

Actualización de Recursos de Atención de Enfermedades Raras

Burgos, a 23 de junio de 2014



- ¿Qué es AELMHU?
- El valor de los medicamentos huérfanos
- Acceso de los medicamentos huérfanos al Sistema Nacional de Salud
- El nuevo Sistema Nacional de Salud
- Focos de atención de AELMHU
- Conclusiones



¿Qué es AELMHU?

- Asociación de empresas farmacéuticas **expertas en enfermedades raras** (EERR).
 - Organizaciones con estructuras *relativamente pequeñas*
 - *La mayoría son empresas biotecnológicas*
- Compromiso en invertir, descubrir y desarrollar **tratamientos innovadores** y que, además, **aporten valor**
 - Inversión en I+D de *hasta el 25% del beneficio neto*
 - Compañías que proporcionan *empleo de alto valor y cualificación*
- Con el fin de ayudar a cambiar el curso de las enfermedades raras y ultra-raras



AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

Miembros

 **ACTELION**

 **ALEXION**
pharmaceuticals

BIOMARIN
BioMarin Europe Ltd.

 **Chiesi**
People and ideas for innovation in healthcare

CSL Behring

 **INTERMUNE**
Leader in IPF

 **IPSEN**
Innovation for patient care

 **ORPHAN** EUROPE
RECORDATI GROUP

 **Shire**

 **sobi**
SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM



¿Por qué AELMHU?

Necesidad social de hacer visibles las características especiales de las Enfermedades Raras (EERR) y el empleo racional de los Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos (MHU), llevan a AELMHU a ser un **interlocutor válido** para:

- Administración Sanitaria
- Comunidades Médicas y Científicas
- Representantes Políticos
- Asociaciones de Pacientes
- Sociedad en general



Peculiaridades del desarrollo de MHU

- **Muy pocos laboratorios** invierten en I+D de estos medicamentos. Los que lo hacen, contribuyen al:
 - Desarrollo del fármaco
 - Mejor conocimiento de la propia enfermedad
- **Cohortes de pacientes muy pequeñas:**
 - La investigación debe prolongarse después de la autorización
 - Seguimiento continuado, controlado y documentado a la largo de la vida del producto: Registro de pacientes
- **Los diseños metodológicos convencionales deben adaptarse** de manera fiable a la realidad de estas patologías sin comprometer la evidencia de eficacia y seguridad



Medicamentos Huérfanos





Pre-authorisation

Post-opinion

Post-authorisation

Product information

Scientific advice and
protocol assistance

Scientific guidelines

Innovation Task Force

SME office

Paediatric medicine

Geriatric medicine

▼ Orphan designation

Background

Legal background

How to apply

Activities after
designation[Home](#) ▶ [Human regulatory](#) ▶ [Orphan designation](#)

Orphan designation

Email Print Help

This section provides guidance and procedural information on applying for orphan designation for medicines for rare diseases in the European Union (EU). It also includes information on what happens after a designation has been granted, including the incentives available for sponsors developing orphan medicines.

Orphan designation

To qualify for [orphan designation](#), a medicine must meet a number of **criteria**:

- ▶ it must be intended for the treatment, prevention or diagnosis of a disease that is life-threatening or chronically debilitating;
- ▶ the prevalence of the condition in the EU must not be more than 5 in 10,000 or it must be unlikely that marketing of the medicine would generate sufficient returns to justify the investment needed for its development;
- ▶ no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition concerned can be authorised, or, if such a method exists, the medicine must be of significant benefit to those affected by the condition.

Applications for [orphan designation](#) are examined by the European Medicines Agency's [Committee for Orphan Medicinal Products \(COMP\)](#), using the network of experts that the Committee has built up. The evaluation process takes a maximum of 90 days from validation.

For information on how to apply, see [how to apply for orphan designation](#).

After orphan designation

Related information

- ▶ [Medicines for rare diseases background information](#)
- ▶ [Opinions on orphan designation](#)
- ▶ [Community register of orphan medicinal products for human use](#)
- ▶ [European Union Committee of Experts in Rare Diseases \(EUCERD\)](#)
- ▶ [Joint European Medicines Agency \(EMA\), US Food and Drug Administration \(FDA\), and Japanese Ministry of Health, Labour and Welfare \(MHLW\) Pharmaceuticals and Medical Devices Agency \(PMDA\) orphan medicinal product workshop \(10/03/2014\)](#)
- ▶ [Orphan-medicinal-product designation \(22/05/2014\)](#)

Contact point:

orphandrugs@ema.europa.eu



The Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) is the committee at the Medicines Agency that is responsible for reviewing applications from people or companies seeking 'orphan-medicinal-product designation'.

This designation is for medicines to be developed for the diagnosis, prevention or treatment of **diseases** that are life-threatening or very serious. In the European Union (EU), a disease is considered rare if it affects fewer than 5 in 10,000 people across the EU.

▶ See the [full overview of the COMP's role](#).

Composition

The [members](#) of the COMP are **nominated by the EU Member States**, in consultation with the Agency's [Management Board](#). [Non-voting](#) members are nominated by the European Commission. They are chosen on the strength of their qualifications and experience with regard to the evaluation of medicinal products.

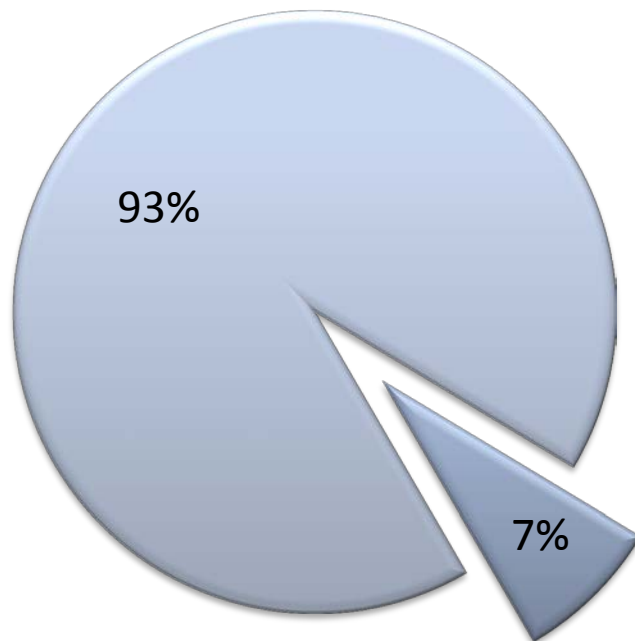
To represent patient organisations, the [European Commission](#) [↗] appoints three members. The European Commission also appoints three independent members on the basis of a recommendation from the Agency.

All members serve on the Committee for a renewable period of three years.

The COMP is composed of:

- ▶ a chair, elected by serving COMP members;
- ▶ one member nominated by each of the 28 Member States;
- ▶ three members nominated by the European Commission to represent patients' organisations;
- ▶ three members nominated by the European Commission on the Agency's recommendation;
- ▶ one member nominated by Iceland and one by Norway.

Designación MH
EMA **SIN**
autorización de
comercialización

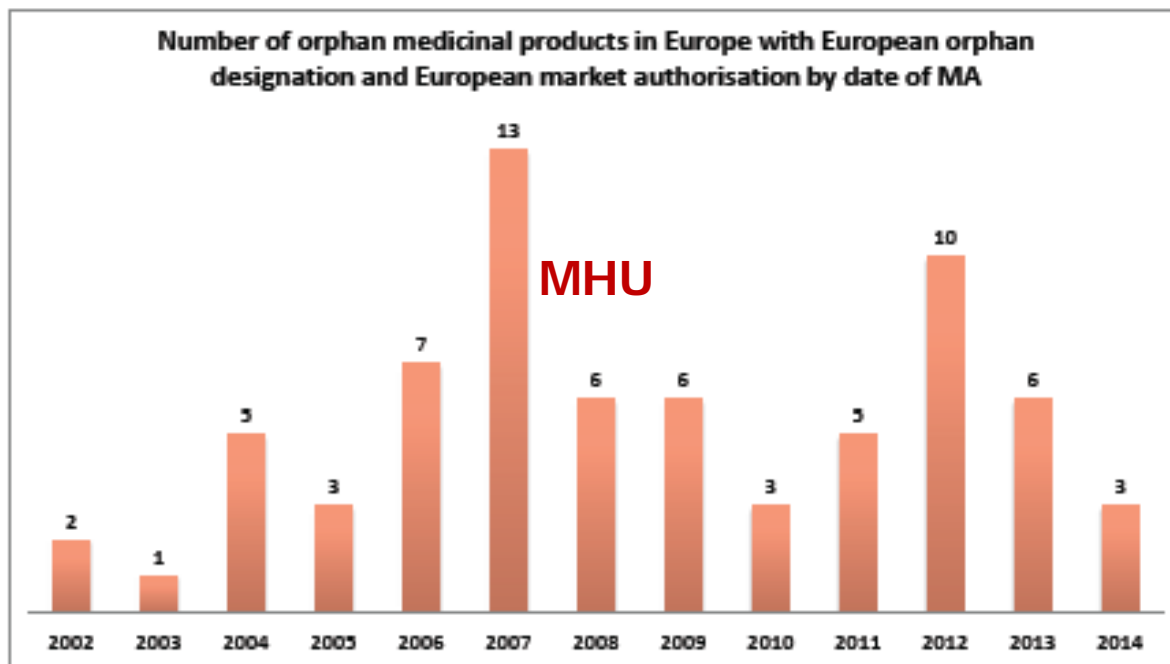


Designación MH
EMA **CON**
autorización de
comercialización

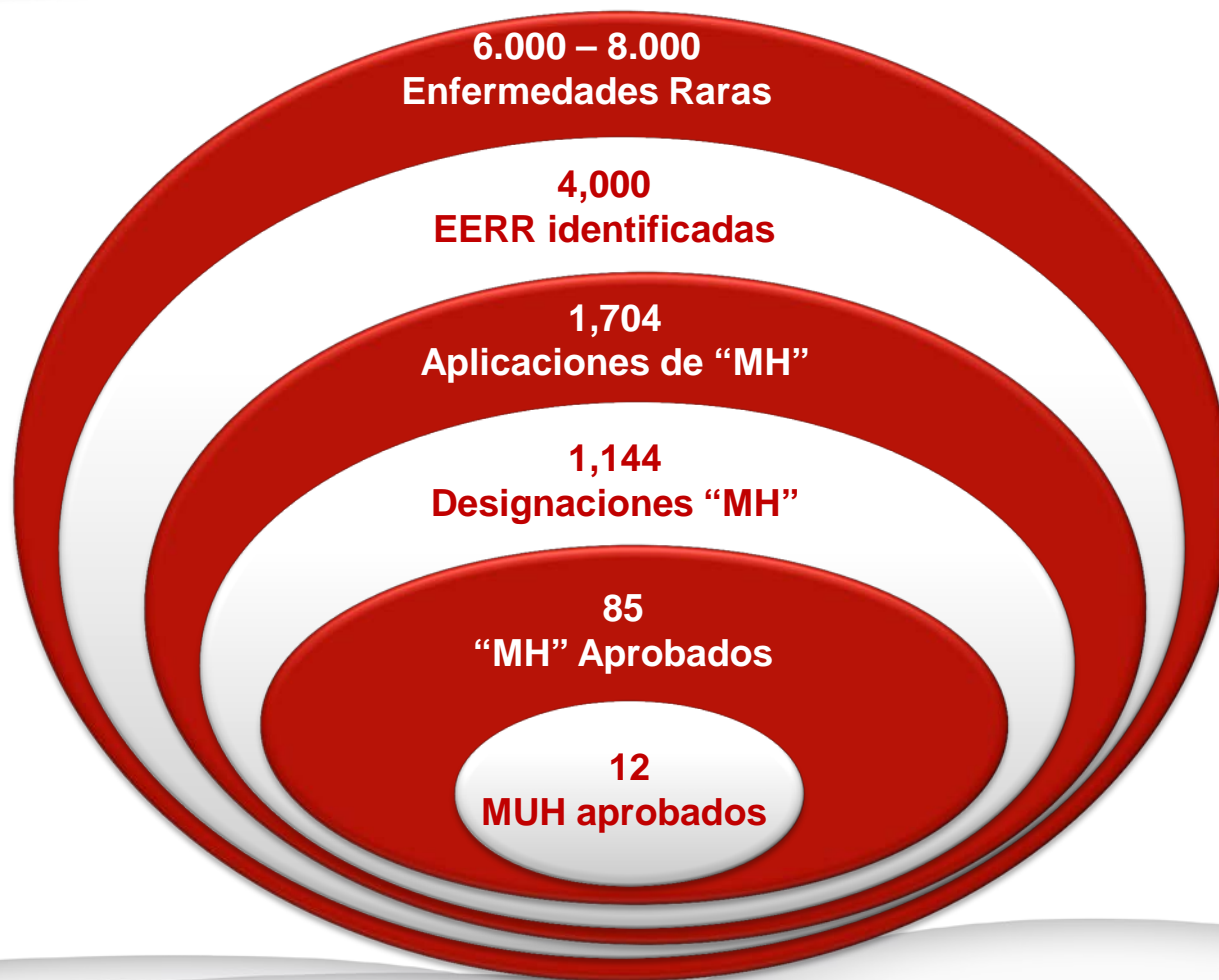
Fuente: EMA (% de productos con designación de MH que han recibido autorización de comercialización entre los años 2000 y 2012)



Valor de los MHU



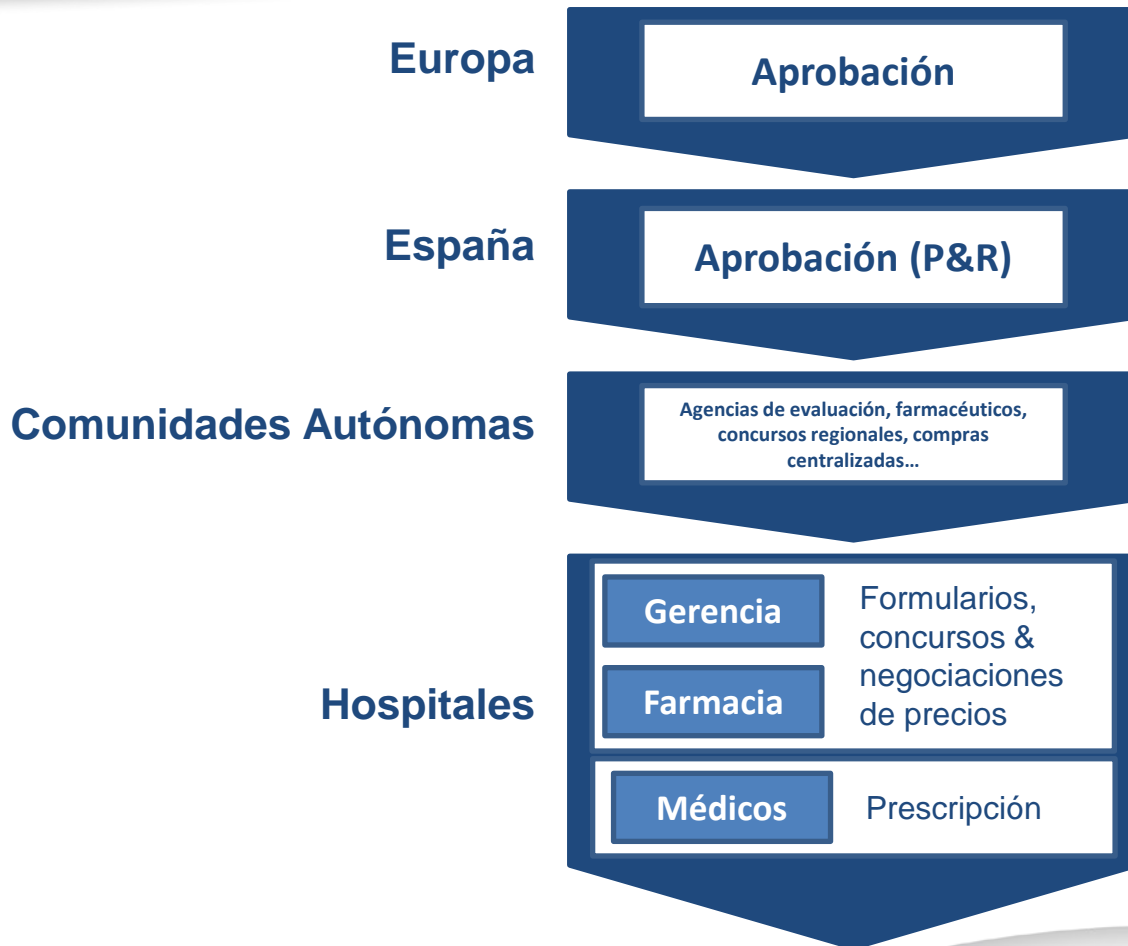
Valor de los MHU



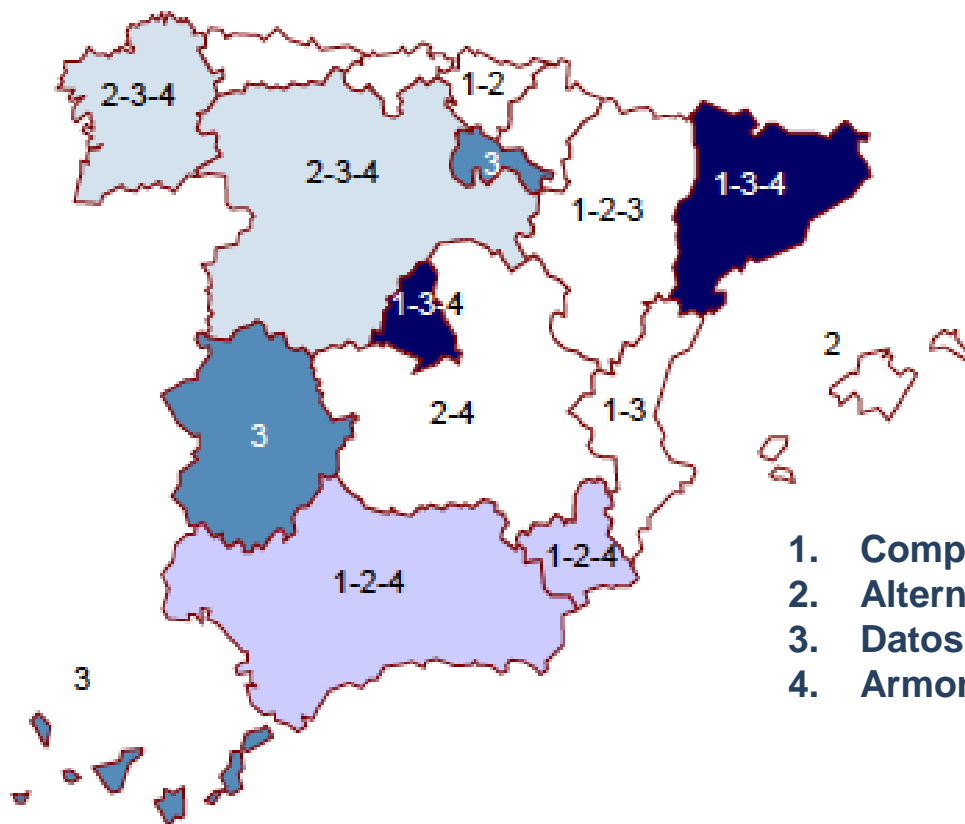
67 MH con
designación vigente
comercializados en
Europa / 44 en España



Complicado acceso al SNS



...y aumentando la heterogeneidad entre CCAA



1. Compra centralizada
2. Alternativas Terapéuticas Equivalentes
3. Datos comparativos entre hospitales
4. Armonización de protocolos



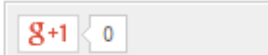
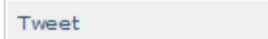
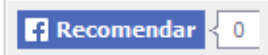
Cambios en la toma de decisiones

Estudio IMS: Cambios en la influencia / poder de decisión 2008-2013

	National payers	Regional payers	KOLs	Médicos	Farmacéuticos	Pacientes
Medicina General	↔	↑ ↑	↑	↓ ↓	↑	↔
Especialistas	↔	↑ ↑	↔	↓	↑	↑



Compartir



Herramientas



POLÍTICA /

Los médicos denuncian que las ATEs rompen la libertad de prescripción

Temas relacionados: María José Sánchez Rubio · Sociedad Becerril · Farmaindustria · SEOM · Servicio Andaluz de Salud · Sociedad Española de Oncología Médica · Consejo Andaluz de Colegios de Médicos · Defensora del Pueblo · Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia · Sistema Nacional de Salud · Andalucía · Ensayos clínicos · Industria Farmacéutica · Agencia Española de Medicamentos · Consejo Interterritorial

J. P. RAMÍREZ / J. RUIZ-TAGLE / MADRID

[@ElGlobalNet](#)

lunes, 19 de mayo de 2014 / 10:49

■ El SAS publica los nuevos pliegos del concurso tras introducir los cambios exigidos por el TARC

La reactivación de las alternativas terapéuticas equivalentes (ATE) en Andalucía ha puesto en alerta al colectivo médico. Apenas dos meses después de que el Tribunal Administrativo de Relaciones Contractuales (TARC) de esta comunidad autónoma decidiese la anulación del procedimiento, el Servicio Andaluz de Salud ha publicado unos nuevos pliegos con las modificaciones que exigía el tribunal. No han sufrido cambios ni el número de lotes ni las cantidades económicas fijadas.

Lo +



Lo + leído hoy

1. Los farmacéuticos comunitarios empiezan a 'marcar diferencias'
2. La Efpia publica una lista con las compañías que dan acceso a los resultados de ensayos clínicos
3. Cataluña estudia la sentencia "poco clara" del TC para saber si debe devolver el euro por receta
4. La AGP llama a todo el sector a firmar un manifiesto por un sistema transparente y efectivo
5. Rovi apuesta por la producción propia y la internacionalización para ser sostenibles
6. Hefame distribuirá 'Secolino' by Chema Martínez
7. La Red de Jefes de Agencias de Medicamentos Europeas se reúne en España
8. La Junta de Andalucía no ve "nada extraño" el nuevo recurso de Farmaindustria por las ATEs
9. La FDA concede a elotuzumab la distinción de gran avance terapéutico en mieloma múltiple
10. Farjas valora el ahorro que van a producir los biosimilares pero avisa de que será paulatino

Ya disponible en **NetSalud**

Tu quiosco digital de salud



Twitter

- 1 Agencia nacional sobre HTA, AETS
- 8 Agencias regionales sobre HTA
 - Andalucía
 - Aragón
 - País Vasco
 - Islas Canarias
 - Cataluña
 - Galicia
 - Madrid
 - Murcia



FEDER reclama urgentemente un acceso en equidad a Medicamentos Huérfanos para las personas con enfermedades raras

La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) reclama urgentemente una respuesta a la grave situación que sufren muchas personas con enfermedades raras respecto al acceso en equidad a los Medicamentos Huérfanos (MMHH).

“Estos medicamentos suponen una oportunidad única a pacientes que no suelen tener ninguna alternativa terapéutica o cuyo tratamiento clásico podría ser peligroso o poco útil” afirma Juan Carrión, Presidente de la Federación



Desde FEDER se denuncia que en la actualidad se están dando retrasos importantes en el acceso de los afectados a los Medicamentos Huérfanos debido a la inexistencia de financiación específica y adicional para los hospitales que deben iniciar cada tratamiento y soportar el alto coste de estos medicamentos

Además, el frecuente carácter genético de las enfermedades raras genera notables concentraciones puntuales en algunos puntos estratégicos, lo que conlleva que el coste del medicamento vaya con cargo a un mismo centro u hospital petionario.

“Por ello, desde FEDER exigimos que se garantice un acceso en condiciones de equidad a los medicamentos huérfanos y demás tratamientos disponibles para enfermedades raras. Y para ello, proponemos la creación de una línea presupuestaria separada para garantizar el acceso en equidad a los MMHH e innovaciones terapéuticas disponibles para atender a los pacientes con estas patologías” afirma Carrión

Desde FEDER se ha reivindicado en numerosas ocasiones que se proceda a la creación de un fondo o “partida diferenciada” con cargo al Fondo de Cohesión para garantizar la igualdad de acceso en todo el territorio nacional, independientemente de la comunidad autónoma en la que residan. De esta forma, el hospital no verá penalizado su presupuesto con el coste que suponen

Ayúdanos

[Hazte socio donante](#)

[Haz un donativo](#)

[¿Eres empresa?](#)

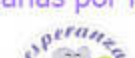
**DÍA MUNDIAL
DE LAS
ENFERMEDADES
RARAS**

Únete para mantener
encendida la flama
de la esperanza

Anota la fecha y prepara tu agenda



Carreras Solidarias por la
ESPERANZA

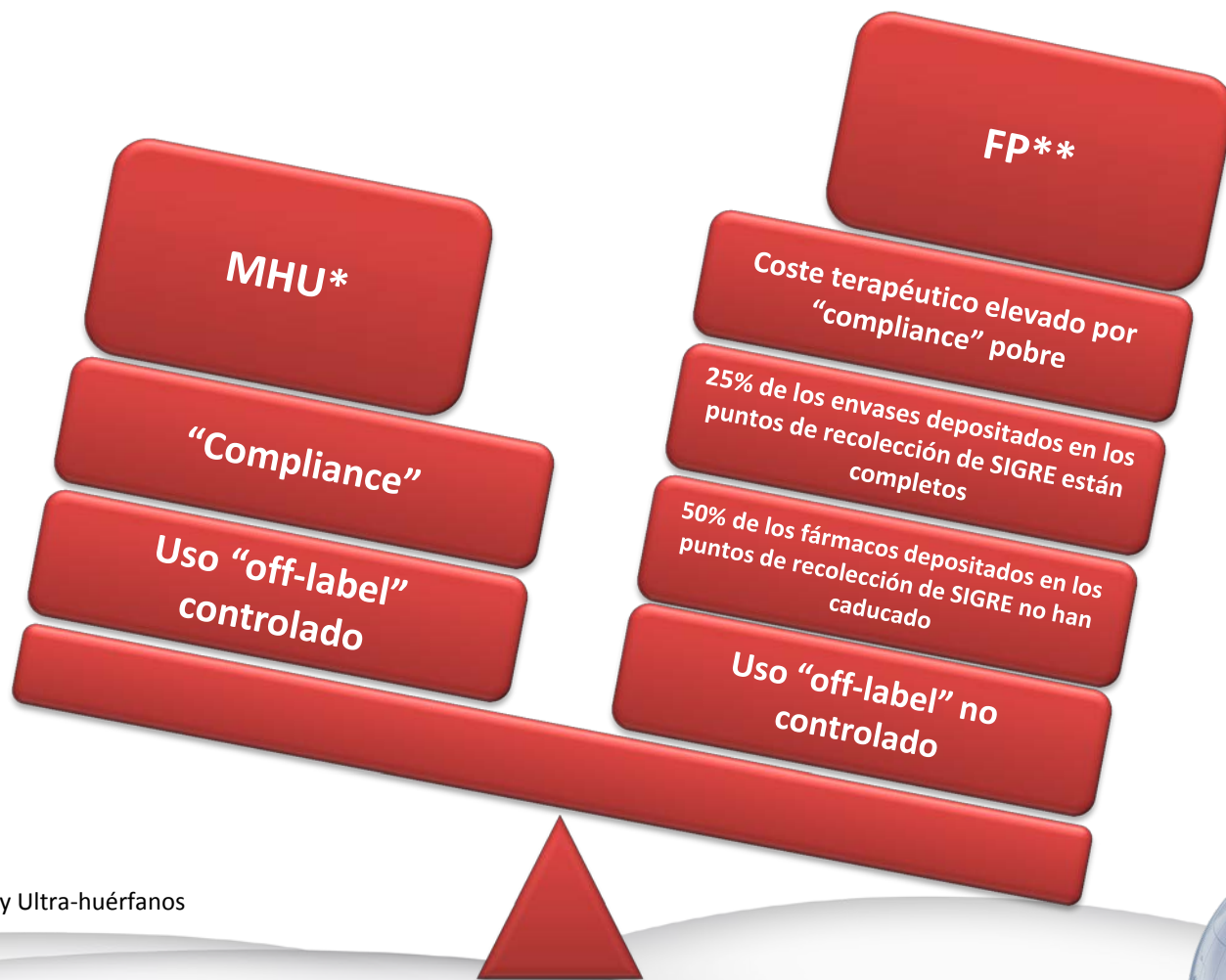


Falta de Equidad en España

- 8 Agencias de Evaluación y múltiples “Comités de Evaluación” de nuevos fármacos generan:
 - Re-evaluaciones heterogéneas
 - Criterios de acceso dispares
- La falta de presupuestos centralizados fuerza a las Comunidades Autónomas a utilizar recursos financieros no presupuestados para cubrir los nuevos diagnósticos y tratamientos sobre enfermedades raras



Empleo Racional del Medicamento



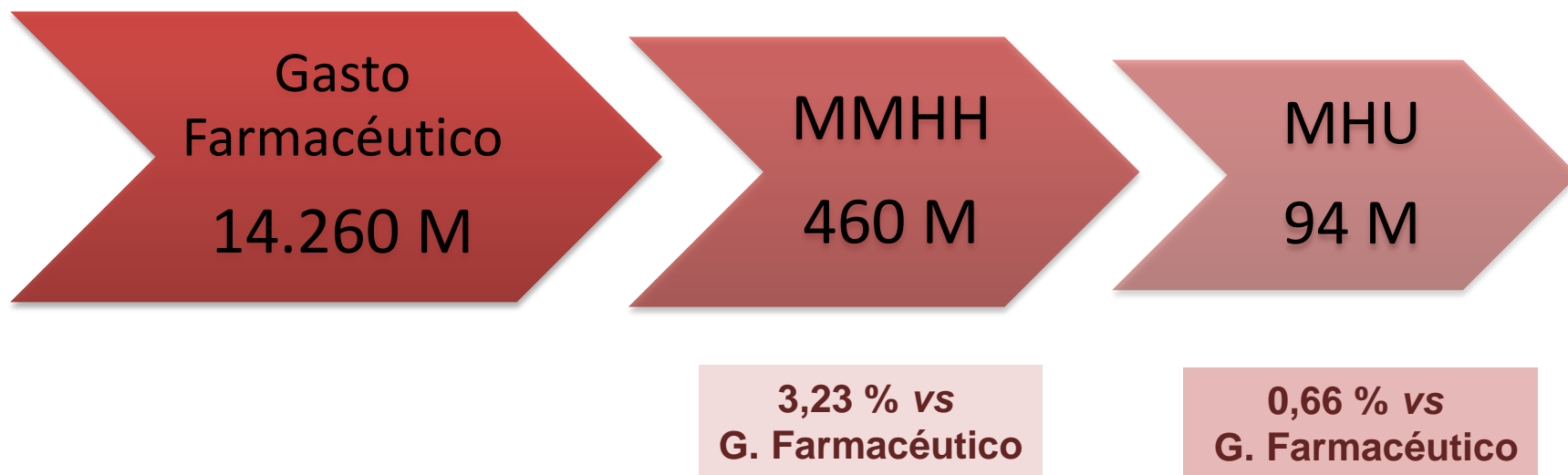
SIGRE

*Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos

**Fármacos prevalentes



Impacto de los MHU en el gasto del SNS



Fuente: MSSl, Farmaindustria e IMS año 2012



Focos de atención en 2014

1. Mejorar la valoración de equidad entre las CCAA para el diagnóstico y tratamiento de EERR (Son necesarios presupuestos para EERR/MHU)
2. Vía rápida para la negociación de precios para MHU
3. Generar y difundir datos sobre el valor (médico y social) de los MHU
4. Grupo de trabajo sobre EERR del Consejo Asesor de Sanidad: implementación de las conclusiones del grupo



- Los medicamentos huérfanos / tratamientos para EERR aportan valor a los pacientes y sus familias (y, en consecuencia, a nuestra sociedad)
- La falta de equidad entre CCAA es el mayor obstáculo a superar en la disponibilidad de los MHU
- Al “antiguo sistema” dejó de existir por falta de viabilidad. El nuevo todavía está en fase de desarrollo y los MHU necesitan una consideración especial
- Las soluciones viables sólo serán posibles si aparecen como consecuencia de la cooperación de todos los grupos implicados



AELMHU

ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

informacion@aelmhu.es

Telf. 681 384 549

www.aelmhu.es



- AELMHU: Marga Iniesta & Jose Alberto Molina
- Actelion: Jose Manuel Rigueiro & Maria Eugenia Gonzalez
- Alexion: Josep M^a Espinalt & Anna Salazar
- BioMarin: Tiago Barros & Ana Marin
- Chiesi: Mario Rovirosa & Carmen Basolas
- CSL Behring: Nuria Comas
- InterMune: Juan Jose Casado & Concha Martinez
- Ipsen: Guillaume Gaud & Gloria Tapias
- Orphan Europe: Paolo Sala & Mar Miñano
- Shire: Javier Urcelay & Jose Luis Moreno
- SOBI: Elena Molina & Esperanza Cedillo

