

RESUMEN EJECUTIVO

Informe Anual

ACCESO 2023

de los Medicamentos
Huérfanos en España

de **lmhu**

Situación del acceso de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con designación huérfana vigente a 31 de diciembre de 2023 por la EMA y nombre comercial

- 01 INFORME DE ACCESO AELMHU
- 02 METODOLOGÍA DEL INFORME
- 03 CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS
- 04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2023
- 05 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2023
- 06 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA
- 07 TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA
- 08 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS
- 09 PRINCIPALES RESULTADOS DEL INFORME
- 10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES
- 11 FUENTES DE INFORMACIÓN
- 12 ACRÓNIMOS

01 INFORME DE ACCESO AELMHU

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) tiene el placer, un año más, de publicar las principales **conclusiones de su Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España.**

En este documento se analiza el estado de los productos con nombre comercial y designación huérfana por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) a fecha 31 de diciembre de 2023, así como el procedimiento seguido por los mismos al llegar a nuestro país, desde la asignación de Código Nacional (CN) por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), hasta su financiación pública.

Desde **hace más de 13 años**, AELMHU trabaja para ofrecer más y mejores indicadores que permitan a todas aquellas personas interesadas -pacientes, comunidad científica, profesionales, industria, decisores públicos y sociedad en general- evaluar periódicamente la disponibilidad de la innovación en un campo tan complejo y, al mismo tiempo, tan esperanzador, como son las enfermedades raras (EE.RR.).

Para nuestra Asociación es un honor y una responsabilidad saber que nuestros informes se han convertido en la principal referencia de datos sobre el acceso de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en España. En aras de seguir mejorando la información disponible, seguimos la línea del año pasado, profundizando por una parte en el análisis de algunos aspectos relevantes, como aquellos tratamientos huérfanos que cuentan con autorización de comercialización comunitaria, pero todavía no disponen de Código Nacional en nuestro país, analizando los plazos y las áreas terapéuticas con las que se corresponden. Y por otra, actualizar nuestras propuestas para mejorar la situación de los medicamentos huérfanos en España.

Durante el 2023 se esperaba la aprobación de nuevas leyes e iniciativas de vital importancia para nuestra industria en nuestro país. Sin embargo, solo se publicó una consulta pública sobre un Real Decreto sobre evaluación de tecnologías sanitarias y el Plan Estratégico de la Industria Farmacéutica 2023-2025 sigue sin publicarse.

A nivel europeo, la nueva Estrategia Farmacéutica para Europa seguramente no se cerrará hasta el 2025, aunque la implementación de la regulación europea de evaluación de tecnologías sanitarias sigue avanzando.

La asociación ha participado en todas las consultas relevantes sobre iniciativas relacionadas con medicamentos huérfanos y enfermedades raras tanto a nivel autonómico como nacional e internacional, y el Informe de Acceso es un ejemplo de cómo la asociación quiere seguir proyectando más y mejores indicadores para contribuir al objetivo común de agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica en España.

AELMHU es una organización sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un decidido compromiso por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen estas patologías denominadas raras.

El propósito de la organización es contribuir a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social que los medicamentos huérfanos tienen en su vida diaria y la de sus familias.

Actualmente los **miembros de AELMHU** son: Alexion AstraZeca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, AOP Health, Argenx, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, Csl Behring, Grupo Italfarmaco, Horizon, Immunocore, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

02 METODOLOGÍA DEL INFORME

El presente resumen ejecutivo del Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos MM.HH. en España 2023 ha sido elaborado a través de una metodología de revisión de datos centrada en cuatro fases:

01 Identificación de los medicamentos con designación huérfana vigente y con nombre comercial a 31 de diciembre de 2023

La designación huérfana (OD por sus siglas en inglés) se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento. De los más de 2.000 principios activos que han recibido esta OD por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que la tienen vigente a fecha 31 de diciembre de 2023 (más de 1.900). De éstos, se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 250), excluyendo sus nuevas presentaciones o indicaciones.

Así, se obtienen **199 MM.HH. con OD vigente** a fecha de 31 de diciembre de 2023 y con nombre comercial.

02 Medicamentos huérfanos con autorización de comercialización y retirados

Después, se han analizado cuáles de estos MM.HH. han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la UE (n=42). Como resultado, se obtiene el número de **productos huérfanos con autorización comercial (AC)** a 31 de diciembre de 2023, en países de la UE (n=147).

03 Medicamentos con Código Nacional

El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos MM.HH. con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en la UE, tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la AEMPS para su comercialización en España (n=123).

04 Medicamentos financiados

Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están financiados por el SNS los MM.HH. según la información recogida en el Nomenclátor del Ministerio de Sanidad (n=78). Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

03

CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Los MM.HH. son tratamientos innovadores, muchos de ellos de origen biotecnológico, destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar enfermedades raras o poco frecuentes que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas y que carecen de tratamiento alternativo.

Se calcula que en el mundo existen entre 6.000 y 8.000 EE.RR., de las que solo un 5% dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento, por lo que la investigación y la innovación en este campo representan una necesidad urgente para toda la sociedad.

Conscientes de esta situación, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaron en el año 2.000 el **Reglamento de la UE 141/2000**, que se espera será actualizado en línea con la ya mencionada Estrategia Farmacéutica para Europa, y que estableció que «los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes», incorporando incentivos para mejorar el conocimiento y promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos en el campo de las EE.RR.

Desde entonces, **la legislación impulsada desde la UE y desde España ha conseguido indudables avances**. De hecho, especialmente en los últimos años, **el esfuerzo investigador las compañías farmacéuticas** se ha visto reforzado y ha aumentado la disposición de un número creciente de empresas capaces de aportar innovaciones en este campo.

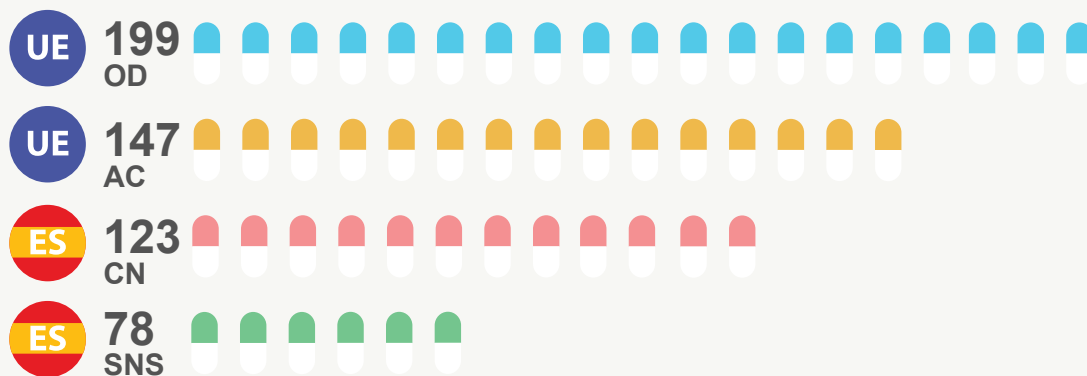
Este esfuerzo ha vuelto a superarse, como así reflejan los datos del último Informe **Anual sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras** en España, elaborado por AELMHU. Si en 2021 España ya alcanzaba una cifra récord en términos de ensayos clínicos para la investigación de enfermedades minoritarias, en el 2022 se llegaban a los 233 (aumentando en un 3% respecto al año anterior), representando el 25% del total de ensayos iniciados en nuestro país.

Sin embargo, hay varias **áreas de mejora** para que ese interés de la industria por profundizar en un ámbito tan complejo como el de las enfermedades raras, tenga un reflejo directo en una mejor, y más rápida, disponibilidad para los pacientes.

En este sentido, AELMHU quiere seguir profundizando en numerosos aspectos como la **equidad en el acceso** a estos tratamientos o la **agilización de procesos** burocráticos para facilitar el **acceso efectivo** a una oportunidad única para muchas personas que padecen este tipo de patologías y que no han encontrado una alternativa terapéutica.

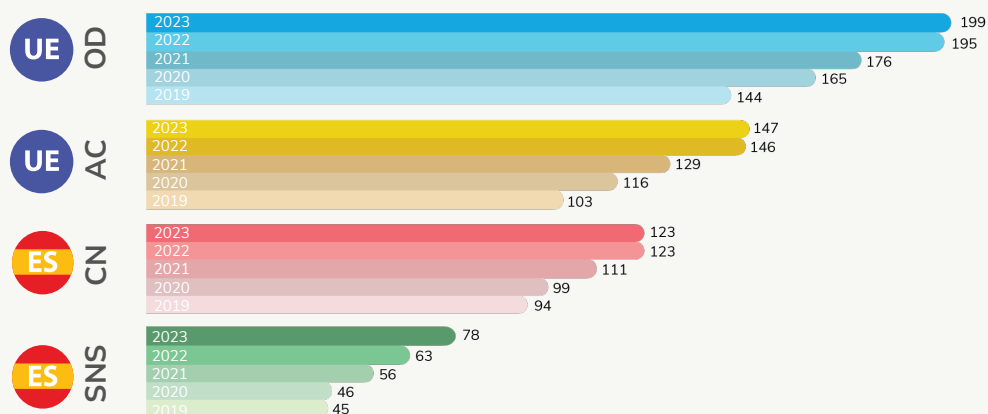
04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2023

Principales indicadores en la UE y en España



El ejercicio 2023 cerró con **199 medicamentos con designación huérfana** vigente en la UE, de los cuales, **147 disponen de autorización de comercialización comunitaria**, **123 adquirieron Código Nacional en España** (84%) y **78 están financiados** por el Sistema Nacional de Salud (53%).

Evolución de los indicadores UE y España 2019-2023



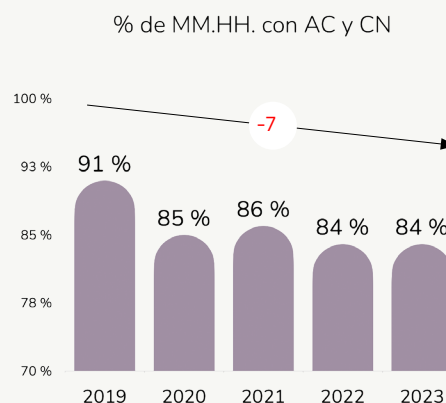
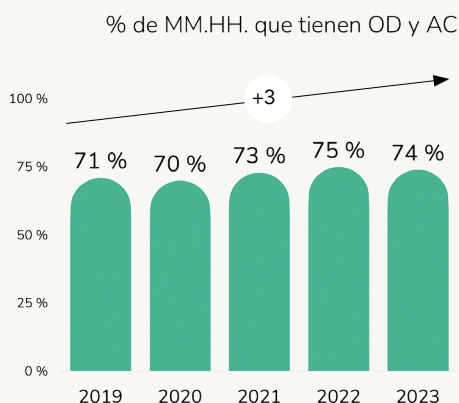
Durante el 2023, los MM.HH. en la UE y en España mejoran en casi todos los indicadores, aunque es importante a resaltar que con diferente magnitud. Así, las designaciones huérfanas positivas de la **EMA y autorizaciones de comercialización comunitarias tienen un ligero incremento**, mientras que los MM.HH. que obtienen Código Nacional en nuestro país se mantienen en 123.

Sin embargo, se observa un **incremento considerable del 24% en los MM.HH. financiados** por el SNS, con 15 adicionales (de 63 a 78), una vez se tienen en cuenta, como se comenta después, los tratamientos huérfanos que han perdido la designación huérfana en 2023 (y que por lo tanto quedan fuera de nuestra muestra relevante para el análisis, aunque sigan estando financiados).

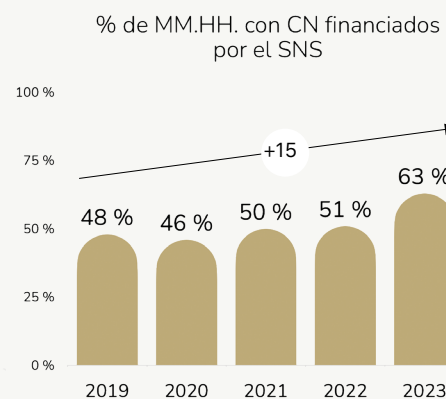
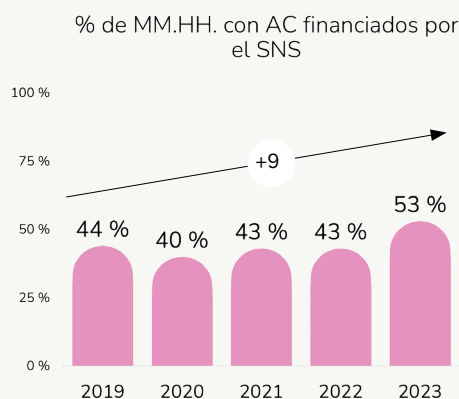
Comparativa entre indicadores

En total, tal y como reflejan los siguientes gráficos, el **74% de todos los MM.HH. con designación huérfana vigente tiene autorización de comercialización comunitaria**, lo que representa una reducción mínima con respecto a la cifra de 2022.

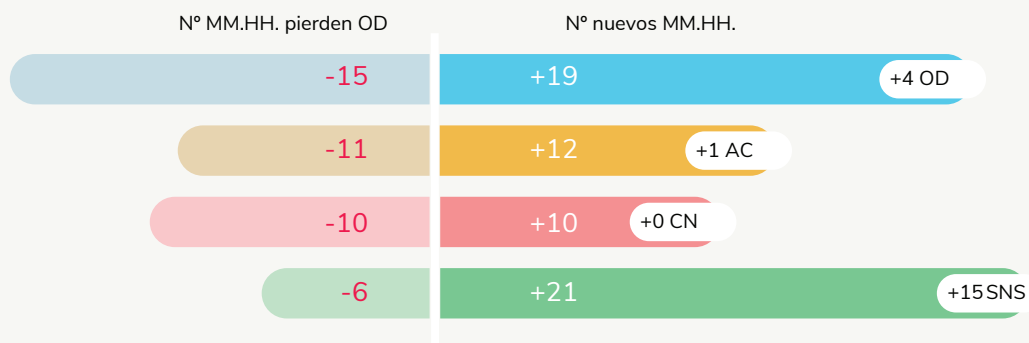
Por otra parte, la proporción de solicitudes de **Código Nacional en España** para aquellos MM.HH. con AC en 2023 se mantiene idéntica a la del 2022, **en el 84%**, y 7 puntos porcentuales por debajo con respecto a 2019, año en el que el 91% de los tratamientos huérfanos que tenía AC había solicitado CN.



El incremento importante lo observamos en los MM.HH. financiados por el SNS. Así, el **53% con AC y el 63% con CN se han financiado en el 2023**, con incrementos de 10 y 12 puntos porcentuales respectivamente desde el 2022. Este incremento anual es el más grande de cualquiera de los cuatro indicadores desde 2019. Más adelante profundizamos en los productos huérfanos que han sido financiados en 2023.



Variación de los indicadores entre 2022 – 2023

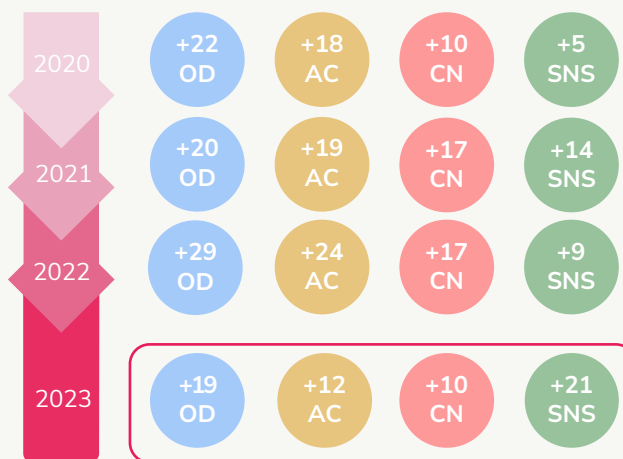


En este gráfico se detalla el número de **MM.HH. que han perdido la designación huérfana** durante el año 2023 y que por lo tanto quedarían excluidos del análisis: 15 fármacos con nombre comercial sin AC, 11 con AC, 10 con CN, y 6 financiados. Así, las principales cifras en **términos netos de 2023** son las siguientes:

- Un incremento de 4 nuevas designaciones positivas.
- Un incremento de 1 AC.
- El mismo número de CN.
- Un incremento de 15 nuevos MM.HH. financiados.

Evolución de nuevos MM.HH. y comparativa durante los últimos años

El siguiente gráfico muestra la evolución de los principales indicadores: nuevas designaciones, autorizaciones de comercialización, códigos nacionales y nuevos productos financiados en España, año por año desde el 2020.



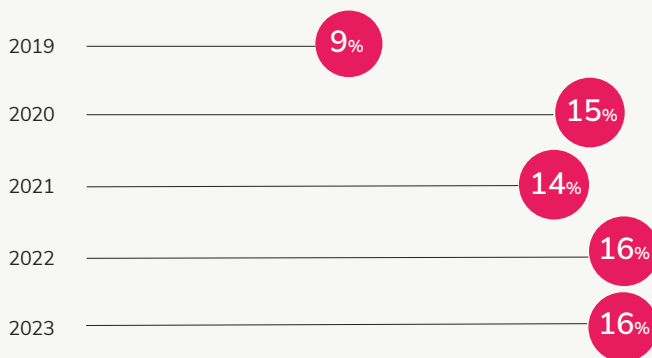
En términos absolutos, en el 2023 todos los indicadores mejoran, con crecimientos de dos dígitos, entre 10 y 21 puntos. Sin embargo, en **términos relativos** con respecto a los años anteriores, se observan **algunas cifras preocupantes**. Si nos fijamos en los primeros indicadores observamos que **en 2023 es el año en el que hay menos designaciones, autorizaciones de comercialización y códigos nacionales** desde 2020.

A nivel europeo no se superan las 20 designaciones, con una reducción con respecto al 2022 superior al 50%. La cifra de autorizaciones de comercialización también sufre un descenso similar, de 24 a 12. Para España concretamente, la cifra quizás más **preocupante** es la **reducción en códigos nacionales**, de un 40%, volviendo a cifras del 2020. Sin esta autorización, un medicamento huérfano no podrá estar disponible en España. **Evaluar el comportamiento de estos indicadores** previos a conseguir la financiación en el SNS es necesario para **comprobar si realmente la innovación está llegando a Europa y a España**. Donde sí se observa un incremento considerable, en línea con lo ya expuesto, es en los nuevos productos huérfanos financiados en España (21) que representa un incremento del 133% con respecto al 2022.

05

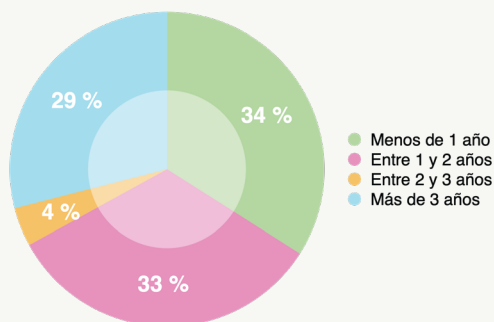
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2023

A 31 de diciembre de 2023, **había 24 MM.HH. con AC que todavía no habían llegado a España** (sin CN), lo que representa un 16% de los autorizados a nivel comunitario, la misma que en 2022, y la cifra más alta desde 2019.

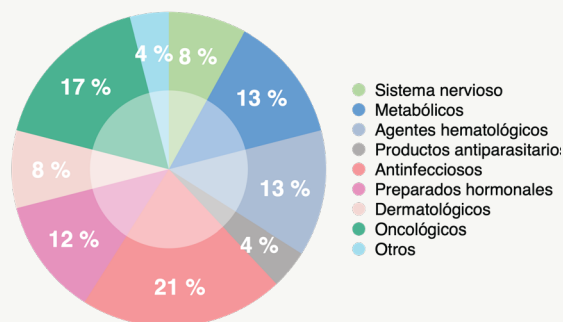


En términos de tiempo transcurrido desde su fecha de autorización de comercialización, podemos diferenciar los MM.HH. para los que ha pasado menos de 1 año (un tercio), entre 1 y 2 años (otro tercio) y más de 2 años (tercio restante), pero con un preocupante **casi 30% con fecha de AC de hace más de 3 años**, cifra superior a la de 2022.

% de MM.HH. sin CN desde su autorización de comercialización



% de MM.HH. con AC sin CN por área terapéutica



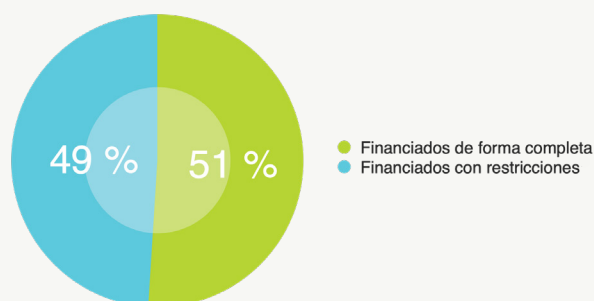
Por área terapéutica, los antiinfecciosos se convierten en el área predominante (21%), seguido por oncológicos (17%), metabólicos y agentes hematológicos (13%) y preparados hormonales (12%).

06 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA

Medicamentos financiados en España

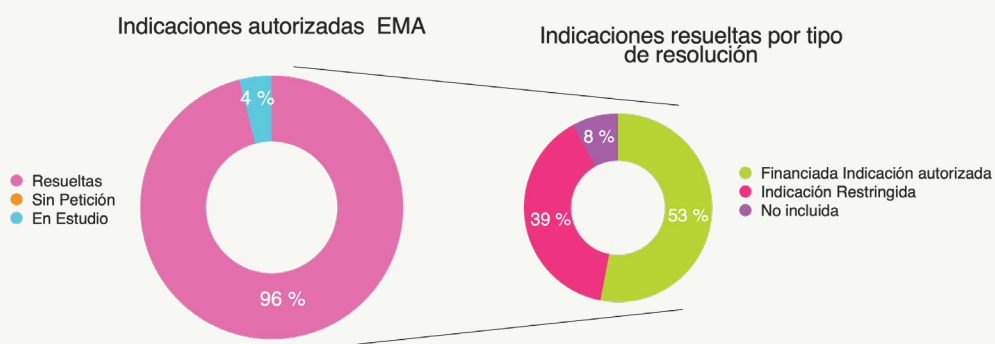
De un total de 123 medicamentos huérfanos con Código Nacional están **financiados 78 MM.HH.**, lo que representa un 63%, porcentaje 12 puntos más alto que en 2022.

Tipo de financiación



De ellos, como indica el gráfico anterior, el **49%** (38) de los 78 MM.HH. que actualmente disponen de una resolución positiva de precio y reembolso en el SNS, **está financiado con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada.

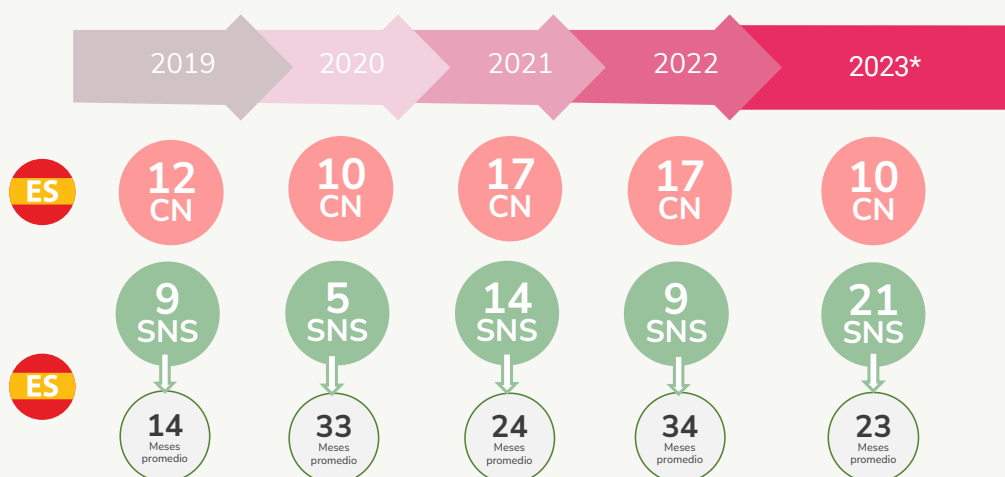
Además, los 78 MM.HH. poseen un total de 113 indicaciones autorizadas por la EMA y, de ellas, 60 están financiadas sin ninguna restricción, tal y como se detalla en la imagen siguiente:



Medicamentos financiados en 2023

En el ejercicio 2023 se financiaron en España **21 nuevos MM.HH.**: 6 durante el primer cuatrimestre, 9 en el segundo cuatrimestre y 6 en el tercero. La cifra del 2023 es un máximo histórico en términos de MM.HH. financiados por el SNS, con **un incremento del 133% con respecto al 2022**, y 50% con respecto al 2021.

Sin embargo, observamos **una reducción de más del 40%** en el número de Códigos Nacionales asignados en 2023 con respecto al 2022, igualando la cifra más baja desde 2020.



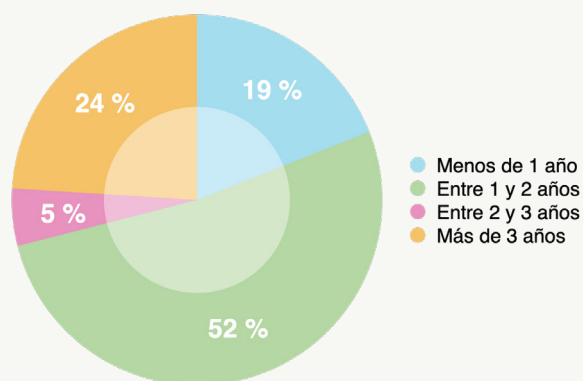
El tiempo medio transcurrido entre la autorización de comercialización comunitaria de los 21 nuevos productos financiados y la obtención de Código Nacional fue de 6 meses (2 meses menos que en 2022), mientras que **el plazo de espera desde el CN a la obtención de la decisión de precio y reembolso positiva fue de 23 meses**, 11 menos que en 2022 que recordemos fue el peor registro de la serie 2019-2022. Estos tiempos son similares a los de 2021, aunque siguen siendo más altos que el tiempo de espera de 2019, el año con la cifra más baja de la serie (14 meses).

*Tiempo medio de espera entre la obtención del CN y la fecha de alta en financiación.

A fecha del 31 de diciembre de 2023, no se ha incluido en este análisis a EVRYSDI, ya que aunque obtuvo su financiación por el SNS el 1 de enero de 2023, su OD fue retirada el 22 de septiembre de 2023.

De los 21 nuevos productos financiados durante todo 2023, más de la mitad de ellos ha esperado una media de entre 1 y 2 años para conseguir la financiación y casi el 30% más de 2 años.

% productos financiados durante 2023 por años de espera



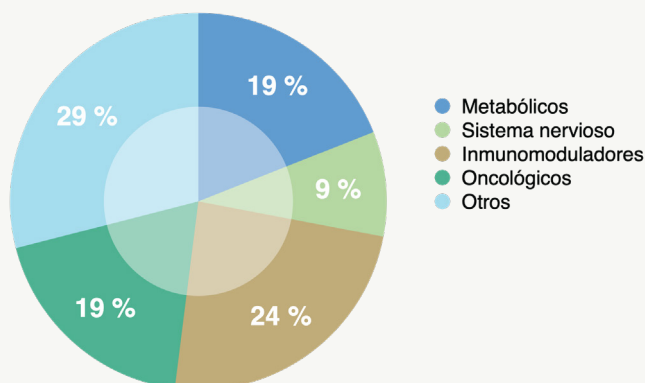
Por otro lado, el **38% de los 21 productos nuevos financiados durante 2023 tienen restringida su financiación** (en base a las indicaciones aprobadas por EMA) y el **100% de ellos tienen condicionada su financiación**.

Además, todos tienen condiciones de seguimiento, el **71% está sometido a 2 o más condiciones de financiación**, el 57% está sometido a revisión anual de ventas y precios y el 43% a techo de gasto, entre otras.

Como novedad este año en el Resumen Ejecutivo, observamos que el 57% de los 21 MM.HH. han pasado al menos 2 veces a la Comisión Interministerial de Precios (CIPM), y de éstos, 5 fueron 3 o más veces, con un máximo de 6 reuniones. Por otra parte, todos los MM.HH. fueron financiados por los **criterios a y c** recogidos en la legislación vigente para la financiación de nuevos medicamentos, que recordemos versan sobre la gravedad, duración y secuelas de la patología, y valor terapéutico y social del medicamento, respectivamente.

Por último, de los 21 nuevos MM.HH. financiados durante este año, las 3 principales áreas son inmunomoduladores (24%), enfermedades oncológicas (19%) y enfermedades metabólicas (19%).

% productos financiados durante 2023 por área terapéutica



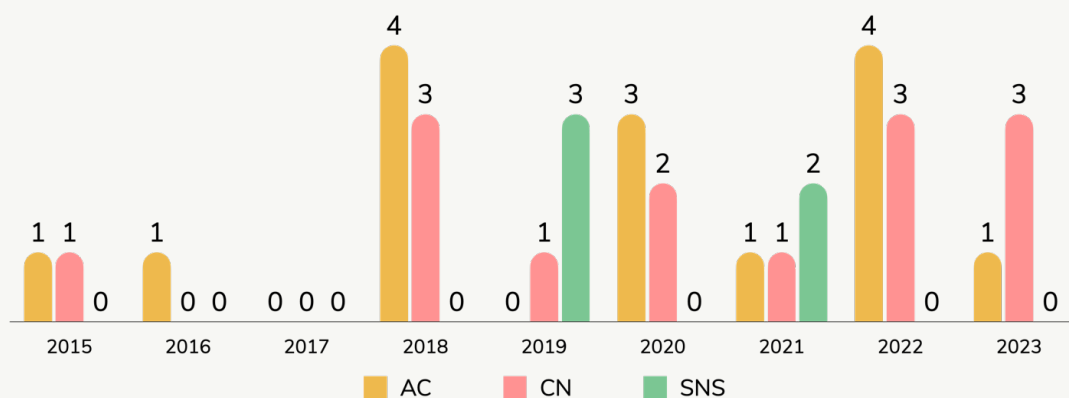
07

TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA

Durante 2023, 1 terapia ha sido autorizada en Europa (4 en 2022), 3 han obtenido CN, pero ninguna ha sido financiada por el SNS, siendo los dos últimos indicadores igual que en 2022.

Con la nueva terapia serían actualmente 15 terapias avanzadas con designación huérfana y con autorización de comercialización en la UE, de las cuales 14 disponen de Código Nacional, un 27% más que en 2022. Sin embargo, ya que ninguna terapia ha sido financiada este año, seguimos con 5 terapias financiadas (33%). Dos de estas terapias son oncológicas, y el resto son 1 oftalmológica, 1 inmunomoduladora y 1 para el sistema nervioso respectivamente. Además, las cinco terapias están incluidas en Seguimed y Valtermed y tienen al menos 2 condiciones de financiación adicionales, incluyendo pago por resultados (4) y revisión de precios (3).

De las 9 terapias restantes no financiadas por el SNS, 4 tienen una resolución desfavorable y 5 están en estudio o sin petición de financiación.

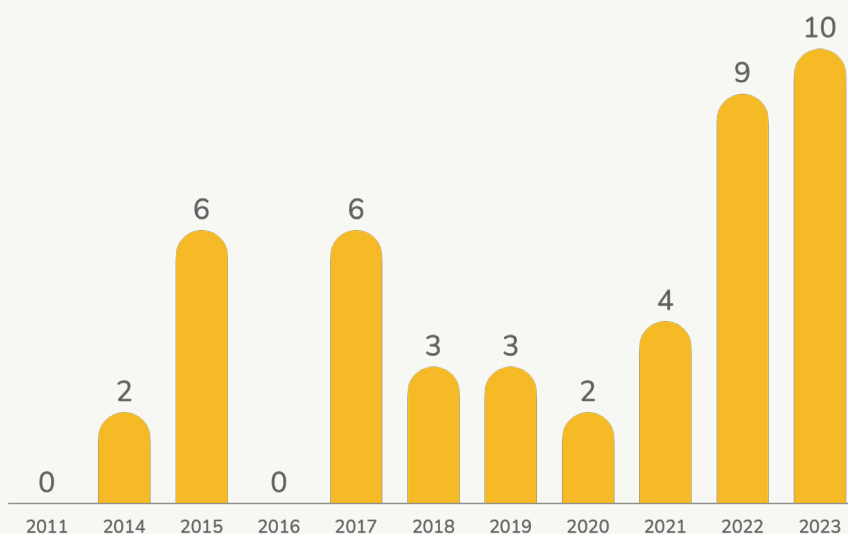


Por último, **33 terapias avanzadas con OD** están incluidas en el **programa PRIME** de la EMA, que está destinado a apoyar el desarrollo de medicamentos dirigidos a necesidades médicas no cubiertas, y otras **3 están en evaluación por el CHMP**.

08

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS

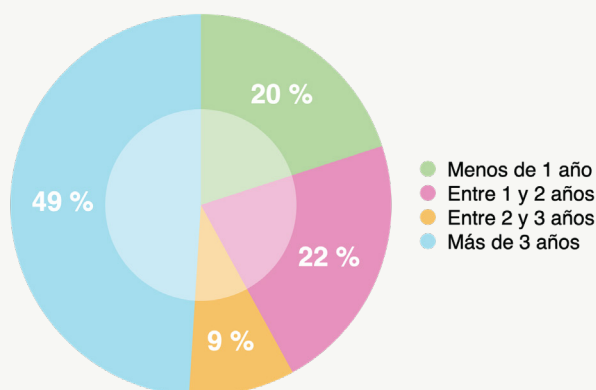
Actualmente en España hay **45 medicamentos huérfanos sin financiar**, 15 menos que en 2022. De éstos, un 60% (27) ha recibido una resolución negativa de financiación mientras que el 40% restante (18) se encuentra en estudio o su financiación no ha sido solicitada todavía.



Tal y como refleja el gráfico adjunto, de estos 45 medicamentos:

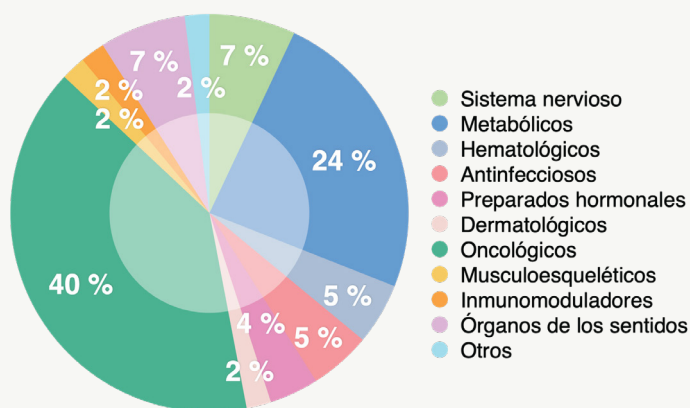
- El 18% (8 MM.HH.) llevan esperando financiación pública desde el periodo 2011-2015.
- El 60% (27 MM.HH.) con CN en el periodo 2017-2022 continúan sin financiación por el SNS.
- El 22% (10 MM.HH.) recibió CN en 2023.

MM.HH. sin financiar por años de espera



Además, casi la mitad de los MM.HH. con CN sin financiación **lleven esperando más de 3 años para su incorporación al SNS** y solo un 20% lleva menos de un año en esta situación.

MM.HH. sin financiar por área terapéutica



De los MM.HH. no financiados, un 40% son para enfermedades oncológicas, un 24% metabólicos y un 7% inmunomoduladores, entre otros.

En el Informe Anual también se recoge información sobre reuniones de la CIPM que han considerado estos medicamentos y los criterios acordados para denegar su financiación, que a continuación resumimos (información reflejada en las actas publicadas a 31 de diciembre de 2023).

De los 21 medicamentos huérfanos que han pasado por la CIPM durante el periodo 2018-2023, y según la información disponible en la página del Ministerio de Sanidad sobre los **criterios acordados para denegar su financiación**, observamos que en todas las decisiones denegatorias menos 2, se ha acordado el criterio d para la no financiación – racionalización del gasto. Por otra parte, el **criterio c** – valor terapéutico y social - ha sido incluido en 16 acuerdos denegatorios de financiación, y, por último, el **criterio e** – existencia de otras alternativas a menor precio - en 3.

Sobre los 10 medicamentos no financiados con **CN del año 2023**, solo 2 han pasado por la CIPM, ambos tienen el **criterio d** para el acuerdo denegatorio y uno de ellos además el **e**.

09 PRINCIPALES RESULTADOS DEL INFORME

- 01** Para AELMHU, los datos de acceso de los MM.HH. en 2023 continúan reflejando que el futuro de los tratamientos huérfanos en la UE sigue siendo positivo, lo que representa una **extraordinaria noticia para todos aquellos pacientes y familias** que todavía no han encontrado un diagnóstico o tratamiento para sus patologías y miran a la innovación farmacéutica con gran esperanza.
- 02** En el último año **han mejorado casi todos los parámetros comunitarios, pero con desigualdad**. A nivel de nacional, se ha conseguido un máximo histórico en términos de MM.HH. financiados por el SNS (21), y se ha conseguido reducir a 23 meses el tiempo de espera entre CN y decisión de precio y reembolso positiva. Sin embargo, ha habido una reducción en el número de CN en 2023, por lo que solo se consigue mantener igual el porcentaje de solicitudes de CN con respecto al total de MM.HH. autorizados a nivel europeo.
- 03** Las cifras en la UE son positivas, en el sentido de nuevas designaciones huérfanas (19) y nuevas autorizaciones de comercialización (12). Sin embargo, **estos números son bastante menores que los observados durante 2020-2022**, y son cifras que, de mantenerse así durante 2024, sería urgente revertir. Por lo tanto, estos dos indicadores merecen ser monitorizados en el corto plazo.
- 04** En términos de financiación, el porcentaje de MM.HH. financiados por el SNS con respecto al total de autorizaciones europeas, ha conseguido superar el 50%, por lo que ahora **España financia 5 de cada 10 MM.HH. aprobados por la UE**. Este impulso en las nuevas financiaciones viene dado por medicamentos huérfanos que llevaban ya varios años de espera, y que se veían reflejados en los números más bajos de MM.HH. financiados en los últimos años, así como el incremento de aquellos no financiados. Sin embargo, **ninguno de los 10 tratamientos que han obtenido fecha de CN durante 2023 ha sido financiado** (la fecha más reciente de CN para estos 21 es de noviembre de 2022).
- 05** Si bien se ha reducido el porcentaje de los productos nuevos financiados durante 2023 con financiación restringida (en base a las indicaciones aprobadas por EMA), siguen **todos ellos con financiación condicionada y con condiciones de seguimiento, y ahora el 71% están sometidos a 2 o más condiciones de financiación**, el 57% a revisión anual de ventas y precios, y el 43% a techo de gasto.
- 06** Por otro lado, a fecha 31 de diciembre de 2023, **había 24 MM.HH. aprobados a nivel europeo que no disponían de CN en España**, lo que sigue representando el 16% del total de los autorizados en la UE como en 2022, y que fue la cifra más alta de los últimos 4 años. De ellos, el 67% lleva más de un año autorizado sin que haya accedido todavía a nuestro mercado, lo que demuestra una menor disponibilidad de innovaciones relevantes para los pacientes españoles.
- 07** Asimismo, a pesar de que estos desarrollos son el futuro de la atención sanitaria, particularmente en el ámbito de las enfermedades raras, en el año 2023 España tampoco ha financiado ninguna terapia avanzada con designación huérfana. Y de las 15 terapias con autorización de comercialización en la UE, 14 disponen de Código Nacional, un 27% más que en 2022. Por lo tanto, ahora solo un 33% están financiadas por el SNS.
- 08** Uno de los resultados más positivos con respecto al 2022 es la reducción en los tiempos de espera entre el CN y la financiación. Aunque si bien han decrecido considerablemente en 11 meses, los 23 meses actuales **siguen estando lejos de satisfacer los tiempos acordados con lo incluido en la legislación vigente**.
- 09** En este momento, **45 medicamentos huérfanos se encuentran sin financiar en nuestro país**, 15 menos que en 2022, aunque casi la mitad (49%) lleva esperando más de 3 años para su incorporación al SNS. Las razones principales de no financiación han sido la racionalización del gasto público y el valor terapéutico y social del medicamento.

10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES

- 01 Esta nueva edición del Informe Anual de Acceso de Medicamentos Huérfanos en España pretende seguir aportando información sobre el estado actual e histórico del acceso a estos tratamientos en España, con el objetivo de **continuar el diálogo con todos los agentes del sector, en aras de mejorar el acceso por parte de los pacientes a los tratamientos** que, desafortunadamente, tanto necesitan.
- 02 Los datos de acceso de los MM.HH. del año 2023 arrojan resultados positivos y esperanzadores, sobre todo en términos de MM.HH. financiados por el SNS, ya que es la primera vez, al menos desde 2019, que **España financia 5 de cada 10 MM.HH. con Autorización de Comercialización (AC) europea.**
- 03 En menor medida, pero también importante y esperanzadora, es la **reducción en tiempos de espera** entre el Código Nacional (CN) y la decisión positiva de financiación y precio, sobre todo si se consigue revertir la tendencia de los últimos años, con esperas de más de 30 meses. Para poder proporcionar el tratamiento a los pacientes a su debido tiempo, es imperativo seguir trabajando en acortar estos plazos. Para ello, AELMHU manifiesta el **compromiso** de todos sus miembros para trabajar de manera colaborativa entre todos los agentes, en un entorno de confianza.
- 04 Es importante remarcar que **en 2023 no se ha financiado ningún medicamento huérfano que haya obtenido Código Nacional durante el mismo** – relacionado con los tiempos de espera, este aspecto requiere un esfuerzo de todos para asegurarnos un mejor acceso a los MM.HH. de reciente autorización.
- 05 También hay un indicador donde a nivel de España no se mejora, ya que se mantiene **el 16% de medicamentos huérfanos con AC, pero sin CN**, y de hecho, es preocupante que se mantenga la **tendencia alcista** en el número de medicamentos en esta situación. Si bien es cierto que las razones son complejas, un objetivo a corto plazo debería ser reducir este porcentaje al menos a niveles de 2019 (9%), con miras a reducirlo aún más a medio plazo.
- 06 Este contexto nos lleva a demandar, una vez más, que España debería ser capaz de **mejorar y agilizar los procesos de aprobación de MM.HH.**, sobre todo porque su eficacia y seguridad ya han sido acreditadas por la Agencia Europea del Medicamento (EMA).
- 07 Los MM.HH. proporcionan un gran valor sanitario para los pacientes con enfermedades raras, pero también económico y social para España, como así lleva muchos años defendiendo AELMHU, desde la convicción de que **la innovación es un activo tangible para toda la sociedad y un proyecto de futuro y de país.**
- 08 En términos de materia legislativa relacionada con el acceso, las elecciones en 2023 trastocaron las previsiones iniciales de las que ya nos hacíamos eco en el Informe de Acceso de 2022, y el **desarrollo de leyes y normativas.**
- 09 Después de un año con muchas novedades para España, la aceleración en la investigación y desarrollo de nuevos tratamientos huérfanos representa una gran oportunidad que debería **estimular la suma de esfuerzos** para situarnos en primera línea en eficiencia, capacidad de respuesta y atractivo.

10

Los factores que determinan finalmente si los pacientes que sufren una enfermedad rara tienen acceso a un medicamento huérfano son múltiples y complejos. La mejora en varios indicadores es innegable, pero **es preciso seguir profundizando en numerosos aspectos, como el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación farmacéutica sobre nuevos productos e indicaciones, la equidad en el acceso a esos tratamientos, la agilización de procesos burocráticos, la mejora del proceso de evaluación, y dotar de mayor certidumbre, transparencia y participación a todo el trámite de aprobación, entre otras cuestiones.**

11

Con ese objetivo, **AELMHU compartió durante 2023** dos documentos con el **Ministerio de Sanidad**, uno con **recomendaciones** sobre el proceso de acceso y la evaluación de MM.HH., y otro sobre un programa de "Acceso Temprano" para medicamentos con designación huérfana o medicamentos para enfermedades minoritarias.

Aquí se ofrece un **resumen** de éstas, en las siguientes materias:

- En temas de evaluación, **constituir una comisión mixta entre los órganos competentes** (y en su defecto, grupos de trabajo) de la Administración y los representantes sectoriales de la industria farmacéutica, para el desarrollo conjunto y consensuado de modelos de evaluación de la innovación específicos de las enfermedades minoritarias. Esta Comisión Mixta debería **trabajar en colaboración con las actuales iniciativas** de desarrollo de guías metodológicas más generales, con el objetivo de establecer un procedimiento predecible de presentación, resolución e información de alegaciones, e incrementando la participación de los pacientes y los clínicos.
- Si bien los criterios recogidos en la legislación vigente para la financiación de nuevos medicamentos serían apropiados a nivel general, es necesario seguir trabajando en los Reales Decretos sobre el tema, y **poder incluir otros atributos más allá de la evaluación de su coste-efectividad y criterios de eficiencia**, como la necesidad médica, la calidad de vida y la visión de los pacientes y sus cuidadores, la carga familiar de la enfermedad y aspectos de igualdad, equidad o solidaridad. Una posibilidad sería la de utilizar un análisis de decisión multicriterio para determinar el valor del medicamento huérfano.
- Ligado con la evaluación está la financiación y fijación de precios de los MM.HH. y su inclusión en la prestación farmacéutica del SNS. A corto y medio plazo, el objetivo debería ser **mejorar los buenos resultados de 2023** y asegurar que no volvemos a las cifras de años anteriores. Para ello, desde AELMHU creemos en la **necesidad de aportar certeza, agilidad y una mayor transparencia en los procesos, tanto de evaluación como de financiación y precio.**
- Existen controles y restricciones en el uso y la financiación de los MM.HH., que en parte vienen por la incertidumbre asociada a su uso debido a las características de las enfermedades raras. Estos controles frecuentemente están ligados a resultados clínicos y/o financieros, estimulando una mayor transparencia y gobernanza, que permita homogeneizar la disparidad territorial existente y facilitar la recogida de datos. **Para ello, es necesario seguir trabajando en cómo optimizar el uso de datos de vida real durante los procesos de evaluación, precio y financiación de medicamentos huérfanos.** Un elemento clave es mejorar el Registro Estatal de Enfermedades Raras (REER), asegurando que la recogida de datos de resultados en vida real se adapte a la práctica clínica habitual en los Centros, Servicios y Unidades de Referencia del Sistema Nacional de Salud (CSUR)/hospitales, apoyando a la transformación digital del sector.

- **Los modelos de 'acceso temprano'** fueron uno de los temas más relevantes para los MM.HH. en España, refiriéndose a situaciones donde el paciente tiene acceso al medicamento, aunque no haya decisión de precio y financiación ("medicamentos en situación temporal de financiación"). Es importante remarcar la reducción significativa en los tratamientos no financiados por el SNS. La duración del tiempo entre Código Nacional y esta decisión de financiación depende de múltiples factores, y desde **AELMHU estamos esperanzados con la predisposición del Ministerio de Sanidad para seguir trabajando en nuestro objetivo común de que los pacientes tengan el acceso apropiado a los tratamientos existentes y futuros.**
- Las recomendaciones ofrecidas en 2023 por AELMHU sobre un posible modelo de evaluación acelerada para **"medicamentos en situación temporal de financiación" parten del compromiso por parte de las compañías de comunicar su decisión de comercialización en España a la AEMPS para el inicio del proceso de precio y financiación.** Así, para tratamientos que cumplan ciertos criterios de elegibilidad, se podría empezar un proceso, de hasta 15 meses y con un registro en bases de datos de calidad, donde se evalúa la información disponible mientras el medicamento está financiado temporalmente. Por su parte, la compañía farmacéutica tendría la obligación de no superar los precios de los países del entorno donde pudiera estar comercializado el medicamento. Además, una vez finalizado el proceso de precio y financiación, se realizaría una devolución en base a la diferencia de precios en caso de resolución positiva, y en caso de resolución negativa, se determinaría su financiación en función de necesidad.

12

Como último comentario, y más allá de las cifras incluidas en el Informe, es imperativo **asegurar la equidad en el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos entre las diferentes Comunidades Autónomas.**

AELMHU quiere reiterar su invitación para que todos juntos -industria, pacientes, comunidad científica, profesionales y decisores públicos- **aunemos fuerzas con el fin de encontrar soluciones que mejoren la calidad de vida de todas aquellas personas que padecen una enfermedad minoritaria.**

Esperamos que en nuestros próximos informes cuatrimestrales de 2024 sigamos anunciando buenas noticias.

11 FUENTES DE INFORMACIÓN

- 01 [Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento](#)
- 02 [Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos](#)
- 03 [Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS](#)
- 04 [Medicamentos Huérfanos financiados por el SNS \(Nomenclátor\)](#)
- 05 [Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos \(CIPM\)](#)

12 ACRÓNIMOS

AC: Autorización de Comercialización.

AEMPS: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

CHMP: Comité de Medicamentos de Uso Humano.

CN: Código Nacional.

COMP: Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos.

CIPM: Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos.

EE.RR.: Enfermedades Raras.

EMA: Agencia Europea del Medicamento.

MM.HH.: Medicamentos Huérfanos.

OD: Orphan Designation.

REER: Registro Estatal de Enfermedades Raras

SNS: Sistema Nacional de Salud.

UE: Unión Europea.

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

informacion@aelmhu.com

