Malalties minoritàries, els medicaments orfes i les teràpies avançades

Josep Torrent-Farnell

Director General Fundació Doctor Robert - UAB

Membre Comitè de Productes Medicinals Orfes (COMP) de l'Agència Europea del Medicament (EMA)

Què és una malaltia minoritària?

- "Una malaltia minoritària és una malaltia que apareix poc freqüentment o rarament en la població" (= Enfermedad rara = Rare disease)

- Per a ser considerada com a minoritària, cada malaltia específica ha de presentar una **prevalença inferior als 5 casos cada 10.000 habitants** (EC Regulation on Orphan Medicinal Products)

Més de 6.000-8.000 malalties minoritàries identificades (OMS)

Població afectada per MM

≈ 30 milions d'afectats a Europa

≈ 3 milions d'afectats a Espanya

≈ 400.000 afectats a Catalunya

El paradigma de la raresa

- Malalties greus, complexes i cròniques
- Manca de guies clíniques
- Manca de tractaments i opcions terapèutiques pels malalts
- Requereixen d'abordatge multidisciplinari
- Sovint "invisibles" per la societat
- Paper fonamental de les associacions i federacions de malalts (FEDER, FCMPF, Eurordis)

Les malalties minoritàries abans de l'any 2000

Salut Pública

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert UAB

Les malalties minoritàries abans de l'any 2000

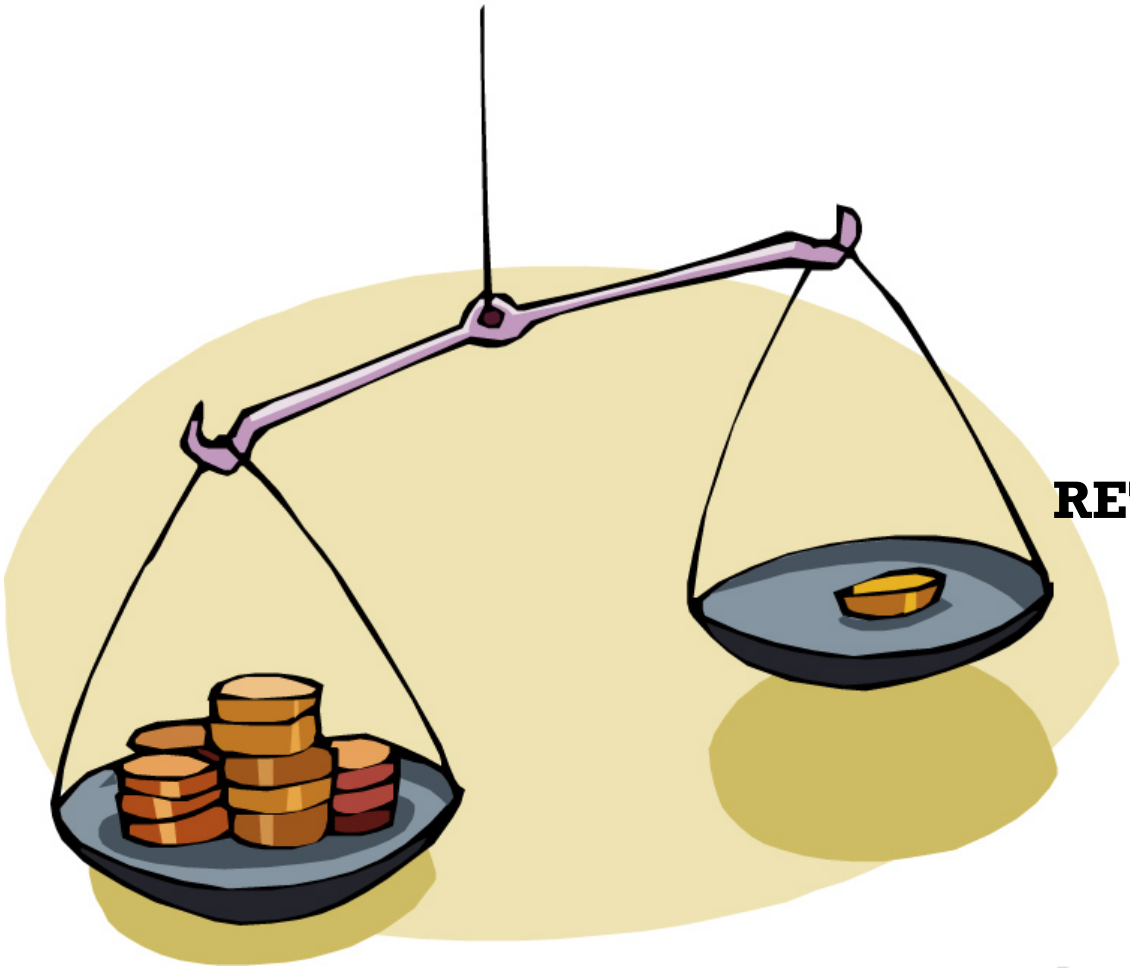
Medicaments convencionals

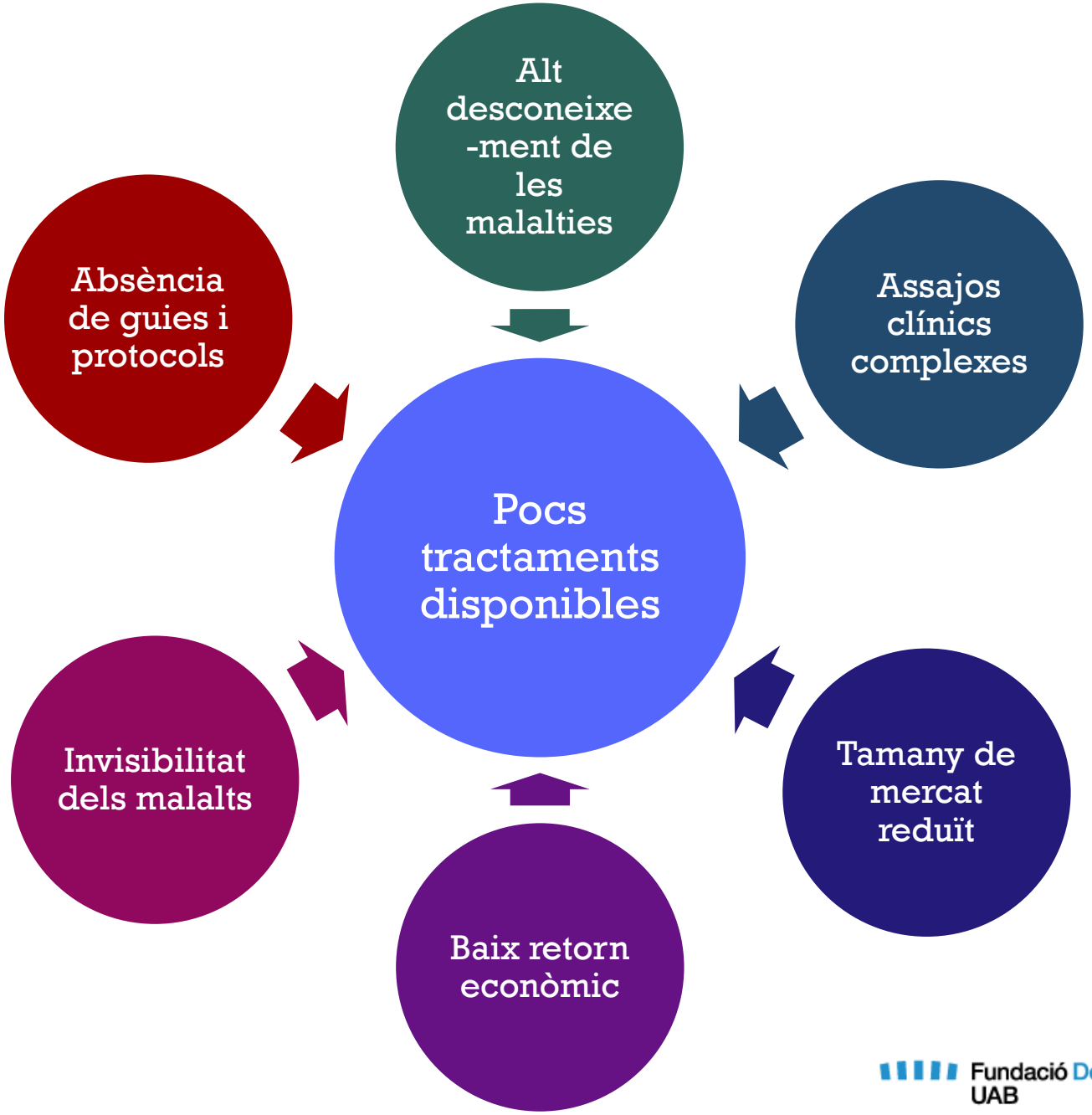
Medicaments orfes

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert UAB

Per què hi ha dèficit de medicaments orfes?





28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert UAB

Per què és necessari un reglament de medicaments orfes?

- Indústria farmacèutica no desenvolupa aquests medicaments sota les condicions normals del mercat.

PERÒ…

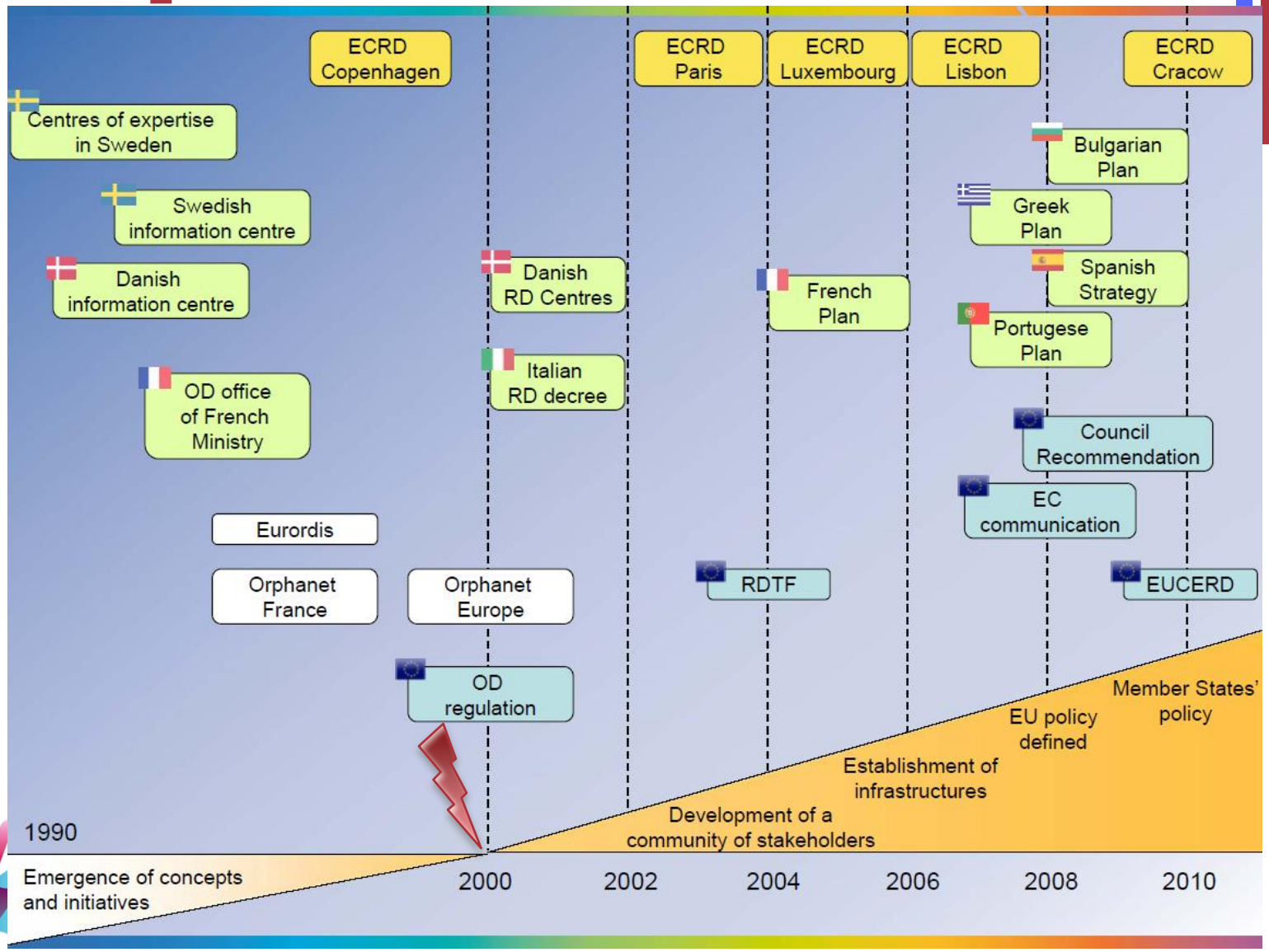
- Els pacients afectats per "malalties minoritàries" tenen dret a rebre medicaments amb la mateixa qualitat i amb les mateixes exigències d'eficàcia i seguretat que la resta dels pacients.

El punt d'inflexió a la U.E.

- Reglament medicaments orfes nº 141/2000
  - Criteris per la designació de medicaments orfes
  - Comitè de medicaments orfes (COMP)
  - Procediments
  - Incentius
- Programa Salut Pública de M.M. Comissió Europea, 2000

→ 2000 →

Polítiques sanitàries en MM



Qui vol ser orfe?

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert UAB

Els medicaments orfes

- Medicaments destinats a tractar qualsevol malaltia amb una prevalença inferior als 5 casos cada 10.000 habitants.

- S'inclouen vacunes, tractaments guaridors i preventius i agents diagnòstics.

- No s'inclouen mesures dietètiques ni productes sanitaris.

REGLAMENT EC No 141/2000

Objectius del comitè de medicaments orfes (COMP)

EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

- Designació de medicaments orfes ⇒ Proporciona incentius per estimular la investigació i desenvolupament de medicaments orfes

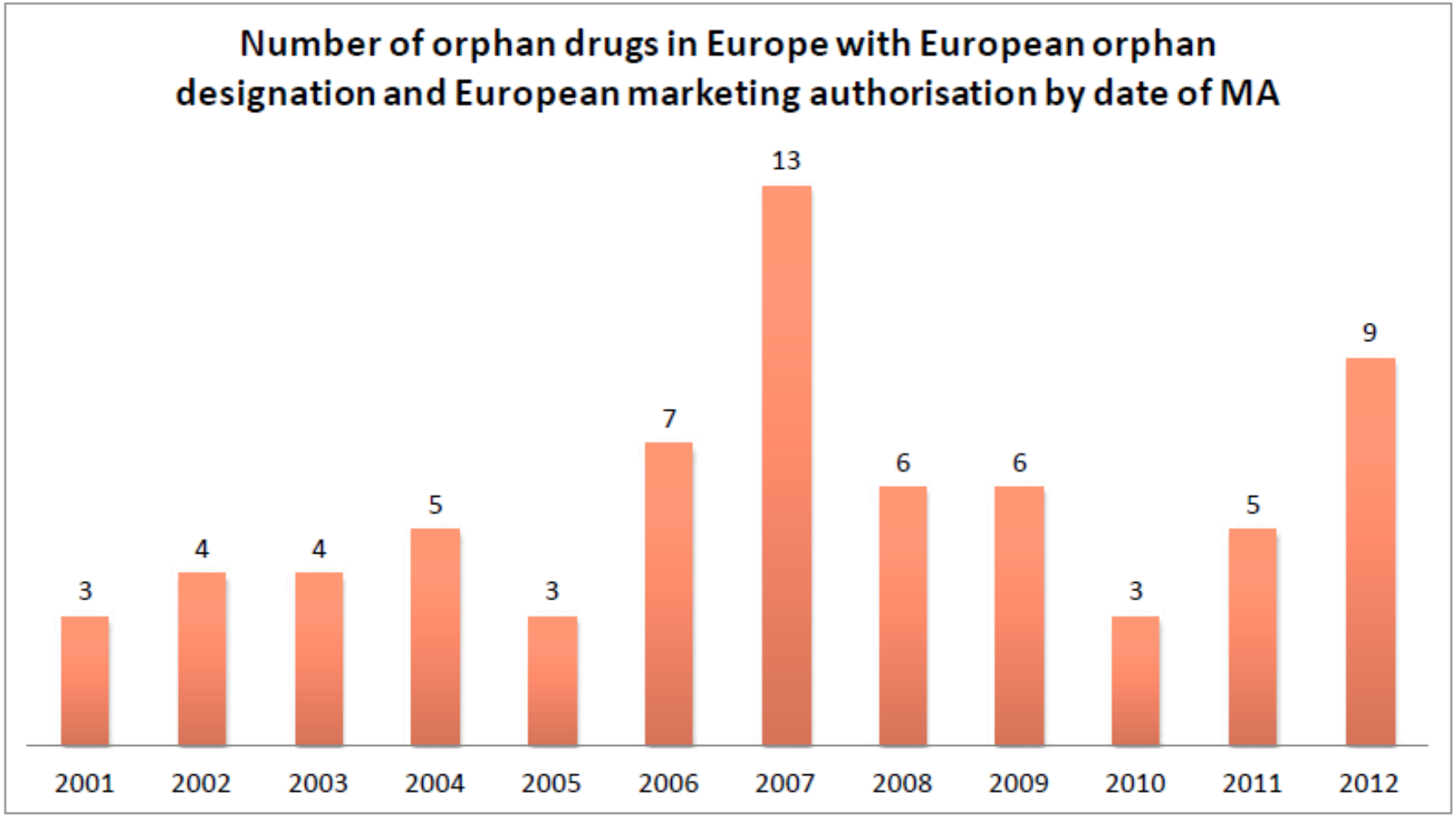
Teràpies avançades

- Medicaments utilitzats tant per malalties minoritàries (medicaments orfes) com per malalties comunes.
- Inclouen:
  - Teràpia cel·lular
  - Teràpia tissular
  - Teràpia gènica
- Regulades a la EMA a través d'un comitè específic (CAT).

Fites de la Regulació europea

- **> 1200** Sol·licituds designació orfe
- **> 800** designacions orfes: c:a 30% productes innovadores (fusion proteins, monoclonal antibodies, oligonucleotides)
- **>7%** teràpies avançades (cel·lular/gènica/tissular)
- Tasa opinions positives ≈ 70 % ⇒ Gate opener

- **70** Medicaments orfes comercialitzats
  - 1 Medicament orfe de teràpia avançada comercialitzat



Informes Periódicos de Orphanet - Listado de medicamentos huérfanos in Europa. Octubre 2012
http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/ES/listado_de_medicamentos_huerfanos_in_Europa.pdf

Projectes d'investigació en MM i medicaments orfes

Directorate-General for Health & Consumers

IRDiRC
INTERNATIONAL RARE DISEASES RESEARCH CONSORTIUM

ciberer
CENTRO DE INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA EN RED DE ENFERMEDADES RARAS

Instituto de Salud Carlos III

La Marató 3

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert UAB

Designació i autorització medicaments orfes. EMA
Polítiques de salut i recerca

Fixació del preu i condicions de reemborsament a càrrec del SNS. AEMPyS
Coordinació Estrategia Nacional MM

Planificació assistència integral MM i finançament de les intervencions sanitàries i terapèutiques (medicaments orfes)
Educació per la salut i formació de professionals

Política sanitària per MM a Catalunya

DEPARTAMENT DE SALUT

↓

Consell Consultiu de Pacients de Catalunya ← **SERVEI CATALÀ DE SALUT**

↙ ↘

Consell Assessor Malalties Minoritàries CAMM, 2009

Consell Assessor Tractaments Farmacològics d'Alta Complexitat CATFAC, 2010

↑ ↑

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

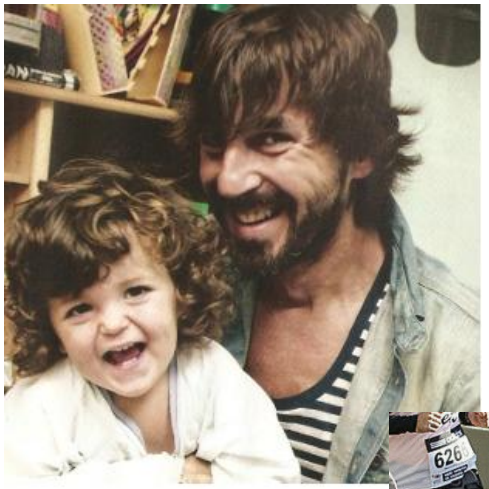
Fundació Doctor Robert UAB

Estratègies autonòmiques i medicaments orfes

- **Equitat** en l'accés als fàrmacs per al tractament de malalties minoritàries
- **Sostenibilitat** del sistema sanitari
- Millorar resultats en **salut**
- No posar traves a la **innovació**

Accés d´afectats de MM a Medicaments orfes autoritzats: >4000 malalts (2011)

+ Concienciació i participació ciutadana



28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries

Fundació Doctor Robert
UAB

http://www.malaltiesminoritaries.uab.cat

28 febrer 2013 Dia Mundial de les Malalties Minoritàries