



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

Posicionamiento

¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos



La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) es la voz de los afectados por ER en España. FEDER actúa en nombre de los más de 3 millones de afectados y aglutina más de 190 asociaciones de pacientes con enfermedades poco frecuentes.



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

1. ¿Cuál es el precio de una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

- Se entiende por «Medicamento Huérfano» aquel producto destinado al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad grave y crónica que no afecte a más de 5 personas/10.000.
- 10 años después de la implementación del Reglamento de Medicamentos Huérfanos en Europa, está claro que ha tenido un impacto positivo en las enfermedades raras para las que anteriormente no existían tratamientos.
- La normativa europea sobre designación de huérfanos entró en vigor en abril de 2000, 17 años más tarde que la americana.
- De los 57 medicamentos huérfanos aprobados, la mayoría lo son para cánceres raros –se estima que hay más de 7.000 enfermedades raras (ER)- por tanto, para la mayoría de las ER no hay medicamentos, lo que significa que no hay ni siquiera una ‘primera oportunidad’.
- Actualmente, sigue siendo un problema el acceso equitativo y rápido a los medicamentos huérfanos aprobados para los pacientes con enfermedades raras.
- Los medicamentos huérfanos ahorran a los sistemas sanitarios el coste de hospitalizar de por vida a enfermos crónicos.
- ¿Cuál es el coste de un paciente sin medicamento huérfano?, Según EURORDIS una encuesta realizada a pacientes hemofílicos (enfermedad poco frecuente) en los Países Bajos reveló que los pacientes tratados trabajaban 17 años más en 2001 que en 1972. El coste de la hospitalización cuando se deniega el tratamiento puede llegar a los 100.000€ anuales.
- El reglamento sobre medicamentos huérfanos, adoptado desde 1999, no solo ha creado más empleo en la UE, sino que también ha favorecido un aumento de la investigación y el Desarrollo en enfermedades comunes.
- Las investigaciones realizadas para medicamentos huérfanos han sido fundamentales para la identificación de la mayoría de genes humanos.
- Los medicamentos huérfanos han resultado beneficiosos para combatir dolencias comunes (como, por ejemplo, el caso de la Epoetina).



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

- Según un Estudio presentado por EURORDIS – a finales de 2009- se estima que en Europa no habrá una ‘ola’ de nuevos MH que inunde el mercado. Se puede predecir con fiabilidad que habrá unos 100 nuevos medicamentos huérfanos designados que conseguirán la autorización de mercado entre 2000 y 2019, es decir unos 10 productos cada año,”

Madrid- La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) en nombre de los más de 3 millones de personas con estas patologías, publica este artículo para concienciar sobre el valor real de los medicamentos huérfanos.

De esta manera, la plataforma de pacientes quiere responder a la reciente controversia generada alrededor de los medicamentos huérfanos, como consecuencia del comunicado emitido por la Asociación de Economía de la Salud en el marco de sus XXX Jornadas, el pasado 15 de junio, en donde se alertaba sobre el alto coste que adquieren estos fármacos en el mercado.

Desde la Federación se publica el presente posicionamiento con el objetivo general de promover el conocimiento y desarrollo sostenible del valor de los medicamentos huérfanos para contribuir de esta manera a mejorar el acceso sostenible a estos medicamentos para todos los afectados en España

Con este documento los pacientes señalan la necesidad de establecer un diálogo abierto entre las compañías, las autoridades de precio y reembolso y los pacientes, así como también a las autoridades evaluadoras del valor clínico de estos fármacos a fin de garantizar la equidad en el acceso para todos los pacientes, sin importar su lugar de residencia.

¿Tienen derecho los más de 3 millones de personas con enfermedades raras a recibir tratamientos para mejorar su calidad de vida?

A la pregunta de si tienen los pacientes que padecen enfermedades poco frecuentes derecho a recibir la misma calidad de tratamiento que otros pacientes, la Federación declara que los afectados por ER deben tener el mismo derecho que los demás ciudadanos a recibir asistencia sanitaria de calidad y a tener esperanzas reales de tratamiento y de cuidado, siendo en sí mismo la protección de la salud un derecho fundamental en la Constitución Española y contando además con una garantía jurídica reforzada (art. 15 CE).



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

Las enfermedades raras, también denominadas de baja prevalencia, se definen en el ámbito de la Unión Europea como aquéllas con peligro de muerte o invalidez crónica que afectan a menos de 1 paciente por cada 2.000 habitantes. Se estima que existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras.

Así, se ha podido hablar de la «paradoja de la rareza», que alude al hecho de que siendo baja la prevalencia de cada una de estas enfermedades, sin embargo consideradas en su conjunto tienen una incidencia importante, estimándose que podrían afectar en España en torno a 3 millones.

El caso de Sara: el valor social de los Medicamentos Huérfanos

“Me llamo Sara y soy enfermera. Hace tiempo escuché por casualidad a unos médicos hablando de los medicamentos huérfanos. Estaban hablando sobre el dinero que se gastaba en ellos y recuerdo que pensé que no era justo. Hace dos años nació mi hijo, que padece una enfermedad rara. Todavía no existe un medicamento para esta dolencia. Yo haría cualquier cosa por ayudarle. A veces no vemos valor en la vida humana, hasta que el problema te cae a ti. Creemos que estas cosas no pueden pasarnos a nosotros, pero cuando te toca te das cuenta de lo importante que es no negarle a nadie la esperanza”.

Un medicamento huérfano es aquel destinado a tratar enfermedades poco frecuentes que ponen en peligro la vida o conllevan grandes discapacidades

Dentro del marco de la Unión Europea se entiende por «Medicamento Huérfano» aquel producto destinado al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad grave y crónica que no afecte a más de 5 personas/10.000, que resulte improbable que, sin incentivos, la comercialización de dicho medicamento en la Comunidad genere suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria y que los beneficios sean significativos para las personas afectadas por la enfermedad de que se trate.



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

Los Medicamentos Huérfanos tienen el beneficio único de 10 o 12 años de Exclusividad de Mercado, un incentivo de la UE que no existe para ningún otro producto regulado de la UE. Los Medicamentos Huérfanos se caracterizan por problemas específicos: la poca cantidad de pacientes y la escasez de conocimientos y expertos en este campo.

Durante los años recientes se ha reconocido que mientras la Regulación de Medicamentos Huérfanos de la UE 141/2000 ha estimulado la investigación y el desarrollo de los productos médicos huérfanos en la UE, **todavía sigue siendo un problema el acceso equitativo y rápido a los medicamentos huérfanos aprobados para los pacientes con enfermedades raras.**

Como fue subrayado por las conclusiones y recomendaciones finales sobre el precio y reembolso del Foro Farmacéutico de Alto Nivel de la UE, "un acceso efectivo al mercado y la utilización del mismo varían muchísimo entre y dentro de los Estados Miembros".

Esta situación genera retrasos **negativos en el proceso de toma de decisiones orientados a hacer los Medicamentos Huérfanos accesibles a los pacientes** en los mercados nacionales.

Un factor determinante de este problema es que existen grandes diferencias en términos de reembolso entre los estados miembros. En España los medicamentos huérfanos se financian a nivel hospitalario, lo que dificulta y en muchos casos impide que existan garantías sobre el acceso real de los pacientes al tratamiento.

Esta situación, ha venido siendo denunciada por la Federación Española de Enfermedades Raras y su Fundación, pues incluso aunque existen fármacos para algunas ER son tantas y tan variadas las trabas burocráticas que muchos afectados no pueden tener acceso a ellos.

Normalmente el acceso eficaz solo se produce después de presiones políticas, desafíos jurídicos y una defensa a ultranza.

Desde FEDER se lanza entonces esta pregunta ¿qué ocurre entonces con los pacientes que no pueden luchar por estar demasiado enfermos? ¿Cómo el SNS garantiza la equidad en el caso de las ER?



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

La Regla del Rescate: el valor ético de los medicamentos huérfanos.

Con espíritu solidario, ante catástrofes, accidentes y pérdidas humanas, la sociedad en general responde con una sensibilidad especial para ayudar y compensar a las víctimas. Es fácil recordar como en el intento de ayudar a un montañista perdido en una excursión y cuya vida está en peligro, la sociedad en general apoya realizar un 'rescate' sin importar los costes que estas acciones conlleven.

Desde la Federación, entonces se plantea una duda similar: ¿Se debería aplicar esta regla de 'rescate' también para 'rescatar' la vida de las personas que padecen una enfermedad rara y con frecuencia mortal?

Los medicamentos huérfanos ahorran a los sistemas sanitarios el coste de hospitalizar de por vida a enfermos crónicos.

Es importante tener en cuenta que los medicamentos huérfanos **pueden ahorrar a los sistemas sanitarios el coste de hospitalizar de por vida a enfermos crónicos**. A lo que resulta imprescindible sumar los días de asistencia hospitalaria, coste de discapacidades, menos días de trabajo perdidos por el paciente, declaraciones fiscales por los beneficios del sector, entre otros.

En este sentido, hay evidencias contrastadas sobre cómo el Reglamento sobre medicamentos huérfanos, adoptado desde 1999, **no solo ha creado más empleo en la UE, sino que también ha favorecido un aumento de la investigación y el desarrollo** en enfermedades comunes.

De esta manera y como valor fundamental, resulta importante subrayar que las investigaciones realizadas en ER han sido fundamentales **para la identificación de la mayoría de genes humanos** y para un cuarto de los fármacos innovadores que han recibido la aprobación de la UE.



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

De hecho, también se han dado incluso casos de **medicamentos huérfanos que han resultado beneficiosos para combatir dolencias comunes** (como por ejemplo el caso de la Epoetina).

En 2005, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) a través del COMP (Comité de Productos Medicinales) emitió un informe de balance de los cinco primeros años de legislación de medicamentos huérfanos en la Unión Europea arrojando los siguientes datos: entre abril de 2000 y abril de 2005 se recibieron 458 solicitudes de designación de medicamentos huérfanos, de los cuales más de 260 obtuvieron designación y 22 recibieron autorización para ser comercializados.

Dicho informe concluyó que la designación de medicamentos huérfanos había **estimulado la investigación de enfermedades raras en la Unión Europea**, incrementando el nivel de concienciación pública y científica e **impulsando la creación de redes expertas para unas 350 enfermedades raras**. La aplicación del Reglamento también fomentó **el diálogo y la colaboración con las asociaciones de pacientes** y supuso el desarrollo de colaboraciones con Agencias de Medicamentos de otros países no comunitarios como EE.UU. y Japón, con la Organización Mundial de la Salud y con ONGs dedicadas a las enfermedades raras.

En nuestro país, según información publicada en el documento de la Estrategia Nacional de las ER en los últimos cinco años, se han comercializado 36 medicamentos huérfanos, lo que supone el 87% de los autorizados por la Comisión Europea. En lo que al resto se refiere, los laboratorios no han solicitado su comercialización en nuestro país.

De esta forma, de los medicamentos huérfanos comercializados hasta la fecha en España, destacan los destinados a oncología y endocrinología/metabolismo. En este segundo apartado se incluye el tratamiento de las metabolopatías congénitas, enfermedades raras de origen genético sin tratamiento hasta ahora, por lo que estos fármacos constituyen una innovación terapéutica de primer orden.

¿Cuál es el coste de un paciente sin medicamento huérfano?

Para contestar a esta pregunta la Federación cita el dato facilitado por la Organización Europea de Enfermedades Raras (EURORDIS) sobre una encuesta realizada a pacientes



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

hemofílicos (una de las enfermedades poco frecuentes) en los Países Bajos, que reveló como los pacientes tratados trabajaban 17 años más en 2001 que en 1972. Permitiendo concluir como el coste de la hospitalización cuando se deniega el tratamiento puede llegar a los 100.000€ anuales.

Sin duda, el reembolso es el factor principal que determina el acceso a un medicamento huérfano por parte de los pacientes. El coste anual de estos tratamientos está fuera del alcance de los hogares medios.

Un hecho ampliamente documentado por el Estudio ENSERio –Estudio de Necesidades Socio Sanitarias en ER- impulsado por FEDER y Obra Social Caja Madrid ha sido el que frecuentemente en una familia donde hay niños con una ER, a menudo uno de los pacientes deja de trabajar o reduce significativamente su horario laboral. La consecuencia de ello es el aumento exponencial de los gastos agravado por la reducción de la renta. **El promedio estimado de los ingresos anuales destinados por las familias a los gastos de una ER son del 19%. Una de cada de tres familias dedica más del 20%. El 6% de las familias afectadas, llega incluso a dedicar más del 40% de los ingresos familiares a la atención de la enfermedad.**

Hoy por hoy, el coste de los medicamentos huérfanos representa el uno por ciento o menos de los presupuestos farmacéuticos de la mayoría de los países de la UE.

En el caso de los medicamentos huérfanos, desde FEDER, se insiste que el coste de un medicamento debe compararse con el beneficio que implica para un paciente disfrutar de un año con una buena calidad de vida.

Según EURORDIS, en cuanto al número de usuarios de medicamentos huérfanos, siempre serán pocos porque por definición interesan a un limitado número de individuos de la población general.

Un medicamento huérfano está limitado a la prevalencia de la enfermedad. Sin embargo el número real siempre será menor, y muchas veces mucho menor, dado que no todos los pacientes potencialmente afectados pueden beneficiarse de la medicación al final, bien porque i) no es efectivo para todos los pacientes afectados de una patología, ii) diversos



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

medicamentos están disponibles pero a la vez no se prescriben o iii) el acceso a centros de diagnóstico y de especialistas es limitado.

Por lo tanto, el número de pacientes con un acceso real al tratamiento es menor que la prevalencia de la indicación terapéutica, que en la mayoría de los casos es mucho más baja que la prevalencia de la enfermedad para la cual se ha desarrollado el medicamento huérfano.

El estudio continúa indicando que el coste está relacionado con la rareza de la enfermedad, aunque no de forma proporcional. De manera individual cuesta más tratar una enfermedad rara que una enfermedad frecuente.

Sin embargo, el coste se compensa por la rareza de las enfermedades y el reducido número de tratamientos disponibles en conjunto. Por lo tanto, cuanto más rara menos costará a la sociedad.

El desafío de las enfermedades raras: consideraciones éticas frente a las económicas

Enfrentados al reto de salud pública que suponen las enfermedades poco frecuentes, desde la Federación Española de Enfermedades Raras se subrayan las siguientes recomendaciones presentadas por el Informe Propuesta de las Partes Interesadas para la Implantación Práctica de las Directrices para Mejorar el Acceso a los Medicamentos Huérfanos en la UE, elaborado por EURORDIS:

- El 11 de noviembre de 2008, la Comisión Europea adoptó el Comunicado de la Comisión sobre "Enfermedades Raras: Los Retos de Europa". " En sus acciones operativas para desarrollar la cooperación europea y mejorar el acceso a un sistema sanitario de alta calidad para enfermedades raras", identifica acciones específicas para mejorar **"el acceso a los medicamentos huérfanos" (párrafo 5.3, p.6) como: "Hay dificultades específicas en el acceso a los medicamentos huérfanos a través del proceso de toma de decisiones para el precio y reembolso asociado a su grado de rareza; el camino a seguir es incrementar la colaboración a nivel europeo [...].** La Comisión establecerá un equipo de trabajo para intercambiar conocimientos entre los Estados Miembros y las autoridades



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

europas sobre la evaluación científica del valor añadido clínico de los medicamentos huérfanos. Estas colaboraciones podrían llevar a informes de evaluación del valor añadido clínico común no vinculantes con información mejorada que facilite las decisiones nacionales de precio y reembolso, sin suplantar los respectivos roles de las autoridades”.

- En la misma fecha, el 11 de noviembre de 2008, la Comisión ha adoptado una Propuesta para una Recomendación del Consejo sobre una Acción Europea en el Campo de las Enfermedades Raras, que ha sido adoptado por el Consejo de Salud el 9 de junio de 2009. En las recomendaciones a los Estados Miembros, hay un capítulo específico sobre “reunir a los expertos sobre enfermedades raras a nivel europeo” (Capítulo 5): **Con una acción específica sobre medicamentos raros (5): “Compartir los informes de evaluación de los Estados Miembros sobre el valor añadido terapéutico o clínico de los medicamentos huérfanos a nivel comunitario**, donde el conocimiento relevante y los expertos estén unidos para minimizar los retrasos en el acceso a los medicamentos huérfanos para los pacientes con enfermedades raras”.

La Federación suscribe completamente las propuestas formuladas por EURORDIS con relación a la composición y funciones del Grupo de Trabajo para la evaluación del valor clínico añadido de Medicamentos Huérfanos como el instrumento clave para un aumento de la colaboración entre las autoridades a nivel de UE y de Estados Miembros.

Esta colaboración es necesaria para superar el atasco creado por una especialización escasa, desigual y fragmentada sobre los Medicamentos Huérfanos a nivel nacional.

Sin duda, reunir a especialistas a nivel de la UE para la evaluación del valor añadido clínico de los Medicamentos Huérfanos permitirá una creación oportuna de opiniones bien documentadas que reducirán el déficit de información para las decisiones de Precio y Reembolso nacionales y llevarán a Informes de Evaluación Común no vinculantes sobre el valor añadido clínico de los Medicamentos Huérfanos basados en información de mayor calidad.

El objetivo de la colaboración en la evaluación común del valor añadido clínico será “facilitar las decisiones nacionales sobre precio y reembolso” y tendrá el único objetivo de “minimizar



¿Cuanto vale una vida humana? El valor real de los medicamentos huérfanos

los retrasos al acceso a los Medicamentos Huérfanos para los pacientes con enfermedades raras”, a la vez que se respetarán de lleno las competencias nacionales para tomar las decisiones sobre su precio y reembolso dentro de su respectivo medio económico y sanitario.

Desde FEDER, se estima que el objetivo más importante de esta medida deberá ser conseguir aprovechar al máximo los datos científicos existentes en el momento de la Autorización de la Comercialización y hacer esto transparentemente accesible a los Estados Miembros y todas las partes interesadas a la hora de la Autorización de la Comercialización. Esto evitará la duplicación y derroche de evaluaciones científicas existentes en el proceso legislativo de los medicamentos huérfanos de la UE y que ya comienzan a multiplicarse en el caso de las CCAA españolas.

Sobre la Federación Española de Enfermedades Raras

La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) es la voz de los afectados por ER en España. FEDER actúa en nombre de los más de 3 millones de afectados y aglutina más de 190 asociaciones de pacientes con enfermedades poco frecuentes.

FEDER dedica sus esfuerzos, desde 1999, a mejorar la calidad de vida de los afectados, sus familias y cuidadores a través de la defensa de sus derechos e intereses, el liderazgo en el desarrollo de proyectos socio sanitarios desde un enfoque integral en la atención de los pacientes, el fomento de la información y formación en ER así como la promoción de la visibilidad, el reconocimiento social y la investigación sobre estas enfermedades.

Fin Documento.

Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)

Madrid. Julio de 2010.