AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

Interés de la Industria en los medicamentos huérfanos

Stefanie Granado
Vicepresidenta AELMHU

Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos.

Constituida el 11 de enero de 2011, AELMHU es una asociación 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 enfermedades raras y ultrarraras.

El desarrollo de los medicamentos huérfanos…un reto

El **riesgo** y el **coste** de desarrollo de un nuevo fármaco es muy alto, más aún en el ámbito de las enfermedades raras, ya que no hay conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico.

Sólo alrededor de 1 de cada 10 moléculas que entran en ensayos clínicos en humanos consiguen superar el proceso de desarrollo y aprobación.

Tiempo:
10-12 años desde la síntesis de un fármaco potencial hasta su comercialización

Coste:
La mediana del coste pre-comercialización de un nuevo tratamiento es 2,3 billones dólares (1) con una incertidumbre superior al 70% en MMHH

Dificultad:
Los EECC en Fase I, requieren 6 veces más recursos para reclutar un ¼ de los pacientes en EECC "no huérfanos"

1.-DiMasi JA, Grabowski HG, Hansen RW. "Innovation in the pharmaceutical industry: new estimates of R&D costs."

2. Pharmaceutical Technology, Counting the cost of failure in drug development, 19 June 2017.

Enfermedades raras y ultrararas – Una necesidad médica no cubierta

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

5-8000 EERR

80% de origen genético

50% EERR comienzan en la infancia

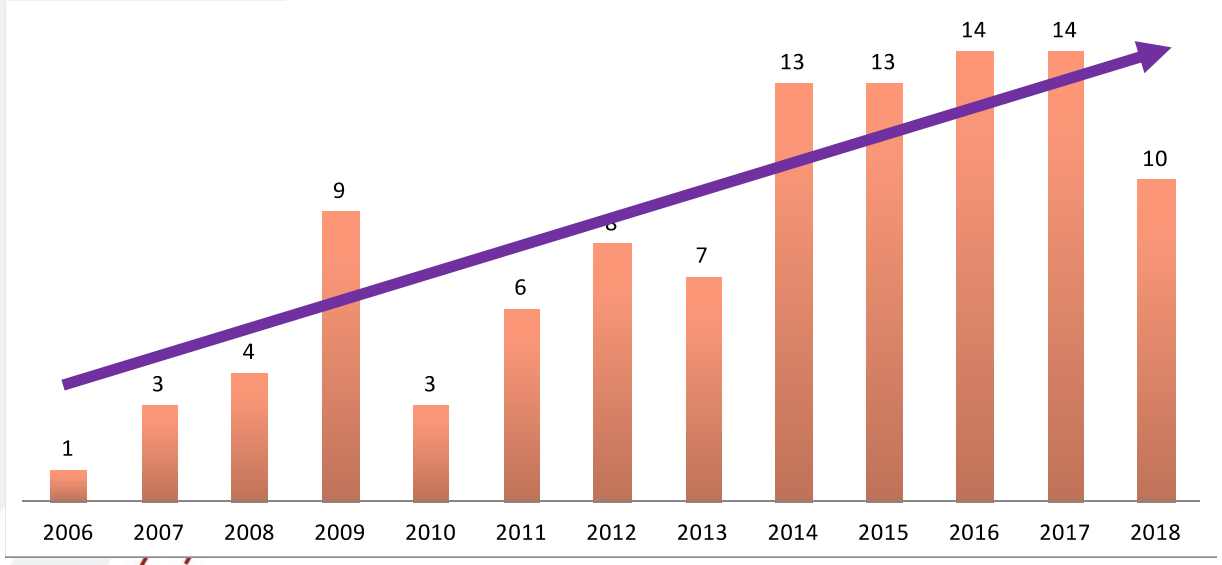
40% personas reciben como mínimo un diagnóstico erróneo

Conocimiento medico y científico solo del **30%**

El impacto es positivo frente al estímulo de la UE para fomentar inversión de la industria al desarrollar de tratamientos para EERR

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

Número de medicamentos huérfanos con autorización de comercialización en la UE



*Source : Informe EMA-COMP monthly report July 2018
http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Committee_meeting_report/2018/07/WC500252716.pdf
Informes Periódicos de Orphanet, Serie Medicamentos Huérfanos.July 2018
https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf

Un cambio regulatorio para minimizar retos

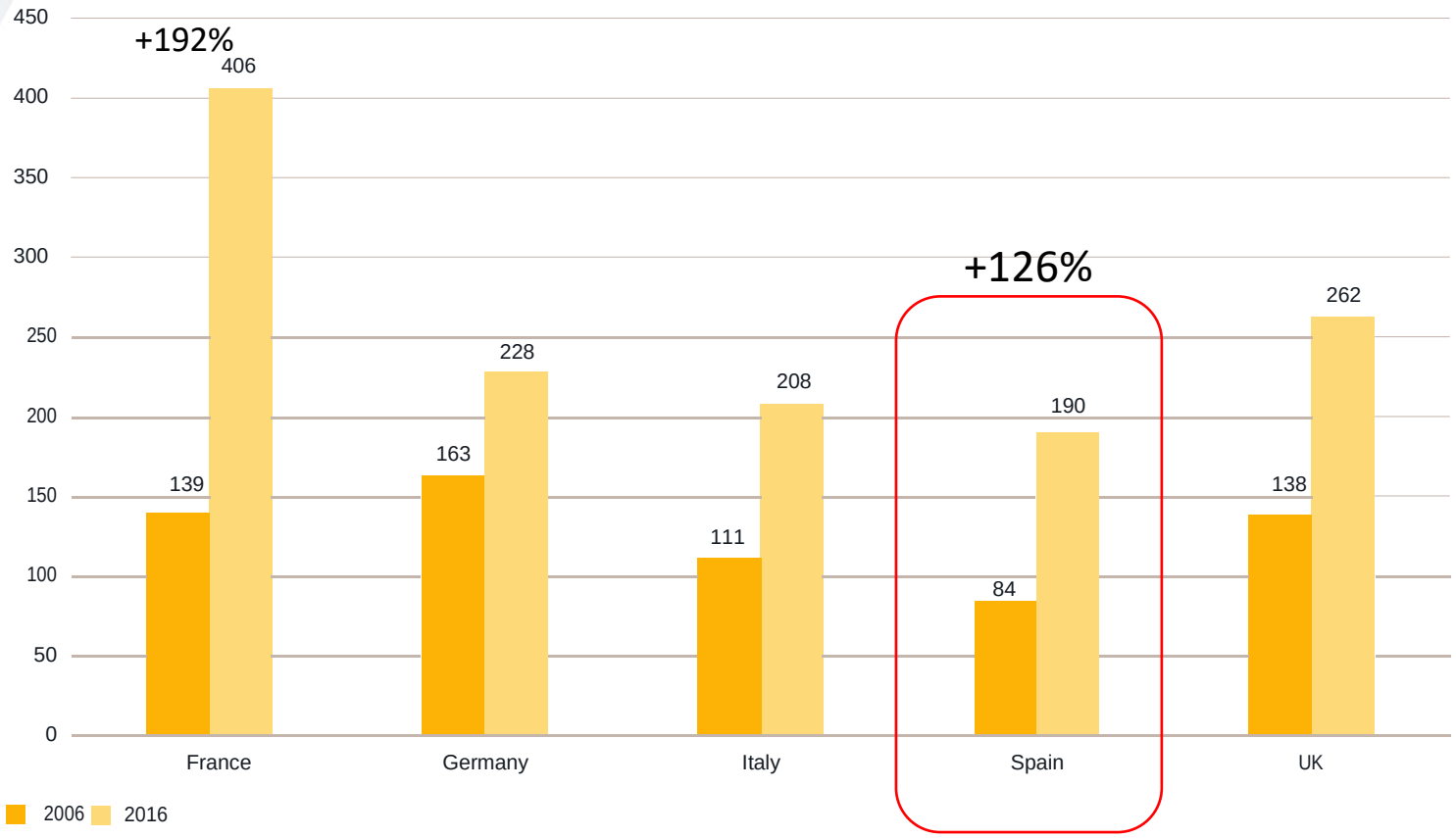
UNION EUROPEA

Reglamento 141/2000 sobre MMHH:

- **Designación centralizada** de medicamento huérfano
- **Reducciones de tasas** y otros incentivos
- Exclusividad en el mercado: **10 años**
- Creación del "Committee for Orphan Medicinal Products" (COMP)

EU es la región que presenta un mayor incremento en EECC para EERR (104% del 2006 a 2016), siendo España el 2º país en crecimiento.

FIGURE 7 New clinical trials on rare diseases in the EU-5 countries, 2006 v. 2016



Source: *Clinicaltrials.gov*, 2018; analysis: Pugatch Consilium

¿Porqué entonces AELMHU?

- Somos una Asociación de empresas farmacéuticas **expertas en enfermedades raras o poco frecuentes** (EERR) .
  - mayoritariamente **biotecnológicas** y en términos de infraestructura muchas relativamente pequeñas.
- Comprometidos en invertir y desarrollar medicamentos innovadores:
  - Generamos **empleo de alto valor y cualificación**, con 800 empleos directos
  - Invertimos más del 20% del beneficio neto en I+D
- Sin animo de lucro

Trabajamos en la búsqueda continua de medicamentos indicados para los **pacientes sin alternativa terapéutica**

1. Informe ASEBIO 2018
2. Datos internos AELMHU

AELMHU, ¿a donde?

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

2010

un grupo de laboratorios de MMHH se unen

para presentar propuestas de mejora al Senado ante las dificultades de diagnóstico y acceso a los tratamientos para las EERR.

2011

se constituye AELMHU

como Asociación con el fin de defender la necesidad social de hacer visibles les características especiales de las EERR y los beneficios de los MMHH.

2019

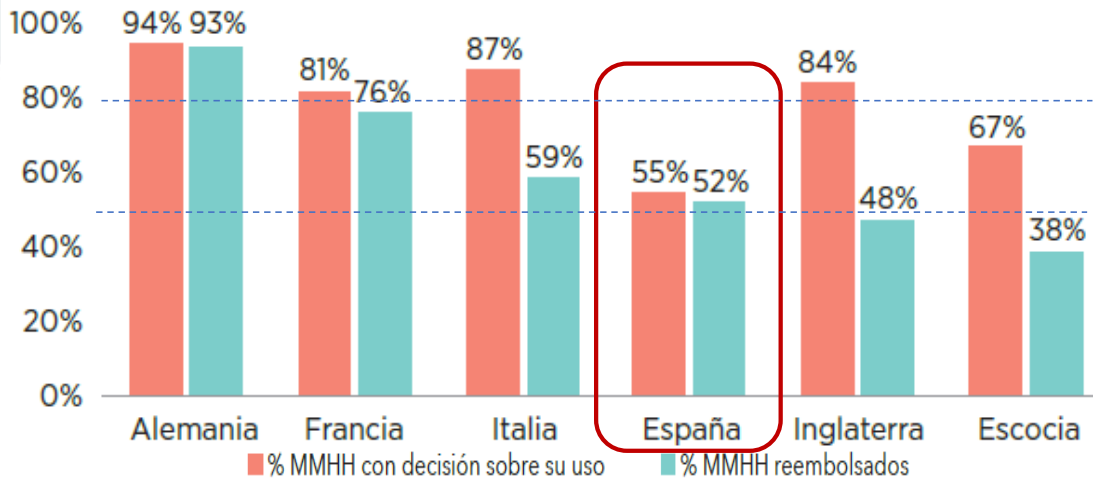
inicio de un nuevo impulso

con el establecimiento de prioridades concretas en **acceso y valor de los MMHH** y la voluntad de trabajar como **partner** de organismos públicos y entidades involucradas en EERR.

Acceso a MMHH desigual en Europa

Autorización de comercialización

- Nivel de acceso a los MMHH en 6 países europeos



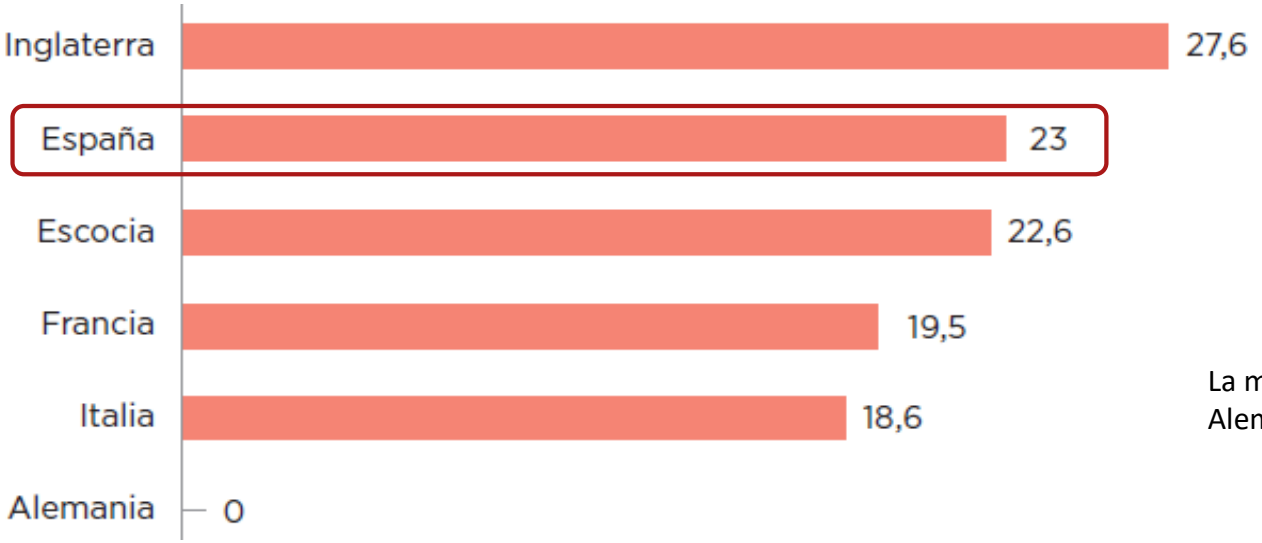
- En **España:**
  - "solo reciben autorización (CN) **el 55% del total de MMHH disponibles**, siendo el país **más bajo** entre los países analizados".
  - **"el nivel de acceso es inferior** al que alcanzan los pacientes alemanes, franceses e italianos, pero superior al de los pacientes del Reino Unido"

(Datos del estudio realizado por "Office of Health Economics" a 31 Mayo 2016)

Fuente: Zamora, B, Maignen, F, O'Neill, P, Mestre-Ferrandiz & garau, M. Comparing Access to Orphan Medicinal Products (OMPs) in the United Kingdom and other European countries. OHE Consulting Report. (2017).

Acceso a MMHH desigual en Europa

Tiempo (meses) hasta el reembolso (Datos del estudio realizado por “Office of Health Economics” a 31 Mayo 2016)



La media europea, excluyendo Alemania es de 20 meses.

“España en posición *intermedia* con una estimación de **23 meses, frente a los 19 meses en Francia o Italia”**

Los resultados en España pueden interpretarse como que un retraso de 2 años es el máximo aceptable en circunstancias normales [3].

Fuente: Zamora, B, Maignen, F, O’Neill, P, Mestre-Ferrandiz & garau, M. Comparing Access to Orphan Medicinal Products (OMPs) in the United Kingdom and other European countries. OHE Consulting Report. (2017).

. Articulo de Prensa publicado en Gaceta Sanitaria con datos a 31 de diciembre de 2017 http://www.gacetasanitaria.org/es-analisis-evolucion-el-acceso-los-avance-S0213911119300810

En España se comercializan solo el 54% de los medicamentos huérfanos autorizados en Europa

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

151
MMHH con designación huérfana por la EMA[1]

108
MMHH con autorización de comercialización (AC) en UE[2]

97
MMHH autorizados en España (CN)[3]

58
MMHH comercializados en España[3]

Datos AELMHU a Septiembre 2019

El tiempo entre CN y comercialización empeora. No obstante en 2019 se han comercializado mas MMHH que en 2018

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

	2018		2019 (enero-sept)
Numero de MMHH	8 MMHH comercializados		10 MMHH comercializados
Mediana	12,5 meses Mediana	+3,5 meses +28%	16 meses Mediana
Media	11,9 meses Media	+3,8 meses +32%	15,7 meses Media

Datos AELMHU a Septiembre 2019

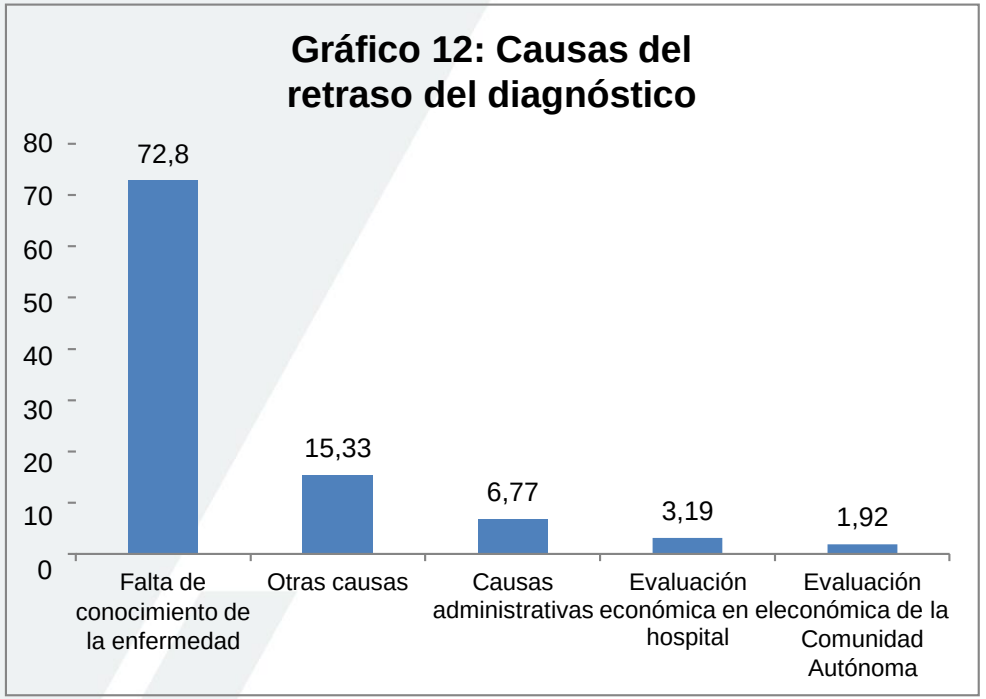
Acceso a MMHH en España

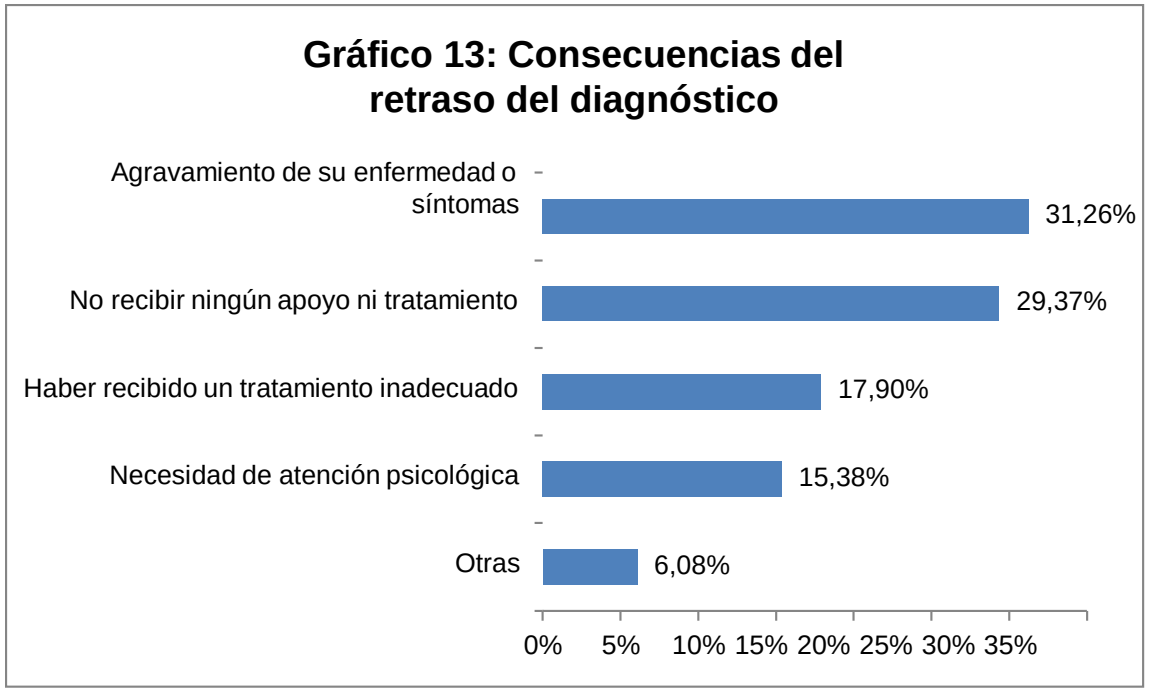
Inequidad en el acceso a nivel autonómico

- Reevaluaciones de los medicamentos:
  - Existen **8 Agencias** de Evaluación de Tecnologías Sanitarias en varias CCAA y diversos comités hospitalarios que **reevalúan** el fármaco.
- A menudo se establecen criterios de acceso distintos.
- Los pacientes sufren desigualdades de acceso:
  - El **20,24%** de los pacientes han tenido que **desplazarse** fuera de su Comunidad para acceder aun **tratamiento**.
  - De entre ellas, **el 54,85%, cinco veces** o más en los dos últimos años.
  - Además, el **7,1%** de la muestra total declara que **no ha podido desplazarse**, aunque sí que lo ha necesitado.

Fuente: Estudio sobre situación de necesidades sociosanitarias de las personas con EERR en España. Estudio Enserio datos 2016-2017

Causas y consecuencias del retraso diagnóstico y el tratamiento lo que conlleva a inequidad





- 50% de los pacientes con EERR sufren retraso en el diagnostico
- 18,08% el retraso esta entre los 4 y 9 años
- 18,65% > 10 años

Fuente: Estudio Enserio III
*Una persona puede estar situada en más de una categoría de respuesta

Para ello desde AELMHU proponemos

Nacional:

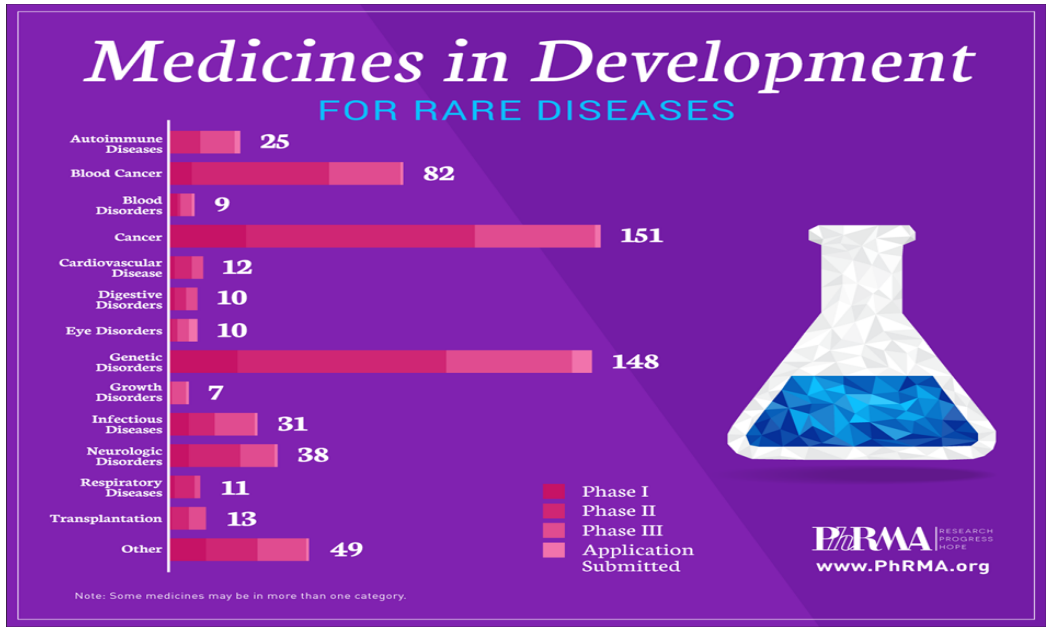
- Acelerar el **proceso de financiación** de los fármacos para EERR a través de un sistema **transparente**, que contemple los parámetros y las particularidades de las **EERR**

CCAA:

- **Minimizar los tiempos de las evaluaciones adicionales**, para reducir los tiempos de acceso efectivo a los medicamentos

Para terminar, un mensaje de optimismo…

Interés creciente de la industria en el desarrollo de fármacos para enfermedades raras…..



Informe PhRMA's publicado en Mayo 2016 "Medicines in Development for Rare Diseases"

+ de 600 moléculas en desarrollo…que hacen pensar que el objetivo de la CCEE de 200 fármacos aprobados en 2020 sea posible..

International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)

AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

GRACIAS

comunicacion@aelmhu.es

www.aelmhu.es

@aelmhu

Linkedin.com/company/aelmhu