Fundació Doctor Robert
UAB

Garantizando el acceso a MMHH, terapias avanzadas y productos sanitarios necesarios en ER

Juan Manuel Fontanet Sacristán
Responsable Científico Plataforma de ER de la Fundación Doctor Robert – UAB
Consejo Asesor Tratamientos Farmacológicos de Alta Complejidad CatSalut (Generalitat de Cataluña)

Contenido de la presentación

1. Designación y autorización de medicamentos huérfanos en la Unión Europea: ¿Qué hemos conseguido desde el 2000?
2. Dificultades y estrategias para el acceso a medicamentos huérfanos
3. La experiencia del Comité de Tratamientos de Alta Complejidad del Servicio Catalán de Salud

El paradigma de la rareza

	Enfermedades raras o minoritarias (prevalencia <5/10.000)	Enfermedades comunes o convencionales (prevalencia >5/10.000)
Voz pacientes	Motor cambio / imprescindible	Complementaria
Invisibilidad social	Alta y frecuente	Menos frecuente
Nº Condiciones	Hasta 7000	~ 30.000
Desconocimiento	Alto / Muy alto	Variable
Gravedad / Cronicidad	Siempre	Variable
Complejidad / Incerteza	Siempre alta	Variable
Guías / Protocolos	Ausentes o limitados	Frecuentes
Disponibilidad tratamientos	Ninguno o limitado (56)	> 10.000
Tamaño mercado	Pequeño (24.000 pacientes / ES) (250.000 / UE)	Grande
Interés en investigación	Alto	Alto
Interés sector industrial	Bajo retorno económico	Alto retorno
Ensayo clínico	Difícil ↓ nº pacientes	Fácil ↑ nº pacientes
Uso compasivo	Necesario ↑↑↑	Variable ↑↑↑
Prioridad en Salud Pública	Estrategia Nacional 2009	Áreas prioritarias

Más de 10 años de camino recorrido, y de "*unir esfuerzos frente a las enfermedades raras*", entre afectados, profesionales, industria y administraciones

SITUACIÓN DE LAS E.R. ANTES DEL AÑO 2000 EN LA U.E.

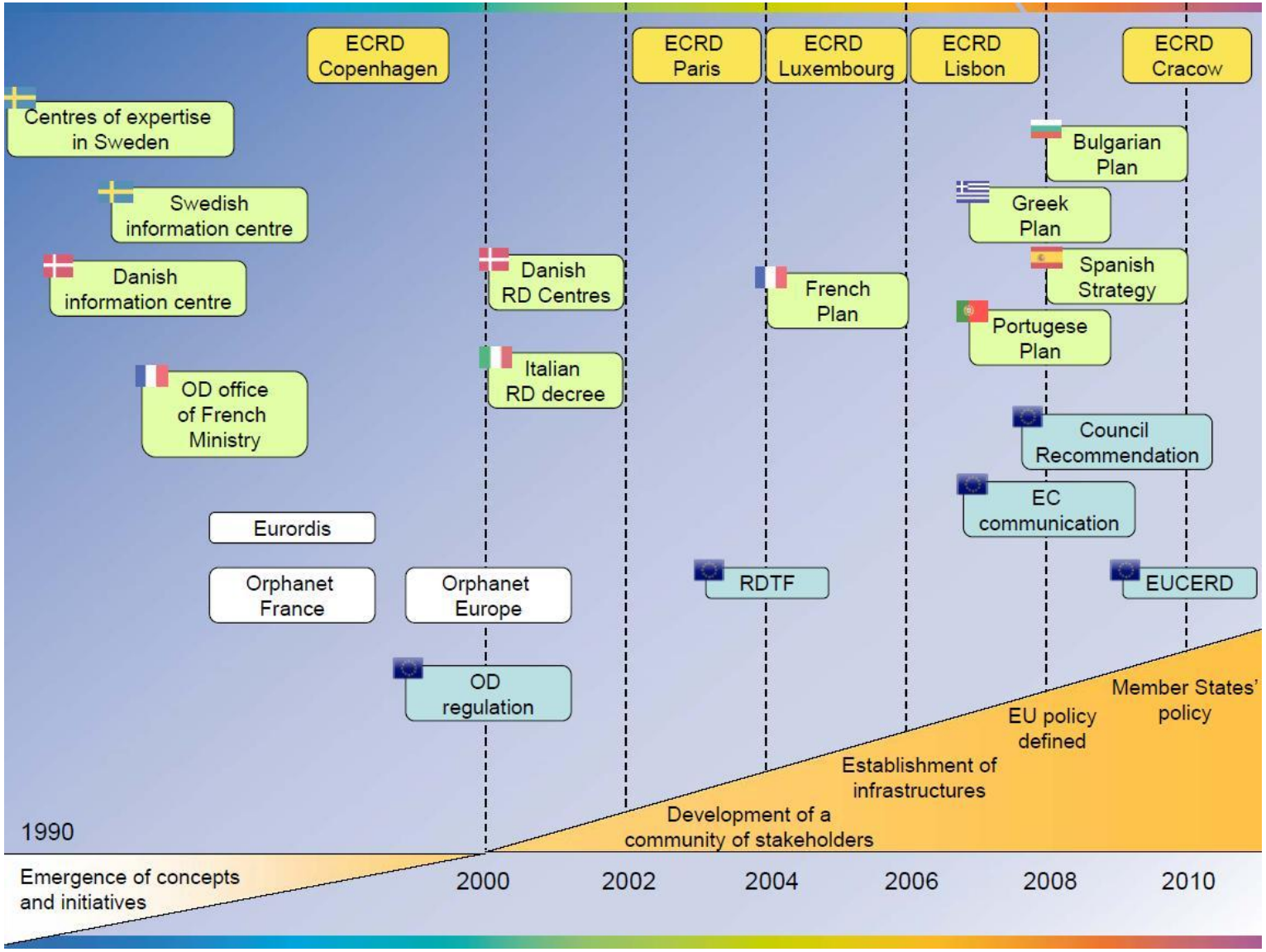
- Invisibilidad y exclusión social
- Desconocimiento de muchas E.R.
- No prioridad en investigación
- Falta de interés de las farmacéuticas
- No prioridad en salud pública ni en los sistemas de salud
- No reconocimiento de los profesionales
- Pacientes “sin voz”
- Falta de compromiso político, institucional y social

EL PUNTO DE INFLEXIÓN EN LA U.E.

- **Reglamento medicamentos huérfanos nº 141/2000**
- **Programa Salud Pública de E.R. Comisión Europea, 2000**

→ 2000 →

PROGRAMA MARCO



Las ER precisan de coordinación políticas comunitarias, nacionales y autonómicas

493 M Habitantes

27 Países

23 Lenguas oficiales

44 Autoridades nacionales de medicamentos

EMA, Londres

Comisión Europea, Bruselas

AEMPS / DGFyPS
Ministerio Sanidad
y Política Social

27 M de afectados, 7.000 E.R.

Europa: Designación y autorización huérfanos. EMA
Programas marco I+D, EUCERD

España: El precio y reembolso a cargo del SNS por Ministerio de Sanidad
Coordinación estrategia nacional ER

Autonomías: planificación asistencia ER y financiación de las intervenciones terapéuticas

Comité de Medicamentos Huérfanos (COMP)
Creado en abril de 2000 (EMA)

- ✓ **33 Miembros**
  - ✓ **27 representantes de los paises de la Unión Europea**
  - ✓ **3 representantes de asociaciones de pacientes**
  - ✓ **3 miembros propuestos por la EMA para coordinarse con el CHMP**
- ✓ **Grupos de trabajo y red de expertos**
- ✓ **Sede: Agencia Europea del Medicamento (EMA; Londres)**

Papel del Comité de Medicamentos Huérfanos

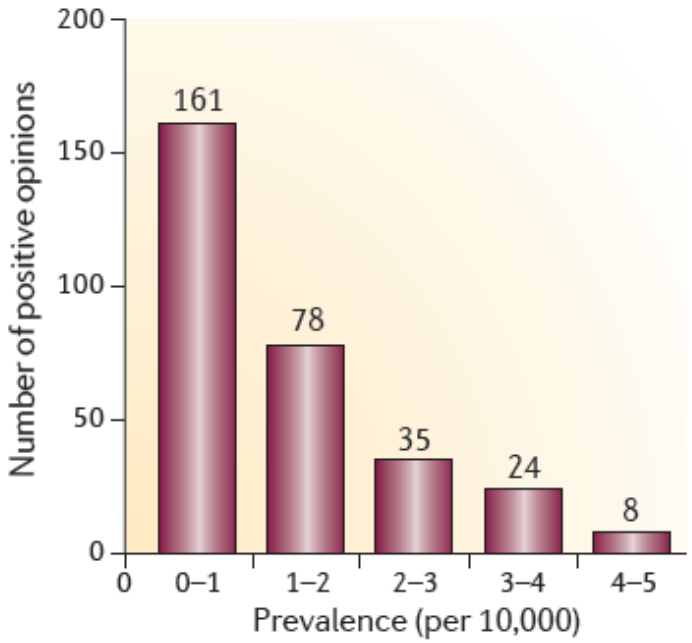
- ✓ Evaluar las solicitudes de designación y supervisar el mantenimiento del estatus de “HUÉRFANO”
- ✓ Assessorar en el desarrollo de políticas y actuaciones comunitarias en este ámbito
- ✓ Cooperar en las relaciones internacionales y con las partes interesadas
- ✓ Preparar guías i recomendaciones

Designación europea Medicamentos huérfanos (2000-2010)

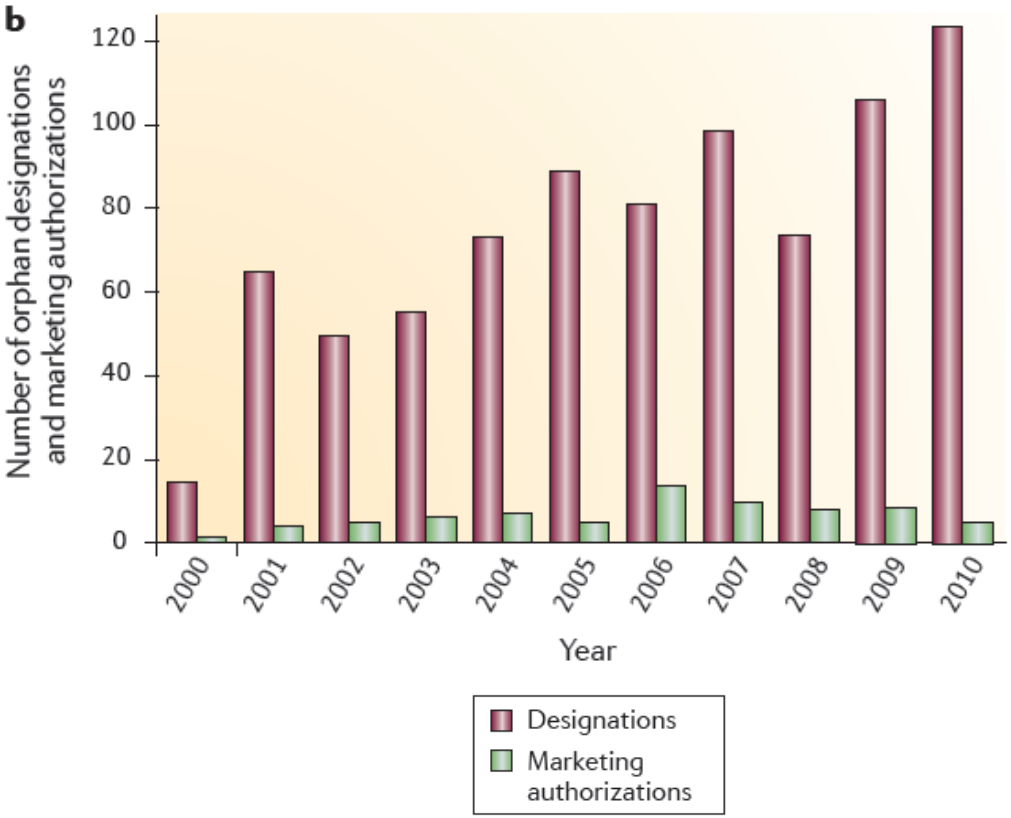
- Regulación medicamentos huérfanos ⇒ Estimula investigación de fármacos para enfermedades minoritarias mediante incentivos
- Comité Medicamentos Huérfanos EMA (COMP) ⇒ Designa fármacos huérfanos y facilita su investigación y desarrollo

	2000	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009	2010	Total
Number of applications submitted for orphan drug designation	72	83	80	87	108	118	104	126	119	164	174	1,235
Number of positive opinions issued by the COMP	26	64	43	54	75	88	81	97	86	113	123	850
Number of decisions made by the EC	14	64	49	55	72	88	80	98	73	106	130	829
Number of final negative opinions issued by the COMP	0	1	3	1	4	0	2	1	1	2	2	17
Number of withdrawals	6	27	30	41	22	30	20	19	31	23	48	297

Designación europea Medicamentos huérfanos (2000-2010)



>300 ER



Committee for Orphan Medicinal Products and the European Medicines. European regulation on orphan medicinal products: 10 years of experience and future perspectives. Nat Rev Drug Discov. 2011 May;10(5):341-9.

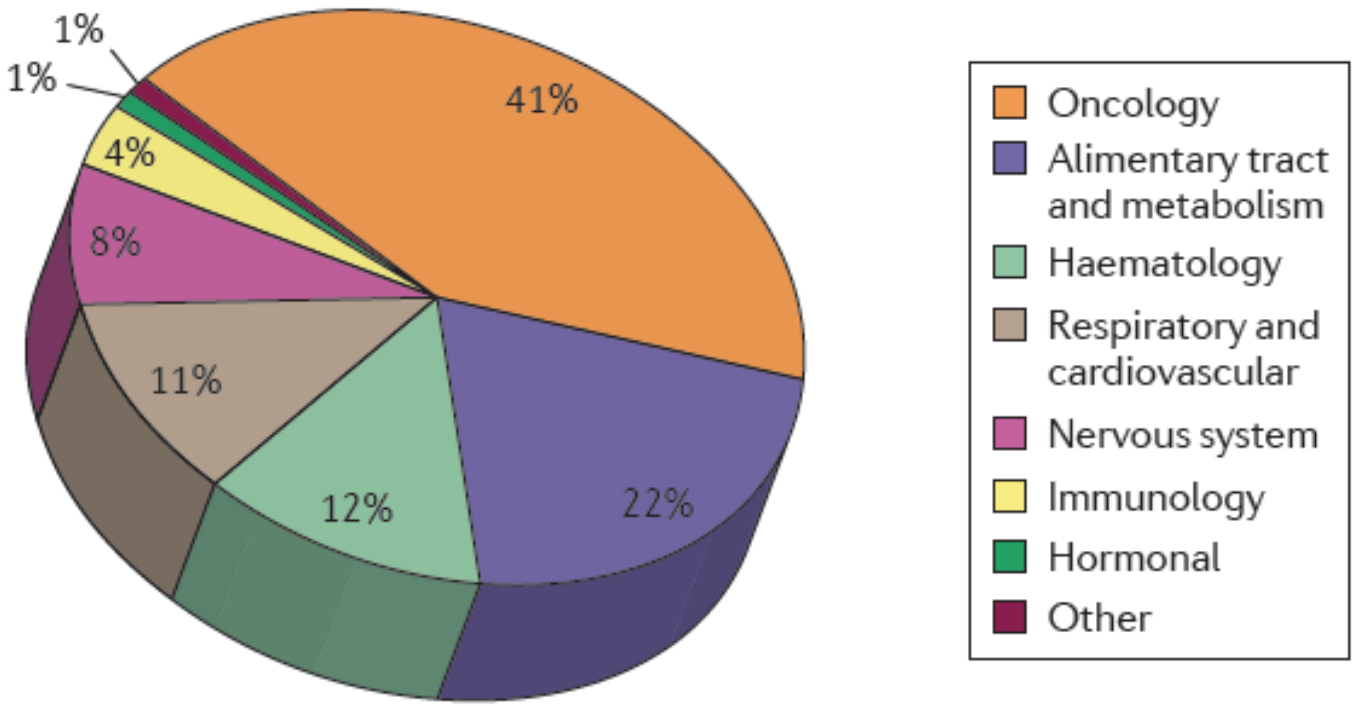
Medicamentos Huérfanos designados en la UE Abril 2000 – Agosto 2010

COMP/EMA

10% **48%** **42%**

Medicamentos Huérfanos designados distribuidos por tipo de población (total: 803)

Medicamentos huérfanos autorizados para su comercialización (2000-2010)



n=63

Committee for Orphan Medicinal Products and the European Medicines. European regulation on orphan medicinal products: 10 years of experience and future perspectives. Nat Rev Drug Discov. 2011 May;10(5):341-9.

Medicamentos huérfanos autorizados para su comercialización (2000-2010)

A- SISTEMA DIGESTIVO Y METABOLISMO
ALDURAZYME
CARBAGLU
CYSTADANE
ELAPRASE
FABRAZYME
KUVAN
MYOZYME
NAGLAZYME
ORFADIN
REPLAGAL
VPRIV
WILZIN
ZAVESCA
B- SANGRE Y ÓRGANOS HEMATOPOYÉTICOS
NPLATE
REVOLADE
VENTAVIS

C- SISTEMA CARDIOVASCULAR
FIRAZYR
PEDEA
TRACLEER
VOLIBRIS
G- SISTEMA GENITOURINARIO Y HORMONAS SEXUALES
REVATIO
H- PREPARACIONES SISTÉMICAS HORMONALES, EXCLUYENDO LAS HORMONAS SEXUALES Y LAS INSULINAS
INCRELEX
SOMAVERT
J- ANTIINFECCIOSOS EN GENERAL PARA USO SISTÉMICO
CAYSTON

L- ANTINEOPLÁSICOS Y AGENTES INMUNOMODULADORES
AFINITOR
ARZERRA
ATRIANCE
BUSILVEX
CEPLENE
ESBRIET
EVOLTRA
GLIOLAN
GLIVEC
ILARIS
LITAK
LYSODREN
MEPACT
MOZOBIL
NEXAVAR
ONSENAL
PHOTOBARR
REVLIMID
RILONACEPT REGENERON (ex-ARCALYST)

SIKLOS
SOLIRIS
SPRYCEL
TASIGNA
TEPADINA
THALIDOMIDE CELGENE
TORISEL
TRISENOX
VIDAZA
XAGRID
YONDELIS
N- SISTEMA NERVIOSO
DIACOMIT
FIRDAPSE (ex-ZENAS)
INOVELON
PEYONA (ex-NYMUSA)
PRIALT
V- DIVERSO
EXJADE
SAVENE

Contenido de la presentación

1. Designación y autorización de medicamentos huérfanos en la Unión Europea: ¿Qué hemos conseguido desde el 2000?
2. Dificultades y estrategias para el acceso a medicamentos huérfanos
3. La experiencia del Comité de Tratamientos de Alta Complejidad del Servicio Catalán de Salud

Acceso a medicamentos huérfanos

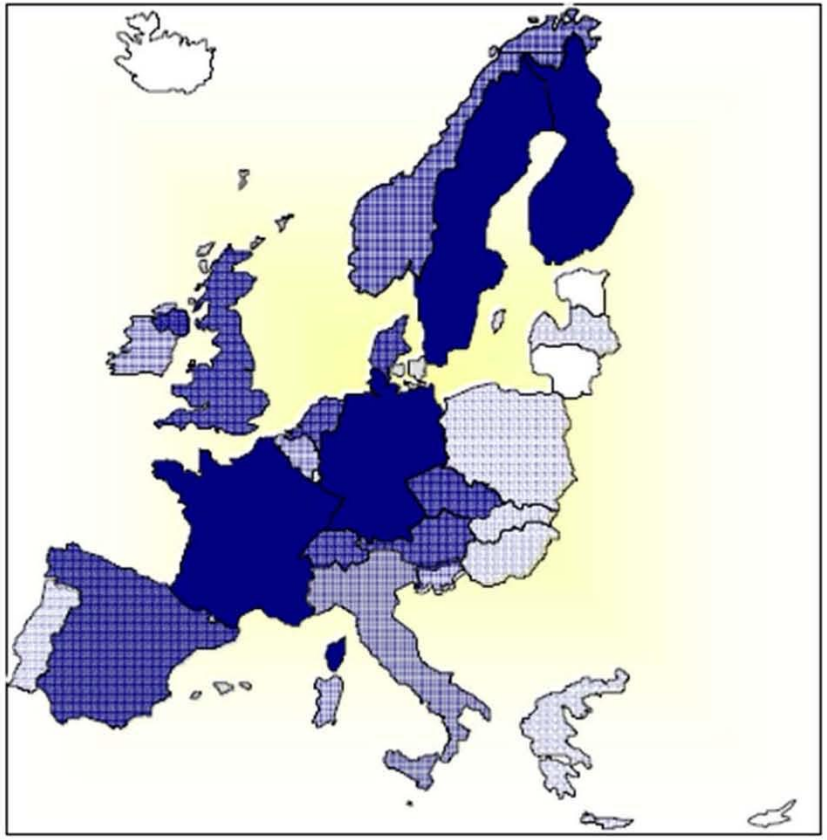
- Gran aumento en el desarrollo, investigación y autorización comunitaria de medicamentos huérfanos

Pero…

- Continua existiendo un desigual nivel de acceso territorial a los medicamentos huérfanos comercializados

Available OMPs by country: the current situation

Number of available OMPs



- 20-21
- 15-19
- 10-14
- 5-9
- 0-5

EURORDIS Rare Diseases Europe

Barreras en el acceso a los medicamentos huérfanos

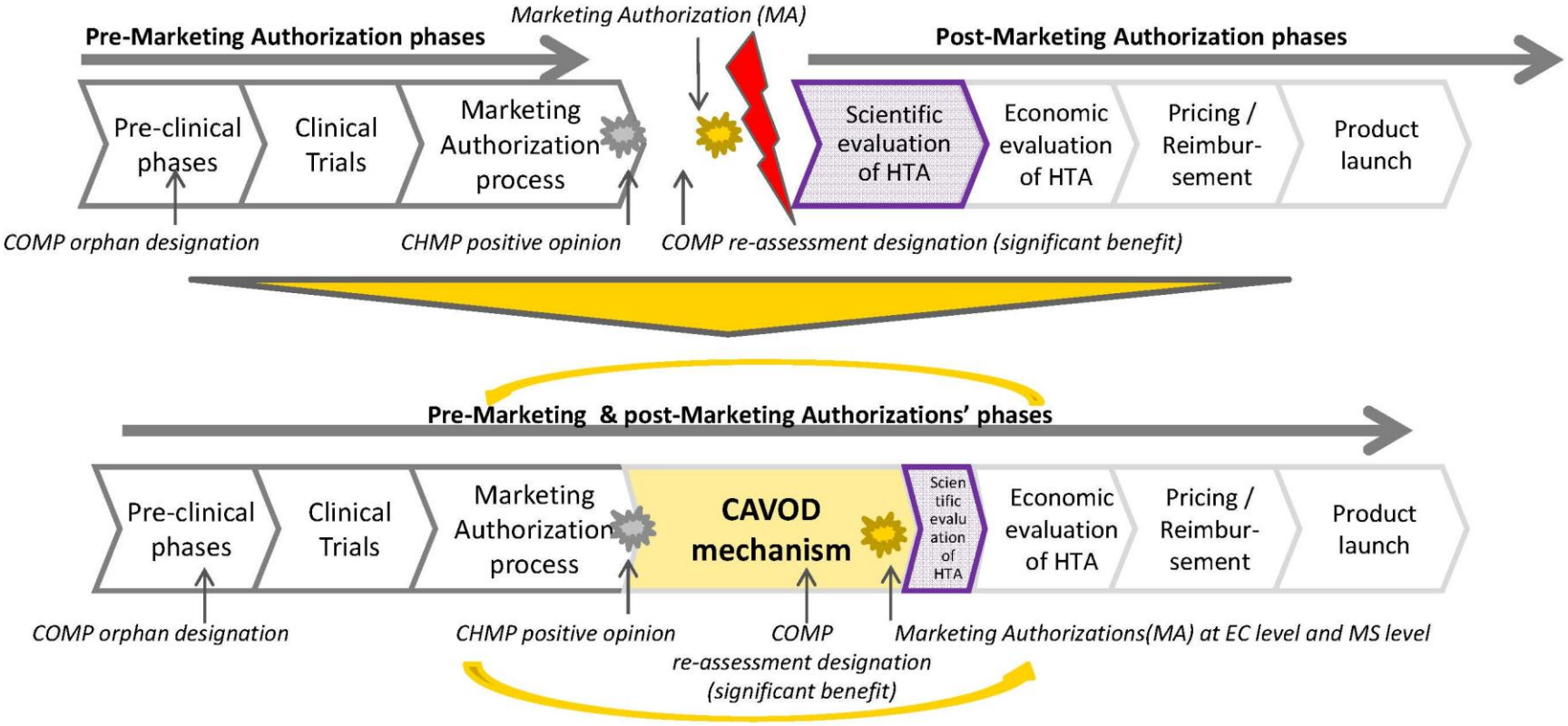
- Evaluación del valor añadido de los medicamentos difícil y muy fragmentado entre los países
- Precio y reembolso (alto precio, incierto número de pacientes, extensión de indicaciones…)
- Falta de conocimiento específico por parte de profesionales sanitarios por la baja prevalencia de las condiciones

Propuestas de mejora

- Establecer dialogo previo entre empresas farmacéuticas y entidades de pago y reembolso
- Intercambio de conocimiento en la evaluación científica del valor añadido de los medicamentos huérfanos (CAVOD)
- Favorecer precio condicional y prácticas de riesgo compartido
- Creación de centros de expertos

Scope and basic principles of the CAVOD process

- The CAVOD mechanism will **contribute to make a bridge and develop a continuum between pre-market authorization practices** (clinical development) **at EU level and post-marketing authorizations practices at member state level**:



- The CAVOD mechanism should also help to **bridge the gap between regulators and HTA bodies**

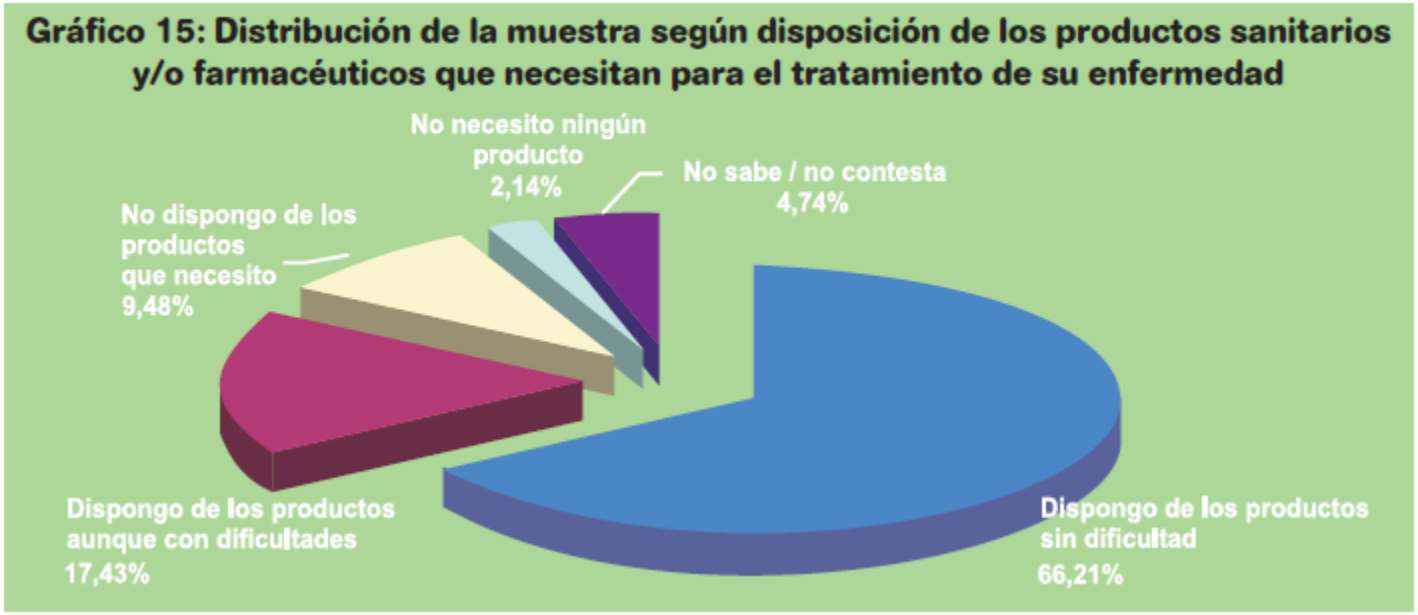
© 2010 Property of Ernst & Young Advisory – Confidential, in compliance with the principles stated in the "Disclaimers".
This presentation, reserved for your internal use, is indissociable from the contextual elements used as a basis for its elaboration and from the spoken comments accompanying it.

E.R. ESPAÑA (algunos hitos relevantes)

1. FEDER (1999)
2. Instituto de Investigación en Enfermedades Raras (2003)
3. Centro Estatal de Atención a Enfermedades Raras y sus familias (Burgos, 2007).
4. Ponencia del Senado (2007)
5. Decreto de centros de referencia (2007)
6. Financiación proyectos investigación clínica independientes de la industria (2007)
7. Redes de investigación CIBERER (2007)
8. Estrategia Nacional de Enfermedades Raras (2009)
9. Reunión FEDER-EUROPLAN (Burgos, 2010)

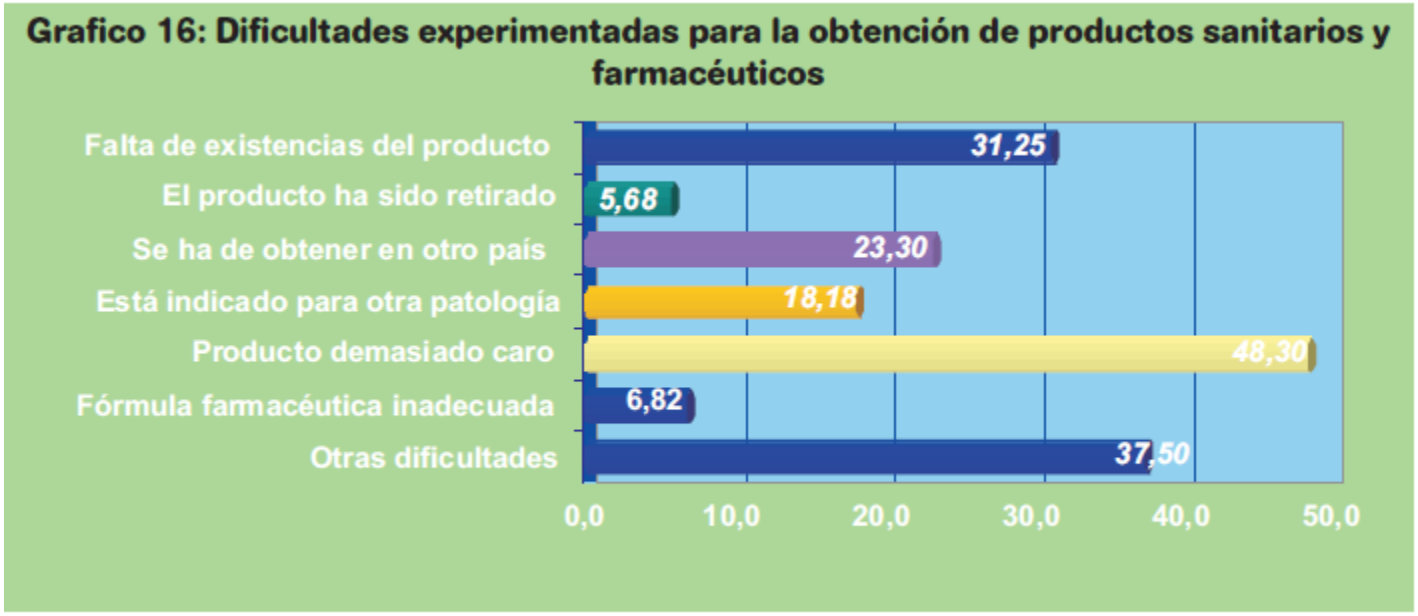
Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Nivel de acceso a medicamentos huérfanos y productos sanitarios



Fuente: Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España. Estudio Enserio. FEDER

Dificultades de acceso



** Una persona puede estar situada en más de una categoría de respuesta.*

Fuente: Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España. Estudio Enserio. FEDER

Cobertura S.N.S.

Fuente: Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España. Estudio Enserio. FEDER

Estrategia Nacional en Enfermedades Raras (2009)

- Objetivo:
  - Garantizar la accesibilidad en tiempo y forma de los medicamentos huérfanos necesarios para el tratamiento de las enfermedades raras en todo el territorio nacional.
- Recomendaciones:
  - Promover mecanismos de colaboración económica solidaria entre Comunidades Autónomas, coordinados desde el Consejo Interterritorial, para mejorar la provisión y el acceso a medicamentos huérfanos de forma equitativa en el Sistema Nacional de Salud.
  - Evitar las desigualdades en cuanto a la disponibilidad de los medicamentos huérfanos en los diferentes centros y servicios sanitarios.
  - Optimizar los plazos en el procedimiento de fijación del precio de los medicamentos huérfanos que hayan obtenido autorización de comercialización.
  - Fomentar el uso y difusión de registros de medicamentos huérfanos y fármacos en vías de investigación, así como de datos de eficacia y posibles efectos secundarios de los tratamientos, con el fin de mejorar el conocimiento por parte de profesionales y personas afectadas por ER.
  - Fomentar el intercambio de información entre las distintas agencias europeas evaluadoras y del Sistema Nacional de Salud sobre el Valor Terapéutico Añadido (VTA)
  - Promover la realización de análisis de necesidades de productos sanitarios, materiales de curas y dispositivos médicos de utilidad en el tratamiento de las ER.

Contenido de la presentación

1. Designación y autorización de medicamentos huérfanos en la Unión Europea: ¿Qué hemos conseguido desde el 2000?
2. Dificultades y estrategias para el acceso a medicamentos huérfanos
3. La experiencia del Comité de Tratamientos de Alta Complejidad del Servicio Catalán de Salud

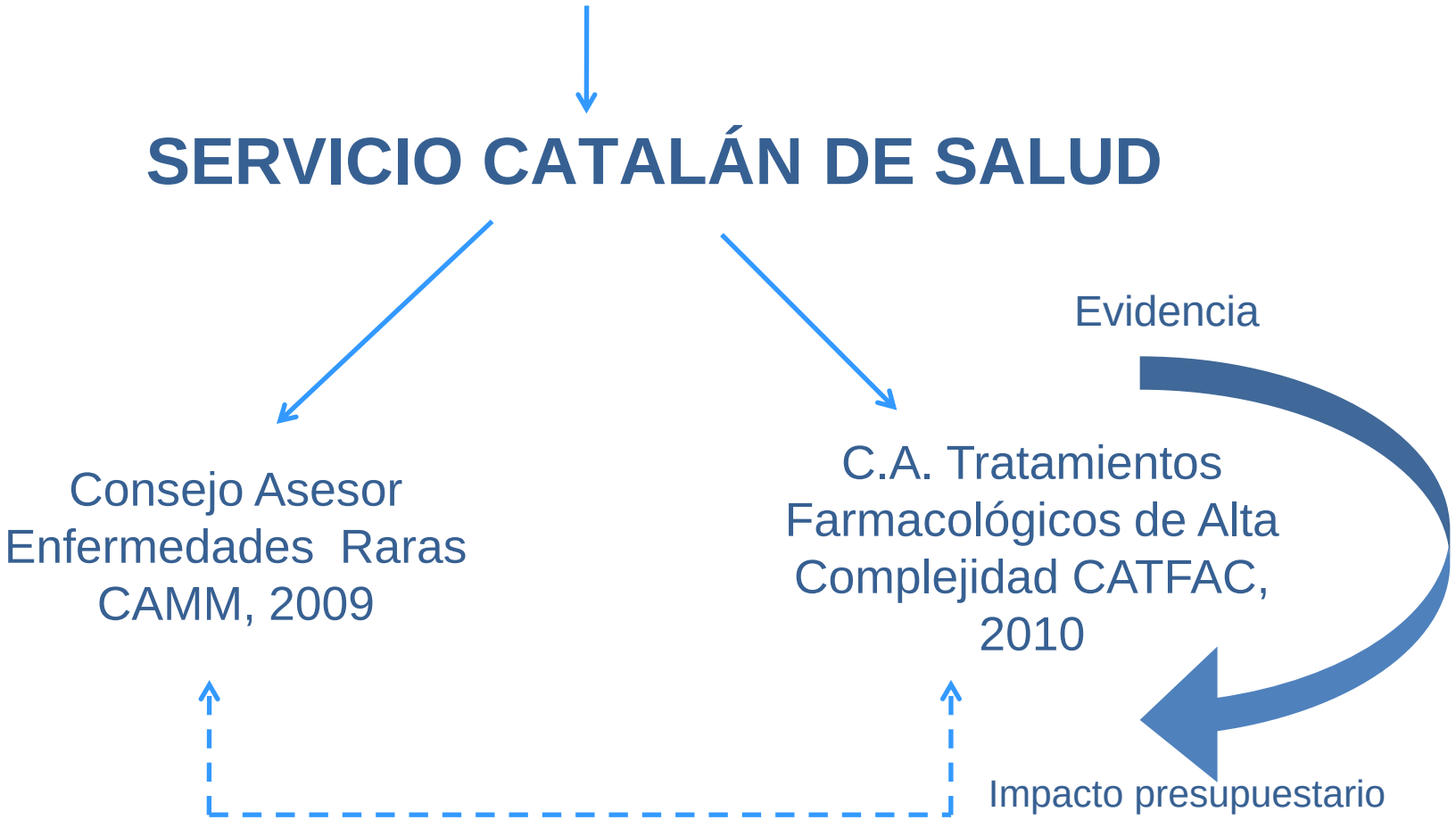
E.R. EN CATALUÑA

Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

1. **Resolución *Parlament de Catalunya* (julio, 2008)**
2. ***Manifest Parlament de Catalunya*, Día Mundial de Enfermedades Raras (28 de febrero, 2009)**
3. ***Federació Catalana de Malalties Poc Freqüents* (2008)**
4. **Programa Tratamientos Farmacológicos Alta Complejidad (2008)**
5. **Detección de necesidades y propuestas de acción: enfermedades raras – Cataluña (2006-2009) Fundació Doctor Robert – UAB; Proyectos financiados por el Departament de Salut**
6. **Campañas de concienciación, formación e información (La Marató TV3, 13 diciembre 2009)**
7. **Creación Comisión Asesora de Enfermedades Raras (CAMM, mayo 2009)**
8. **Creación Comisión Acceso a Terapias Complejas (CATFAC, febrero 2010)**

Estrategias autonómicas y medicamentos huérfanos

- **Equidad** en el acceso a los fármacos para el tratamiento de enfermedades minoritarias
- **Sostenibilidad** del sistema sanitario
- Mejorar resultados en **salud**
- No poner trabas a la **innovación**
- Creación de consejos asesores específicos para tratamientos de alta complejidad


CONSEJERIA DE SALUD
SERVICIO CATALÁN DE SALUD
Consejo Asesor Enfermedades Raras CAMM, 2009
C.A. Tratamientos Farmacológicos de Alta Complejidad CATFAC, 2010
Evidencia
Impacto presupuestario

¿Qué se considera un tratamiento de alta complejidad (TAC)?

- Terapias farmacológicas para enfermedades minoritarias.
- Fármacos autorizados por EMA : *“Conditional approval” o “Exceptional circumstaces”*
- Medicamentos de terapia avanzada: terapia génica, tisular etc.
- Otros tratamientos farmacológicos innovadores

Principales características TACs

- Constante aparición de tratamientos de alta complejidad, la mayoría huérfanos y el otros con aprobación condicionada o en circunstancias excepcionales por la EMEA.
- Escasa información sobre la efectividad y seguridad en condiciones de práctica clínica habitual ⇒ Mayor incertidumbre de resultados en salud
- Elevado coste x tratamiento y elevadas tasas de crecimiento anuales
- Pocos casos para cada enfermedad pero bastantes casos en global.
- Problemas de acceso y potenciales inequidades
- Gran repercusión y impacto social

↓

Favorecer Uso racional TAC

Fármacos huerfanos en Catalunya: situación año 2009

- Coste por Tratamiento medio **≈17.000€/paciente/año** (rango: 882€-340.000€)

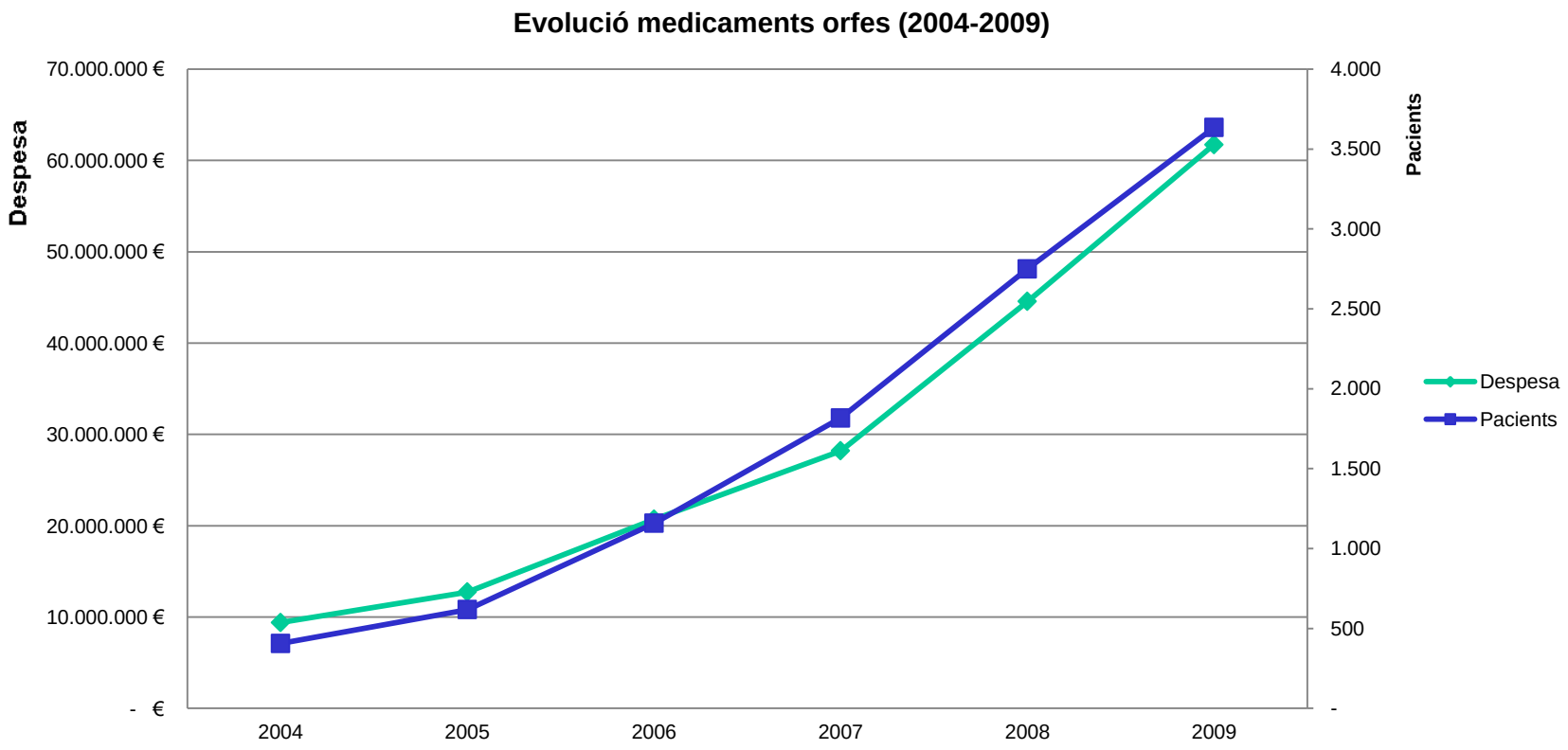
- Muy pocos enfermos por patología pero relevante al agrupar datos:
  - Año 2009: 35 fármacos dispensados (autorizados por la UE son 58)

    → 0,28 % receta médica

    8,80 % farmacia hospitalaria

- Importante tasa de crecimiento en el gasto → 40% aumento 2009 vs 2008

Fármacos huerfanos en Catalunya: evolución



Consejo Asesor Tratamientos Farmacológicos Alta Complejidad (CATFAC) BOPC 5567/10

DEPARTAMENT DE SALUT

ORDRE

SLT/55/2010, de 8 de febrer, per la qual es regula el Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat.

L'oferta farmacèutica es caracteritza per un elevat nivell d'innovació que comporta la constant aparició de nous medicaments que, en els darrers anys, són majoritàriament d'utilització en l'àmbit hospitalari.

Dins d'aquests nous medicaments, es troben els tractaments farmacològics d'alta complexitat que són fàrmacs preferentment d'utilització hospitalària i inclosos en algun dels següents supòsits: teràpies farmacològiques orfes, per diagnosticar, prevenir o tractar afeccions amb risc per a la vida o de caràcter molt greu, poc freqüents que afecten a no més de 5 persones de cada 10.000 persones a nivell de la Unió Europea, medicaments de teràpia avançada: medicaments de teràpia gènica, medicaments de teràpia cel·lular somàtica i teràpia tissular, incloent també la teràpia avançada per al tractament del càncer, aquells fàrmacs l'aprovació dels quals per part de la agència europea del medicament (EMEA) els adjudica la categoria de "Conditional approval" o "Exceptional circumstances" perquè manca informació sobre eficàcia i/o seguretat clínica del fàrmac, fàrmacs als quals, en relació amb la seguretat del medicament, el programa de gestió de riscos exigeixi la incorporació d'activitats addicionals (no rutinàries) de minimització de riscos, altres tractaments farmacològics innovadors quant a procediment d'obtenció i fabricació, noves indicacions terapèutiques per a malalties o condicions per a les quals no es disposava d'intervencions efectives, i altres.

La incorporació d'aquests medicaments a la pràctica clínica requereix implantar

Consejo Asesor Tratamientos Farmacológicos Alta Complejidad (CATFAC): Funciones

- **Asesorar** el Servei Català de la Salut en todos los aspectos relacionados con los TACs.
- Valorar les **solicitudes de autorización, renovación**, suspensión o finalización de los tratamientos farmacológicos de alta complejidad y emitir los correspondientes informes.
- Proponer y, en su caso, evaluar las medidas necesarias para hacer efectivo el **seguimiento de las personas pacientes que reciben TACs**; así como los resultados de salud.
- Proponer la elaboración de **registros** de datos clínicos y administrativos.
- Proponer **la elaboración de estudios concretos**, así como supervisar los que se lleven a cabo sobre TACs
- Política de transparencia con todos las agentes implicados, decisiones en la red y elaboración de una memoria anual.

Consejo Asesor Tratamientos Farmacológicos Alta Complejidad (CATFAC): Composición

- Composición: Presidencia y 8 vocales permanentes con formación en farmacia hospitalaria, farmacología clínica, pediatría, medicina interna y en gestión de prestación farmacéutica
- Participación de expertos clínicos, epidemiólogos, bioéticos, representantes de sociedades científicas y de **asociaciones de pacientes**
- Secretaria técnica a cargo del Servicio Catalán de Salud
- Grupos de trabajo por enfermedades relacionadas
- Procedimiento transparente
- Resultados en web Catsalut
- Autorización: individual, cohorte y excepcional

ESTADO DE SITUACIÓN

Principio activo	Indicación evaluada
Eculizumab	Hemoglobinúria Paroxismal Nocturna
Miglustat	Niemann-Pick tipus C
Azacitidina	Sd. mielodisplàsic
Idursulfasa	Sd. Hunter
Laronidasa	Sd. Hurler
Trabectedina	Sarcoma avanzado / Carcinoma ovario
Ambrisentan	HT pulmonar
Lapatinib	Cáncer mama metastásico
Galsulfasa	Mucopolisacaridosi VI
Amifampridina	Síndrome miasténico Lambert Eaton
Aztreonam	Fibrosis quística
Eltrombopag	Púrpura trombocitopénica idiopática
Romiplostin	Púrpura trombocitopénica idiopática
Everolimus	Carcinoma células renales
Pazopanib	Carcinoma células renales
Plerixafor	Movilización células hematopoyéticas
Tolvaptan	Síndrome secreción inadecuada hormona antidiurética

EN EVALUACIÓN

Principio activo	Indicación
Miglustat	Enfermedad de Gaucher tipo I
Imiglucerasa	Enfermedad de Gaucher tipo I
Velaglucerasa	Enfermedad de Gaucher tipo I
Alglucosidasa alfa	Enfermedad de Pompe
Condròcitos autòlogos	Lesiones cartílago
Ácido cólico	Errores síntesis ácidos biliares
Agalsidasa alfa y beta	Enfermedad de Fabry
Belimumab	Lupus eritematoso sistémico
Canakinumab y rilonacept	Síndromes asociados a criopirinas
Conestat alfa	Angioedema hereditario
Idebenona	Ataxia de Friedreich
Inhibidor C1	Angioedema hereditario
Pirfenidona	Fibrosis pulmonar idiopática

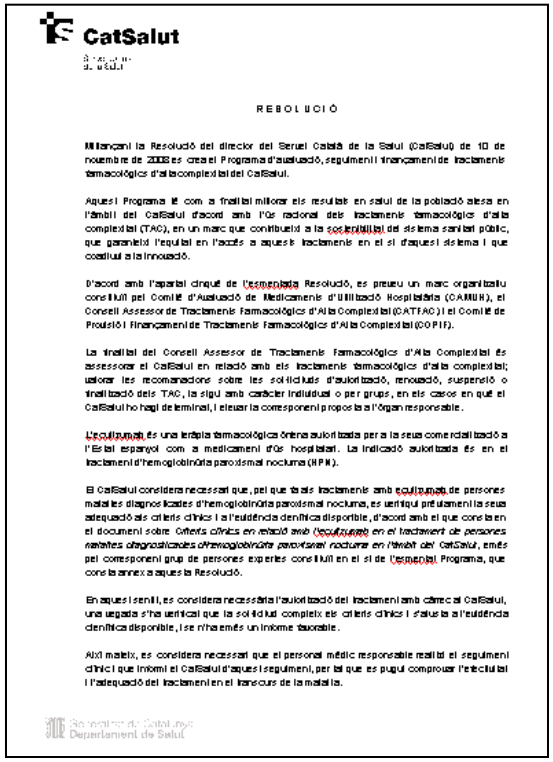
ECULIZUMAB

Eculizumab

Tratamiento hemoglobinúria paroxismal nocturna (HPN)

Resolución del Director del CatSalut (13/11/2008)

- ✓ Grupo de expertos (nov 2008)
- ✓ Autorizaciones individualizadas
- ✓ Criterios clínicos



CatSalut

RESOLUCIÓ

Millançant la Resolució del director del Servei Català de la Salut (CatSalut) de 10 de novembre de 2008 es crea el Programa d'avaluació, seguiment i finançament de tractaments farmacològics d'alta complexitat del CatSalut.

Aquest Programa té com a finalitat millorar els resultats en salut de la població atesa en l'àmbit del CatSalut d'acord amb l'ús racional dels tractaments farmacològics d'alta complexitat (TAC), en un marc que contribueixi a la sostenibilitat del sistema sanitari públic, que garanteixi l'equitat en l'accés a aquests tractaments en el si d'aquest sistema i que coadjuvi a la innovació.

D'acord amb l'apartat cinquè de l'esmentada Resolució, es preveu un marc organitzatiu constituït pel Comité d'Avaluació de Medicaments d'Utilització Hospitalària (CAMUH), el Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat (CATFAC) i el Comité de Provisió i Finançament de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat (COPIF).

La finalitat del Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat és assessorar el CatSalut en relació amb els tractaments farmacològics d'alta complexitat; valorar les recomanacions sobre les sol·licituds d'autorització, renovació, suspensió o finalització dels TAC, la sigui amb caràcter individual o per grups, en els casos en què el CatSalut ho hagi determinat, i elevar la corresponent proposta a l'òrgan responsable.

L'eculizumab és una teràpia farmacològica òrfena autoritzada per a la seva comercialització a l'Estat espanyol com a medicament d'ús hospitalari. La indicació autoritzada és en el tractament d'hemoglobinúria paroxismal nocturna (HPN).

El CatSalut considera necessari que, pel que fa als tractaments amb eculizumab de persones malaltes diagnosticades d'hemoglobinúria paroxismal nocturna, es verifiqui prèviament la seva adequació als criteris clínics i a l'evidència científica disponible, d'acord amb el que consta en el document sobre *Criteris clínics en relació amb l'eculizumab en el tractament de persones malaltes diagnosticades d'hemoglobinúria paroxismal nocturna en l'àmbit del CatSalut*, emès pel corresponent grup de persones expertes constituït en el si de l'esmentat Programa, que consta annex a aquesta Resolució.

En aquest sentit, es considera necessària l'autorització del tractament amb càrrec al CatSalut, una vegada s'ha verificat que la sol·licitud compleix els criteris clínics i s'ajusta a l'evidència científica disponible, i se n'ha emès un informe favorable.

Així mateix, es considera necessari que el personal mèdic responsable realitzi el seguiment clínic i que informi el CatSalut d'aquest seguiment, per tal que es pugui comprovar l'efectivitat i l'adequació del tractament en el transcurs de la malaltia.

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

ECULIZUMAB: Pacientes autorizados

	2008	2009	2010	Enero 2011	Mayo 2011
Paciente 1	Autorizado (nov)	Seguimiento	Seguimiento		Seguimiento
Paciente 2	Autorizado (nov)	Seguimiento	Seguimiento		Seguimiento
Paciente 3	Autorizado (nov)	Seguimiento	Seguimiento		Seguimiento
Paciente 4	Autorizado (nov)	Seguimiento	Seguimiento	Suspensión	
Paciente 5	Denegado	Autorizado (septiembre)	Seguimiento	Seguimiento	
Paciente 6	Autorizado	Seguimiento	Seguimiento		Seguimiento
Paciente 7	Denegado	-	-	-	-
Paciente 8	-	Autorizado	Seguimiento	Suspensión	
Paciente 9	-	Denegado	Autorizado	Seguimiento	Seguimiento
Paciente 10	-	Denegado	Denegado	Autorización excepcional (fase aguda)	Retirado (febrero)
Paciente 11	-	-	Autorizado	Suspensión	
Paciente 12	-	-	Denegado	-	-
Paciente 13	-	-	Denegado	Autorizado	Seguimiento
Paciente 14					Autorizado
Paciente 15					Autorizado
Paciente 16					Autorizado

En mayo de 2010:

- 10 pacientes autorizados
- 4 pacientes denegados
- 2 tratamientos suspendidos

Coste trat. pacient/año = 340.000€

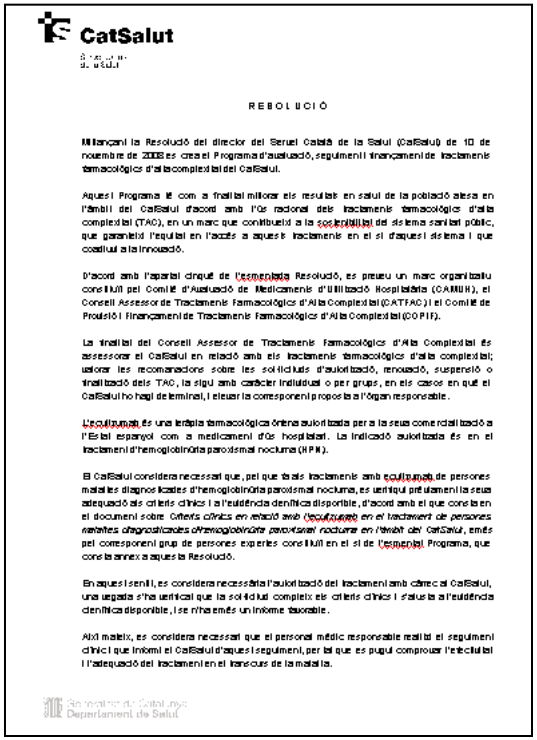
MIGLUSTAT

Miglustat

Tratamiento Niemann-Pick tipus C (NPC)

Resolución del Director del CatSalut (26/05/2009)

- ✓ Grupo de expertos (set 2009)
- ✓ Autorizaciones individualizadas
- ✓ Criterios clinicos



CatSalut

RESOLUCIÓ

Millorant la Resolució del director del Servei Català de la Salut (CatSalut) de 10 de novembre de 2008 es crea el Programa d'avaluació, seguiment i finançament de tractaments farmacològics d'alta complexitat del CatSalut.

Aquest Programa té com a finalitat millorar els resultats en salut de la població atesa en l'àmbit del CatSalut d'acord amb l'ús racional dels tractaments farmacològics d'alta complexitat (TAC), en un marc que contribueixi a la sostenibilitat del sistema sanitari públic, que garanteixi l'equitat en l'accés a aquests tractaments en el si d'aquest sistema i que coadjuvi a la innovació.

D'acord amb l'apartat cinquè de l'esmentada Resolució, es preveu un marc organitzatiu constituït pel Comité d'Avaluació de Medicaments d'Utilització Hospitalària (CAMUH), el Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat (CATFAC) i el Comité de Provisió i Finançament de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat (COPIF).

La finalitat del Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat és assessorar el CatSalut en relació amb els tractaments farmacològics d'alta complexitat; valorar les recomanacions sobre les sol·licituds d'autorització, renovació, suspensió o finalització dels TAC, tant amb caràcter individual o per grups, en els casos en que el CatSalut ho hagi determinat, i elevar-les corresponents propostes al òrgan responsable.

L'eculizumab és una teràpia farmacològica òrfana autoritzada per a la seva comercialització a l'Estat espanyol com a medicament d'ús hospitalari. La indicació autoritzada és en el tractament d'hemoglobinúria paroxísmal nocturna (HPN).

El CatSalut considera necessari que, pel que fa als tractaments amb eculizumab de persones malaltes diagnosticades d'hemoglobinúria paroxísmal nocturna, es verifiqui prèviament la seva adequació als criteris clínics i a l'evidència científica disponible, d'acord amb el que consta en el document sobre *Criteris clínics en relació amb l'eculizumab en el tractament de persones malaltes diagnosticades d'hemoglobinúria paroxísmal nocturna en l'àmbit del CatSalut*, emès pel corresponent grup de persones expertes constituït en el si de l'esmentat Programa, que consta annex a aquesta Resolució.

En aquest sentit, es considera necessària l'autorització del tractament amb càrrec al CatSalut, una vegada s'ha verificat que la sol·licitud compleix els criteris clínics i s'ajusta a l'evidència científica disponible, i se n'ha emès un informe favorable.

Així mateix, es considera necessari que el personal mèdic responsable realitzi el seguiment clínic i que informi el CatSalut d'aquest seguiment, per tal que es pugui comprovar l'efectivitat i l'adequació del tractament en el transcurs de la malaltia.

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

MIGLUSTAT: Pacientes autorizados

	2009	2010	Febrero 2011
Paciente 1	Autorizado	Revisado	Seguimiento
Paciente 2	Autorizado	Revisado	Seguimiento
Paciente 3*	-	Autorizado	Seguimiento
Paciente 4*	-	Autorizado	Seguimiento
Paciente 5*	-	Autorizado	Seguimiento
Paciente 6*	-	Autorizado	Seguimiento
Paciente 7		Autorizado	Seguimiento

* Pacientes en uso compasivo previo a la autorización

En febrero de 2011:

- 7 pacientes autorizados
- 0 pacientes denegados
- 0 tratamientos suspendidos

Coste trat paciente/año= 156.000€

GRUPO TRABAJO EN ENFERMEDADES LISOSOMALES

- Grupo expertos:
  - Carme Alerany
  - Cristina Espinosa
  - Rosa Morros
  - Jordi Pérez
  - Mercè Pineda
  - Alba Prat
  - Marta Roig
  - Mireia del Toro
  - **Asociación española de MPS y enfermedades relacionadas**

✓ Mayo 2010:
  - S. Hunter (idursulfasa)
  - S. Hurler (laronidasa)

✓ Segundo semestre 2010:
  - S. Maroteaux-Lamy (galsulfasa)
  - Miglustat (Niemann Pick tipo C)

Conclusiones

1. El desarrollo e innovación en medicamentos huérfanos ha experimentado un importante avance en los últimos 10 años.

2. No obstante, el nivel de acceso a los medicamentos y productos sanitarios continua siendo “el cuello de botella” para la utilización de estos fármacos.

    - Impulsar el diálogo entre todos los estamentos implicados para la evaluación conjunta a nivel europeo del valor añadido de los medicamentos huérfanos a través de la EMA y su relación con las autoridades nacionales.

    - La Estrategia Nacional y el comité de coste-efectividad de futura creación abren una nueva perspectiva para la evaluación de estos medicamentos.

    - Estrategias de creación y coordinación de consejos autonómicos de evaluación de tratamientos de alta complejidad favorecen la equidad y la uniformidad de acceso a los medicamentos huérfanos.

3. Las federaciones/asociaciones de pacientes ER son claves para impulsar y consolidar las políticas de equidad en el acceso a medicamentos huérfanos.

Fundació Doctor Robert
UAB

Muchas gracias

juanmanuel.fontanet@uab.cat