



Abril de 2010

## **POSICIONAMIENTO DE ASEBIO RESPECTO A LA ESTRATEGIA EN ENFERMEDADES RARAS DEL SISTEMA NACIONAL DE SALUD**

### **INTRODUCCION**

La Asociación Española de Empresas de Biotecnología (ASEBIO) valora de forma positiva la creación de la **Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud** ya que sienta las bases del proceso de avance y de mejora de las enfermedades poco frecuentes.

Asimismo, cabe destacar que esta Estrategia es sólo un punto de partida sobre el que se deben implementar las acciones necesarias en materia de salud y de atención socio-sanitaria por parte de las Comunidades Autónomas.

ASEBIO también aprecia que, con esta publicación, **España** se convierte en uno de los Estados Miembros **pioneros en desarrollar una Estrategia**, hecho que refleja la sensibilidad político-social que existe hacia los más de tres millones de españoles afectados por una Enfermedad Rara.

A pesar de esta valoración global positiva, consideramos que esta Estrategia es sólo un marco general de objetivos con **ciertas carencias y con medidas insuficientes** en relación a las necesidades existentes. Por ello, a continuación se encuentran enumeradas una serie de consideraciones y propuestas, surgidas desde el consenso de las empresas biofarmacéuticas agrupadas en ASEBIO, con el objetivo de que puedan ser tenidas en cuenta para la mejora del Documento de la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras.

### **1. NECESIDAD DE AUNAR ESFUERZOS. PAPEL DE LA INDUSTRIA BIOFARMACÉUTICA.**

La Estrategia representa un consenso entre el Ministerio de Sanidad y Política Social, el Ministerio de Ciencia e Innovación, las Comunidades Autónomas, las Asociaciones de Pacientes, las Sociedades Científicas y personas expertas. En este punto quisiéramos destacar el hecho de que creemos fundamental que la **industria biofarmacéutica** tenga un papel de participación y de colaboración en este contexto puesto que la industria es uno de los motores más **potentes en la investigación de tratamientos de estas enfermedades así como del desarrollo y la comercialización de medicamentos huérfanos.**

En este punto, cabe remarcar el importante papel que está teniendo la industria en la implantación de **registros de pacientes**, herramienta fundamental para conocer la epidemiología de las Enfermedades Raras dada la dispersión de la



Abril de 2010

información y el grado de desconocimiento de estas patologías. Esta actividad por parte de las empresas comercializadoras de fármacos huérfanos supone, por tanto, un claro ejemplo de la implicación y la voluntad de colaboración de la industria en el área de las enfermedades raras.

Como referencia, destacar que el Plan Nacional Francés para las Enfermedades Raras, en vigor desde hace 5 años, ya contempla en su documento la necesidad de colaboración con la industria biofarmacéutica para el desarrollo de medidas que mejoren la prevención, el diagnóstico y el tratamiento de los pacientes.

En resumen, ASEBIO considera que es necesario el trabajo, la colaboración y el compromiso de **todos los sectores implicados**, sin dejar ninguno de ellos al margen, para lograr una mejora de la calidad de vida de todas las personas afectadas por una Enfermedad Rara.

## 2. PRESUPUESTO

En el documento de la Estrategia se expone que, para la implementación de la misma, es necesaria la transferencia de fondos a las CC.AA. A pesar de esto, y a diferencia del Plan Nacional Francés para las Enfermedades Raras, no se describe una memoria económica de los recursos destinados para la puesta en marcha de cada uno de los objetivos establecidos en la Estrategia.

ASEBIO considera como una considerable carencia de la Estrategia la **falta de un presupuesto financiero** ya que esta iniciativa debe contar con la dotación económica y los recursos necesarios para poder desarrollar tanto su viabilidad como el desarrollo de todo su potencial.

Desde ASEBIO estimamos necesaria la existencia de una **financiación diferencial y específica** de las Enfermedades Raras y sus tratamientos. La identificación de un **presupuesto a nivel nacional** asociado a cada uno de los objetivos planteados o un **Fondo de Cohesión** específico para Enfermedades Raras es de vital importancia para garantizar la sostenibilidad de la Estrategia y la equidad de las personas afectadas, independientemente de la Comunidad Autónoma en la que residan.

En este contexto, una de las propuestas realizadas por el Grupo de Trabajo en Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de Europa, European Biopharmaceutical Enterprises (EBE), y EuropaBio, Asociación Europea de Bioempresas, realizada a los Estados Miembros para la implementación de los Planes Nacionales, ha sido añadir la **recomendación de un fondo centralizado a nivel nacional, y no regional, para la política de Enfermedades Raras y el reembolso de los medicamentos huérfanos.**

## 3. DESARROLLO DE LOS PLANES REGIONALES EN LAS CC.AA.

La Estrategia en Enfermedades Raras del S.N.S. recoge un conjunto de **recomendaciones para que cada CC.AA. implante su propio plan nacional**, como ya han hecho Andalucía (PAPER) y Extremadura (PIER). Según la



Abril de 2010

Estrategia, cada CC.AA. debe tomar el Documento como referente para implantar en mayor o menor grado aquellos elementos que sean consensuados como los de mayor eficacia e impacto.

En este punto, ASEBIO considera importante destacar la necesidad de establecer unos **requerimientos comunes que deben ser cubiertos en todas y cada una de las regiones** con el objetivo de **evitar desigualdades entre CC.AA.** y, por tanto, para garantizar la equidad en el acceso universal a una atención socio-sanitaria de manera justa y solidaria para todos los afectados.

Por otro lado, y siguiendo con lo comentado en el primer punto, ASEBIO cree de vital importancia la participación de todos los sectores, incluida la industria biofarmacéutica, en el desarrollo y la puesta en marcha de los planes regionales.

En ASEBIO estamos convencidos de que sólo desde la unión de los esfuerzos de todos los sectores, se puede lograr que la Estrategia se transforme en un conjunto de medidas concretas a nivel regional para los afectados que residen en cada una de las CC.AA. Por ello queremos destacar nuestra voluntad de participación y colaboración en el desarrollo de cada uno de los planes regionales de Enfermedades Raras.

#### **4. ACCESO AL MERCADO DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

Uno de los objetivos de la Estrategia es impulsar la investigación y el desarrollo de medicamentos huérfanos para el tratamiento de las personas afectadas por Enfermedades Raras, garantizando el acceso de los mismos en condiciones de equidad en todo el territorio.

En los últimos años han sido diversas las ayudas en términos económicos que el Gobierno ha dado para la investigación de tratamientos para estas enfermedades, sin embargo, la gran **barrera** que tienen estos medicamentos llega, sorprendentemente, cuando ya han sido evaluados y aprobados tanto a nivel europeo (EMA) como a nivel nacional (AEMPS).

Un paciente correctamente diagnosticado de una Enfermedad Rara que precisa un tratamiento farmacológico específico, puede sufrir dificultades para el acceso al mismo a pesar de estar autorizado.

Los medicamentos huérfanos suelen ser de dispensación hospitalaria y es muy habitual que se les someta a un proceso que requiere la autorización de la Comisión de Farmacia correspondiente al centro donde vaya a administrarse el mismo, aunque el fármaco ya ha sido evaluado previamente a nivel de calidad, seguridad y eficacia. Por tanto, se suelen instaurar nuevas **Comisiones fármaco-económicas de evaluación del fármaco a nivel hospitalario o regional que retrasan el acceso al mercado de estos fármacos**. En este contexto, cabe apuntar que la diferencia entre CC.AA. puede ser alarmante en algunos de los tratamientos.



Abril de 2010

La mayoría de las Enfermedades Raras son graves, incapacitantes o potencialmente mortales, y precisan desesperadamente avances en los tratamientos. Por ello, consideramos que existe una **paradoja entre las facilidades que se dan al destinar recursos económicos y humanos en la investigación de nuevos tratamientos y las dificultades a las que se ven sometidos cuando el acceso al mercado, después de tantos esfuerzos, no se ve garantizado.**

### **CONCLUSIONES**

La Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud ha creado un marco con una serie de recomendaciones o propuestas de acciones que las CC.AA. tendrán que desarrollar y hacer realidad.

Para ASEBIO es de vital importancia la creación de un presupuesto nacional, y no regional, como ya existe en otros países de la Unión Europea, facilitaría enormemente el acceso a los medicamentos huérfanos y, por tanto, la equidad para todos los afectados.

Desde ASEBIO creemos firmemente que es necesario una política activa implicando a todas las partes interesadas para continuar con los esfuerzos ya iniciados y así transformar los objetivos de la Estrategia en Planes Regionales reales que satisfagan las necesidades de todos los afectados por alguna Enfermedad Rara, en igualdad con el resto de ciudadanos.

### **PETICIONES**

Creemos fundamental y como Patronal de Empresas Biotecnológicas solicitamos:

- Que la **industria biofarmacéutica** tenga un papel de participación y de colaboración, al tratarse de uno de los actores que actúan como motor más **potentes en la investigación de tratamientos de estas enfermedades así como del desarrollo y la comercialización.**
- La creación de un **presupuesto específico**, centralizado a nivel nacional, para las Enfermedades Raras con el objetivo de asegurar la viabilidad y sostenibilidad de las acciones propuestas, con la finalidad de cumplir con las expectativas de los enfermos y sus familiares.
- **Establecer requerimientos comunes que deben ser cubiertos en todas y cada una de las regiones** con el objetivo de **evitar desigualdades entre CC.AA.** y, por tanto, garantizar la equidad en el acceso universal a una atención socio-sanitaria de manera justa y solidaria para todos los afectados.