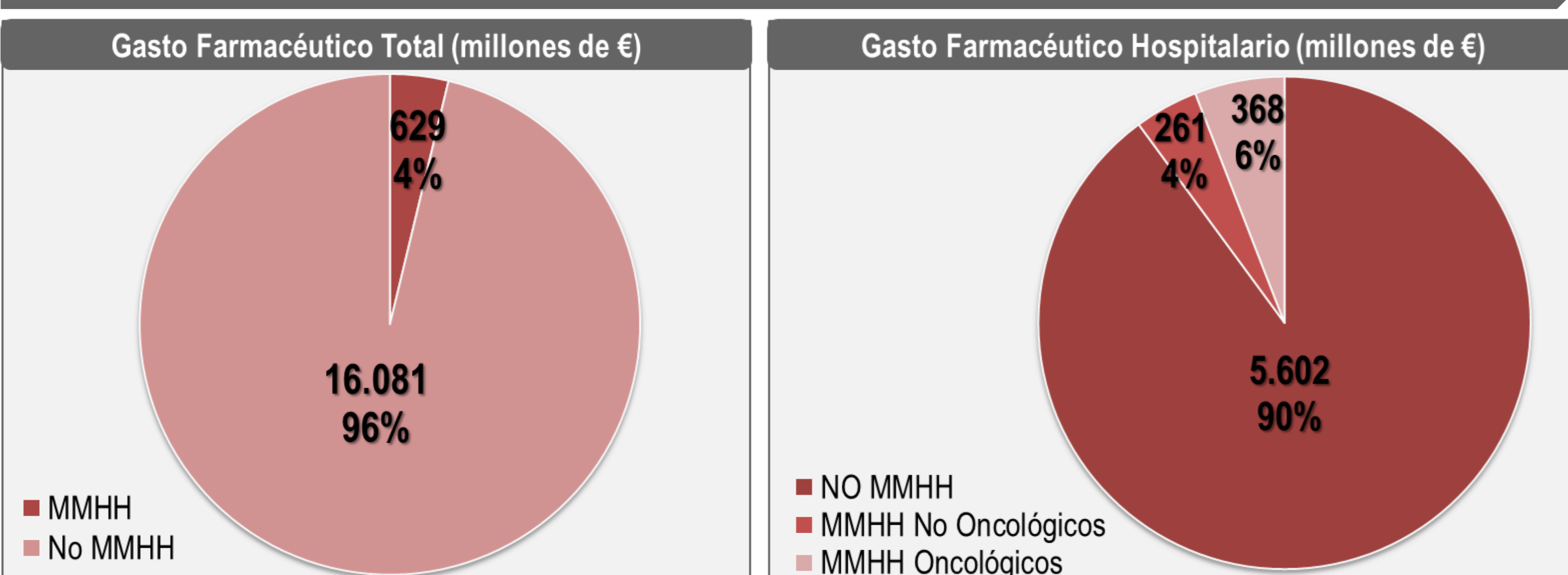
Tabla 1. MMHH autorizados en Europa/España en los periodos 2002-2011 y 2012-2016

	Periodo 2002-2011*	Periodo 2012-2016
MMHH autorizados por la EMA con designación huérfana vigente	42	58
MMHH autorizados con P&R en España	38 (90,5%)	18 (31,0%)
MMHH que no han solicitado CN en España	0	17 (29,3%)
MMHH pendientes de P&R	4 (9,5%)	23** (39,7%)

\*Incluye MMHH que han perdido la designación de orfandad en la actualidad. La totalidad del periodo transcurrido desde la autorización de la EMA hasta la obtención del CN no es atribuible a la AEMPS sino a la fecha de solicitud por parte de la compañía. \*\*Para 11 (48%) de estos MMHH ha sido denegada la financiación acorde con los IPT<sup>17</sup> disponibles a fecha de 31/7/2017.

- Los MMHH ya comercializados en España representan aproximadamente un 4% del gasto farmacéutico total y un 10% sobre el GFH (Figura 2).

Figura 2. Relación entre los MMHH comercializados en España y el gasto farmacéutico



Datos para 2016 a partir de ventas de IMS<sup>21</sup> y datos del Ministerio de Hacienda y Administraciones Públicas<sup>20</sup>.

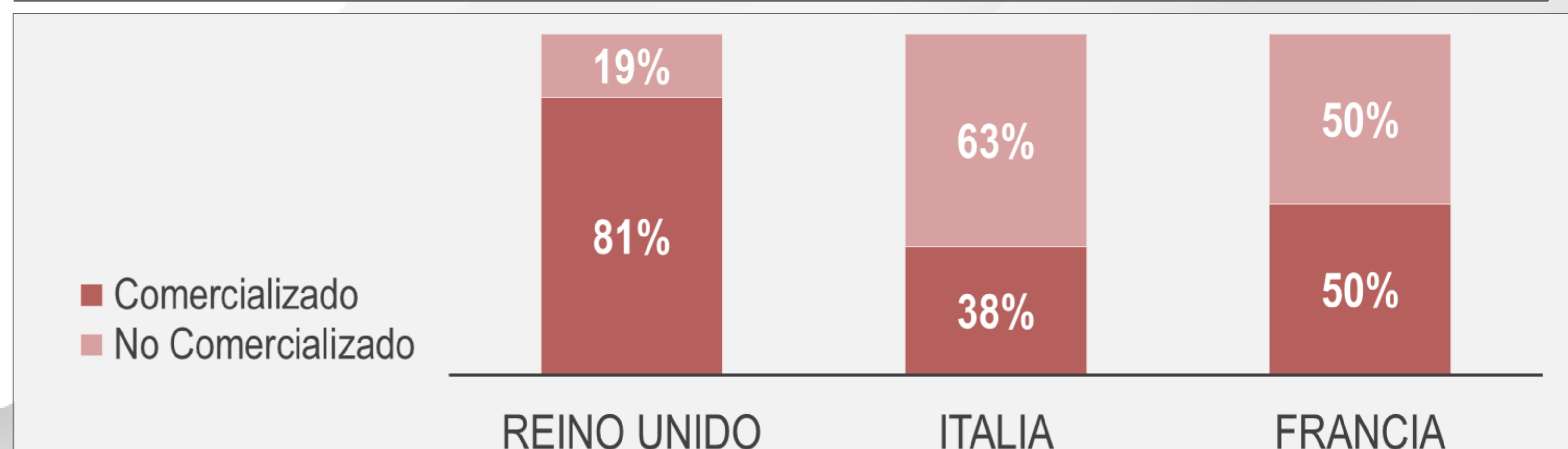
Tabla 2. MMHH no oncológicos no comercializados en 2016 en España

Nombre comercial	Principio activo	Autorización EMA	CN-AEMPS	Tiempo	Enfermedad rara
GLYBERA	Alipogen tiparovec	25/10/2012	10/10/2014	23,5 meses	Hiperlipoproteinemia tipo I
REVESTIVE	Teduglutida	30/08/2012	28/05/2013	8,9 meses	Síndrome del intestino corto
PLENADREN	Hidrocortisona	03/11/2011	07/05/2014	30,1 meses	Insuficiencia suprarrenal
FIRDAPSE	Amifampridina	23/12/2009	03/02/2015	61,4 meses	Síndrome miasténico de Lambert-Eaton
STRENSIQ	Asfotasa alfa	28/08/2015	15/10/2015	1,6 meses	Hipofosfatasa
KANUMA	Sebelipasa alfa	28/08/2015	08/01/2016	4,4 meses	Deficiencia de lipasa ácida lisosomal
HOLOCLAR	Células del epitelio corneal	17/02/2015	16/09/2015	6,9 meses	Deficiencia de células madre limbares
TRANSLARNA	Ataluren	31/07/2014	01/12/2014	4,0 meses	Distrofia muscular de Duchenne
VIMZIM	Elosulfasa alfa	28/04/2014	23/03/2015	10,8 meses	Mucopolisacaridosis tipo IVA
GRANUPAS	Ácido para-aminosalicílico	07/04/2014	13/06/2014	2,2 meses	Tuberculosis multirresistente
SIRTURO	Bedaquilina	05/03/2014	18/09/2014	6,5 meses	Tuberculosis multirresistente
WAKIX	Pitolisant	31/03/2016	03/08/2016	4,1 meses	Narcolepsia
ALPROLIX	Eftrenonacog alfa	12/05/2016	23/06/2016	1,4 meses	Hemofilia B
IDELVION	Albutrepenonacog alfa	11/05/2016	30/08/2016	3,6 meses	Hemofilia B
BRONCHITOL	Manitol	13/04/2012	15/07/2016	51,1 meses	Fibrosis quística
GALAFOLD	Migalastat	26/05/2016	29/08/2016	3,1 meses	Enfermedad de Fabry

La totalidad del periodo transcurrido desde la autorización de la EMA hasta la obtención del CN no es atribuible a la AEMPS sino a la fecha de solicitud por parte de la compañía.

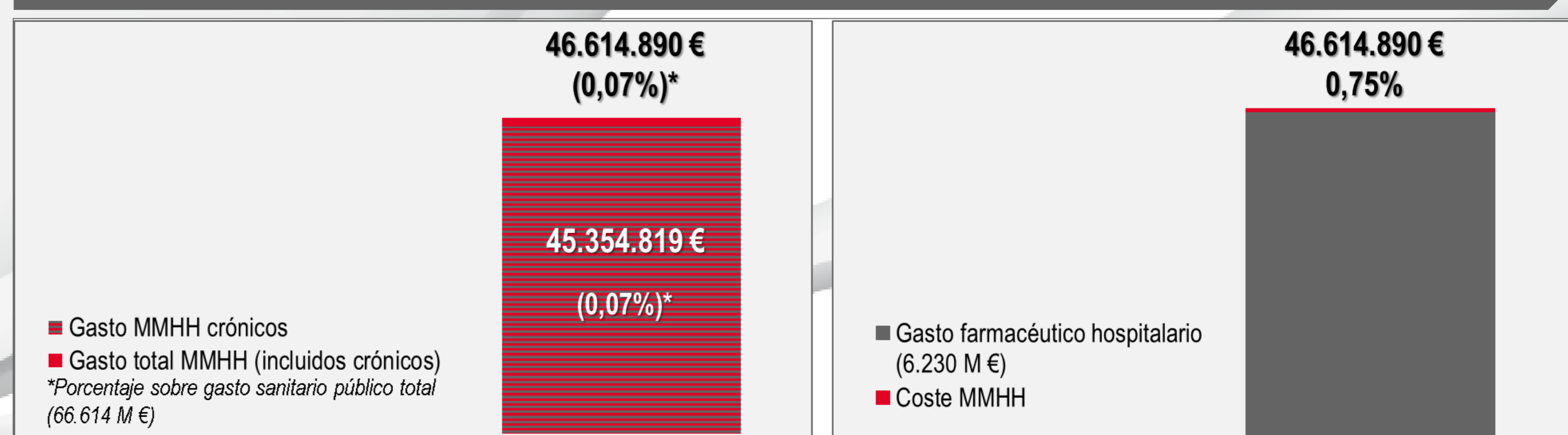
- Se localizaron 16 MMHH no oncológicos no comercializados en España en 2016 (Tabla 2). En promedio, transcurrieron 14 meses desde su autorización hasta la obtención del CN.
- 12 de estos 16 MMHH (75% del total) son destinados al tratamiento a largo plazo/crónico.
- Considerando los 15 MMHH (de los 16 anteriores) que representan moléculas nuevas, se estima que en total habría como máximo 4.300 pacientes candidatos a los tratamientos de EERR.
- De estos 16 MMHH, Reino Unido comercializó 13, Italia 6 y Francia 8 MMHH (Figura 3).

Figura 3. Situación de comercialización en Reino Unido, Italia y Francia de los 16 MMHH



- La comercialización de 13 de los 16 MMHH no oncológicos representaría un 0,07% del GTSP y un 0,75% del GFH en el primer año tras su comercialización, considerando una introducción del 8%-49% en la población máxima tributaria (Figura 4).

Figura 4. Impacto<sup>(a)</sup> de la introducción de 13 MMHH no oncológicos no comercializados



(a) El precio utilizado en el análisis es el mínimo hallado en bases de datos públicas en los países en los que han comercializado el MMHH. No se ha podido realizar el análisis con los 16 MMHH por no estar disponible el precio de 2 de ellos y se ha descartado 1 MMHH que no representaba una molécula nueva. Los precios utilizados son los precios de lista sin descuentos adicionales que puedan estar definidos en cada país.

## CONCLUSIONES

Sólo el 52% de los MMHH autorizados por la EMA están comercializados en España. Se espera que la comercialización de los MMHH no oncológicos en proceso de P&R tenga un bajo impacto en el gasto farmacéutico y sanitario.

## REFERENCIAS

- Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos.
- Directiva 2011/24/UE del Parlamento Europeo y del Consejo de 9 de marzo de 2011 relativa a la aplicación de los derechos de los pacientes en la asistencia sanitaria transfronteriza.
- VII Programa Marco de la Unión Europea (Horizonte 2020).
- Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud. Ministerio De Sanidad y Política Social. 2009.
- Young KE, Soussi I, Hemels M et al. A comparative study of orphan drug prices in Europe. J Mark Access Health Policy. 2017;5(1):1297886.
- Orphan drugs: rising to the challenge to ensure a better future for 30 million patients in Europe. Eurordis. 2009.
- European Medicines Agency (EMA). 2017.
- Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS). 2017.
- Consejo General del Colegio Oficial de Farmacéuticos (CGCOF). 2017.
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE). 2017.
- Electronic Medicines Compendium. 2017.
- Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM). 2017.
- Journal officiel de la République française. 2017.
- Agencia Italiana del Farmaco. 2017.
- Gazzetta Ufficiale. 2017.
- Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos (GENESIS). 2017.
- Informes de posicionamiento terapéutico. AEMPS 2017.
- Proyecciones de población 2016-2066. Resultados nacionales. Instituto Nacional de Estadística. 2017.
- Cuenta Satélite del Gasto Sanitario Público. Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. 2015.
- Gasto en productos farmacéuticos y sanitarios. Ministerio de Hacienda y Administraciones Públicas. Última actualización: 26/06/2017.
- Ventas MMHH en España año 2016. IMS.