

Más medicamentos huérfanos, pero más tiempo de espera



Pese a que ha crecido el número de medicamentos huérfanos comercializados, también se ha incrementado el tiempo de espera efectiva media y mediana. Sin embargo, las perspectivas son buenas para unos medicamentos que buscan encontrar tratamiento para enfermedades minoritarias y superminoritarias.

A finales de septiembre del 2019, la Agencia Europea del Medicamento (EMA) había autorizado la comercialización de un total de 108 medicamentos huérfanos. Sin embargo, de estos, tan solo un 54%, es decir, 58, se comercializaban en nuestro país. Estos datos, presentados por la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (Aelmhu), también señalan que el tiempo transcurrido desde la asignación de Código Nacional hasta la comercialización efectiva ha empeorado, en comparación con 2018, en 3,8 meses más (media) y 3,5 meses más (mediana). A pesar de ello, nos encontramos con cifras también positivas. Y es que, pese a este incremento de media y mediana, a finales de septiembre de 2019 se habían comercializado más medicamentos huérfanos que en todo el 2018. En total, 10 en los primeros meses del 2019 frente a 2018. Otro dato interesante es la importancia de los medicamentos huérfanos oncológicos. Mientras que en la Unión Europea el 29% de los medicamentos huérfanos autorizados eran para tratamientos oncológicos, en España el porcentaje de comercializados ascendía hasta el 38%. El tiempo que transcurre entre la obtención del Código Nacional y la comercialización es ligeramente superior para los medicamentos huérfanos no oncológicos, aunque no supone una variación significativa.

Por otra parte, la Aelmhu también indica que de los 97 medicamentos que cuentan con Código Nacional (CN) en nuestro

país, tan solo se comercializan 58. Esta cifra supone un 60% de los mismos.

Agilizar el acceso a los medicamentos huérfanos

Los medicamentos huérfanos están desarrollados específicamente para el tratamiento de alguna enfermedad rara o ultrarara (conocidas como huérfanas en la industria farmacéutica, pues suele haber menos interés en comercializar este tipo de productos). Para poder presentar una solicitud de designación de medicamento huérfano en la EMA, los medicamentos tienen que cumplir, principalmente, tres requisitos. El primero es que el uso previsto del medicamento tiene que ser el tratamiento, la prevención o el diagnóstico de una enfermedad potencialmente mortal o debilitante de manera crónica. Esta enfermedad, por su parte, tiene que afectar a más de 5 de cada 10.000 personas en la Unión Europea o tiene que ser improbable que la venta del medicamento sea suficiente para justificar la inversión necesaria para su desarrollo. Finalmente, tampoco puede existir otro método satisfactorio de diagnóstico, prevención o tratamiento de la enfermedad. Si existe, el beneficio que aporta el nuevo medicamento tiene que ser considerable.

Sea como fuere, desde la Aelmhu resaltan que lo importante es agilizar el acceso a este tipo de medicamentos. No obstante, en

Total de medicamentos huérfanos

151

**MMHH CON
DESIGNACIÓN
HUÉRFANA
POR LA EMA**

108

**MMHH CON
AUTORIZACIÓN DE
COMERCIALIZACIÓN
EN UE**

97

**MMHH AUTORIZADOS
EN ESPAÑA
CON CÓDIGO
NACIONAL**

58

**MMHH
COMERCIALIZADOS
EN ESPAÑA**



los últimos años se han producido importantes retrasos en la aprobación de comercialización de los medicamentos huérfanos. De hecho, mientras que en 2018 la mediana de tiempo para la comercialización de medicamentos huérfanos en nuestro país era de 12,5 meses, en 2019 ascendió hasta los 16 meses. En el caso de la media, esta también se ha visto incrementada, pasando de los 11,9 meses a los 15,7.

Por todo, la asociación considera que, pese a que se ha avanzado en algunos aspectos, todavía hay un largo camino que recorrer y solicita que haya equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento en las diferentes comunidades. Asimismo, también demanda un proceso claro y rápido que pueda reducir los plazos

para la finalización de los medicamentos, y consensos en las evaluaciones de estos medicamentos. Además, la Aelmhu propone desarrollar un plan que permita un acceso rápido y equitativo a los medicamentos huérfanos en España. A día de hoy, se calcula que tan solo el 5% de los pacientes que sufre alguna enfermedad rara cuenta con un tratamiento para su enfermedad. Por ello, es muy importante que estos pacientes que cuentan con un fármaco aprobado no vean que se retrasa el acceso al mismo. No hay que olvidar que, en muchas ocasiones, los pacientes han sufrido ya grandes retrasos en el diagnóstico de la enfermedad que padecen.

Mercado mundial

Según la consultora EvaluatePharma, la tendencia es que el mercado de medicamentos huérfanos siga creciendo en los próximos años. La mejora en los diagnósticos, una mayor duración de las patentes e incluso algunas ventajas fiscales hacen que, poco a poco, algunas farmacéuticas pongan el punto de mira en este mercado.

Así, si en 2010 las ventas de medicamentos huérfanos equivalían tan solo a 72 mil millones de dólares, se espera que para 2024 ascienda a un total de 242 mil millones. Para este año en curso, el informe espera que la facturación ascienda hasta los 150 mil millones. Como se ve, el crecimiento que se espera para este mercado es imparable, con incrementos del 10,4% hasta el 13,6% en los años venideros. La sangre, el sistema nervioso central y las vías respiratorias son las principales áreas terapéuticas de medicamentos huérfanos entre 2018 y 2024, y representan más del 50% del mercado de medicamentos huérfanos no oncológicos.

En 2018, Naglazyme (galsulfase) y Soliris (eculizumab) fueron los medicamentos que mayores ingresos lograron por paciente por

año. Por otra parte, en 2024, las tres empresas líderes por ventas en el mercado de medicamentos huérfanos oncológicos serán Celgene, Abbvie y Johnson & Johnson, y representarán aproximadamente el 30% de ventas mundiales en este segmento. Evaluate Pharma también predice que el medicamento huérfano más vendido en 2024 en todo el mundo será Imbruvica (ibrutinib).+

A simple vista

- En España obtienen Código Nacional el 64% de los MMHH autorizados por la EMA (97 de 151), y se comercializan el 60% de los MMHH que obtienen Código Nacional (58 de 97).
- Solo el 54% de los MMHH aprobados en la UE son comercializados en España.
- En la UE, el 29% de los MMHH autorizados son oncológicos.
- En España, el 38% de los MMHH comercializados son oncológicos.

Ventas de medicamentos huérfanos a nivel mundial

En miles de millones de dólares

	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024
Ventas MMHH	109	118	131	136	150	169	192	217	242
Crecimiento anual (%)	8,6	8,3	11,1	4,1	40,4	12,9	13,6	13	11,5
% de las ventas de MMHH sobre los medicamentos de prescripción	14,1	14,9	15,8	16	16,7	17,6	18,6	19,6	20,3

Fuente: EvaluatePharma Elaboración: IM Médico