PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Fundació Doctor Robert UAB

Sant Pau

Nit de la recerca

Josep Torrent-Farnell

Servicio de Farmacología Clínica, Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (Barcelona)

Universidad Autónoma de Barcelona(UAB)

Miembro Comité de Productos Medicinales Huérfanos (COMP) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA)

Prevalencia inferior a los 5 casos cada 10.000 habitantes

Más de 6.000-8.000 enfermedades raras identificadas (OMS)

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 (78)	> 10.000
Tamaño mercado	Pequeño (24.000 pacientes / ES) (250.000 / UE)	Grande
Interés sector industrial	Bajo retorno económico	Alto retorno
Ensayo clínico	Difícil ↓ nº pacientes	Fácil ↑ nº pacientes
Uso compasivo	Necesario ↑↑↑	Variable ↑↑↑

Población afectada per EERR

≈ 30 millones de afectados en Europa

≈ 3 millones de afectados en España

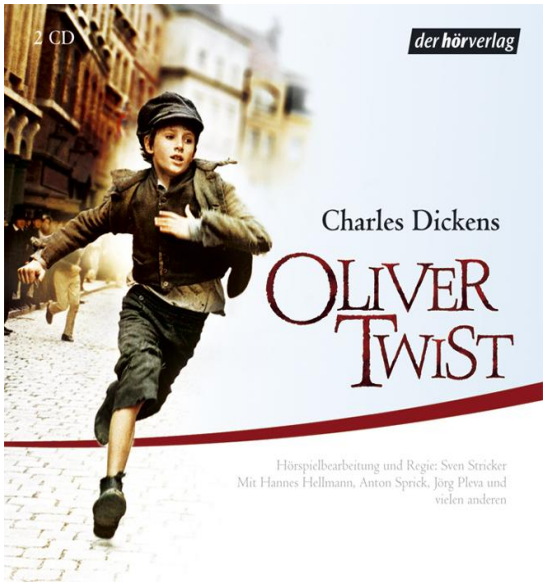
≈ 400.000 afectados a Cataluña

¿Qué es un medicamento huérfano?

- Medicamentos destinados a tratar cualquier enfermedad con una prevalencia inferior a los 5 casos cada 10.000 habitantes.

- Se incluyen vacunas, tratamientos curativos y preventivos y agentes diagnósticos.

- No se incluyen medidas dietéticas ni productos sanitarios.



REGLAMENTO EC No 141/2000

Las enfermedades raras antes del año 2000

Pacientes

Salud Pública

Profesionales sanitarios

Desarrollo en medicamentos antes del año 2000

Medicamentos convencionales

Medicamentos huérfanos

El desarrollo de medicamentos es un proceso complejo, largo y caro

Desarrollo medicamentos enfermedades prevalentes
Desarrollo medicamentos enfermedades raras
GOSINI

Dificultades añadidas en el desarrollo de medicamentos para EERR

¿Porqué existe un déficit de medicamentos huérfanos?

Menor interes en desarrollar fármacos para ER

La situación antes del año 2000 en EU

- Industria farmacéutica no desarrolla medicamentos para enfermedades raras bajo condiciones normales de mercado

PERO…

- Los pacientes afectados por “enfermedades raras” tienen derecho a recibir medicamentos **con la misma calidad** y con las mismas exigencias de eficacia y seguridad que el resto de los pacientes.

Comité de medicamentos huérfanos (COMP)

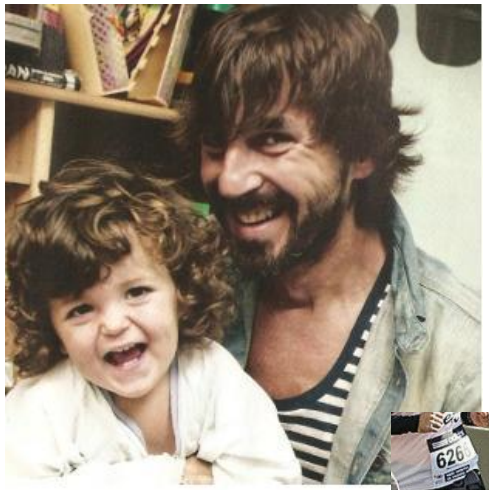
EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

- Designa medicamentos huérfanos ⇒ Proporciona incentivos y supervisa políticas de medicamentos huérfanos en la UE
- 35 miembros (3 de ellos representantes de pacientes)

Los medicamentos designados, ¿están ya disponibles para ser prescritos?

Hitos de la Regulación europea

- **> 1200** designaciones huérfanas: c:a 30% productos innovadores (fusion proteins, monoclonal antibodies, oligonucleotides)
- **>7%** terapias avanzadas (celular/génica/tisular)
- Tasa opiniones positivas ≈ 70 % ⇒ Gate opener

- **80 Medicamentos huérfanos comercializados**
  - **1 Medicamento huérfano de terapia avanzada comercializado**

Asociación pacientes: Concienciación y participación ciudadana