

Medicaments orfes

Josep Torrent-Farnell

Fundació Doctor Robert - UAB

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

President Consell Assessor Tractaments Farmacològics Alta Complexitat
(CatSalut)

II Jornada de Malalties Minoritàries a Catalunya



Federació Catalana
de Malalties
Poc Freqüents



Europa: Designació i autorització
medicaments orfes. EMA



Espanya: Fixació del preu i condicions
de reemborsament a càrrec del SNS.
AEMPYS



Autonomies: planificació assistència MM
i finançament de les intervencions
terapèutiques (medicaments orfes)




Unió Europea

1. Centralitzat per la EMA
 - a) Designació (COMP)
 - b) Teràpies avançades/orfes (COMP/CAT)
 - c) Subgrup Medicaments pediàtrics MM (PEDCO)
 - d) Autorització comercialització (CHMP)
2. Recomanacions de la U.E. al “market access” de medicaments orfes (Pharmaceutical Forum)
 - a) Avaluació comú valor afegit dels fàrmacs
 - b) Pràctiques finançament condicional
 - c) Creació centres d’experts

Espanya

1. Estrategia Nacional en Enfermedades Raras / Sistema Nacional de Salud (2009)
2. Dirección General Farmacia y Productos Sanitarios (Comité de Coste- Efectividad de los Medicamentos y Productos Sanitarios – Real Decreto-ley 9/2011 de 19 de agosto 2011)

Comunitats autònomes

1. Programa d'avaluació, seguiment i finançament dels tractaments farmacològics d'alta complexitat: Consell Assessor Tractaments Farmacològics Alta Complexitat (CATFAC)
 2. Gestió compres directes / Hospitals
- 

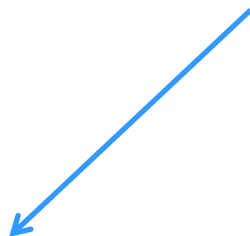
Estratègies autonòmiques i medicaments orfes

- **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**
- Creació de consells assessors específics per a tractaments d'alta complexitat

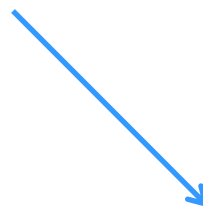
DEPARTAMENT DE SALUT



SERVEI CATALÀ DE SALUT

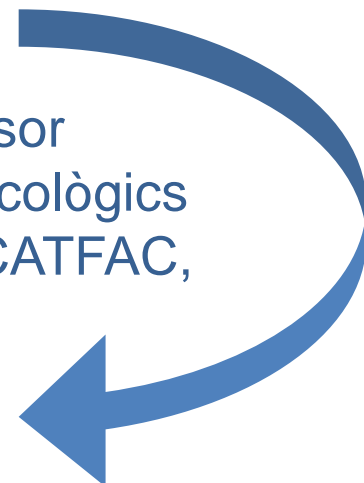


Consell Assessor Malalties
Minoritàries CAMM, 2009



Consell Assessor
Tractaments Farmacològics
d'Alta Complexitat CATFAC,
2010

Evidència (CAMUH)



Impacte pressupostari
(COPIF)

Consell Assessor Tractaments Farmacològics Alta Complexitat (CATFAC): Composició, funcions i política de funcionament

Composició:

- Membres permanents: professionals sanitaris experts en l'avaluació de medicaments i en el camp de les malalties minoritàries.
- Grups d'experts: professionals sanitaris de prestigi reconegut experts en malalties minoritàries específiques a Catalunya i participació d'associacions de malalts.
 - Grup experts malalties lisosomals
 - Grup experts hemoglobínúria paroxística nocturna

Consell Assessor Tractaments Farmacològics Alta Complexitat (CATFAC): Composició, funcions i política de funcionament (II)

Funcions:

- Assessorar el Servei Català de la Salut en tots els aspectes relacionats amb els tractaments d'alta complexitat.
- Valorar les sol·licituds de autorització, renovació, suspensió o finalització dels tractaments farmacològics i emetre els corresponents informes.
- Fer el seguiment dels pacients tractats fàrmacs d'alta complexitat i mesurar els resultats en salut.
- Elaboració de registres i estudis.

Política de funcionament:

- Procediment transparent.
- Publicació decisions en web CatSalut i memòria anual.
- Informació activa a agents implicats (associacions de pacients i indústria).

Fàrmacs orfes a Catalunya: situació any 2009


- Cost per Tractament mitjà **≈17.000€/pacient/any** (rang: 882€-340.000€)
- Molts pocs malalts per patologia però rellevant en global:
 - Any 2009: 35 fàrmacs dispensats (autoritzats per la UE són 58)
 - ↳ 0,28 % recepta mèdica
 - 8,80 % farmàcia hospitalària
- Important tasa de creixement en la despesa **→ 40% augment 2009 vs 2008**

MEDICAMENTS AVALUATS

Principi actiu	Indicació avaluada
Eculizumab	Hemoglobinúria Paroxismal Nocturna
Miglustat	Niemann-Pick tipus C
Azacitidina	Sd. mielodisplàsic
Idursulfasa	Sd. Hunter
Laronidasa	Sd. Hurler
Trabectedina	Sarcoma avançat / Carcinoma ovari
Ambrisentan	HT pulmonar
Lapatinib	Càncer mama metastàtic
Galsulfasa	Mucopolisacaridosi VI
Amifampridina	Síndrome miastènic Lambert Eaton
Aztreonam	Fibrosi quística
Eltrombopag	Púrpura trombocitopènica idiopàtica
Romiplostin	Púrpura trombocitopènica idiopàtica
Everolimus	Carcinoma cèl·lules renals
Pazopanib	Carcinoma cèl·lules renals
Plerixafor	Mobilització cèl·lules hematopoètiques
Tolvaptan	Síndrome secreció inadequada hormona antidiürètica



Conclusions

1. El desenvolupament i innovació en medicaments orfes ha experimentat un important avanç en els últims 10 anys.
 2. No obstant, el nivell d'accés als medicaments i productes sanitaris continua sent “el coll d'ampolla” per a la utilització d'aquests fàrmacs.
 3. Les federacions/associacions de pacients de MM són claus per impulsar i consolidar les polítiques d'equitat en l'accés a medicaments orfes.
- 



Moltes gràcies

