



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)

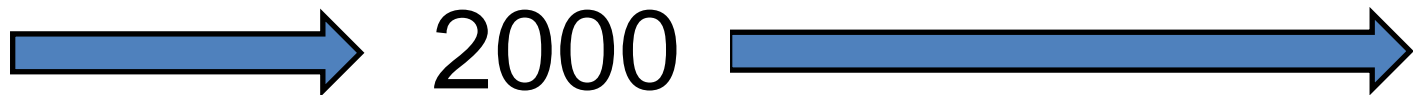
17 de febrer de 2012

Situació de les M.M. abans de l'any 2000 a la U.E.

- Invisibilitat i exclusió social
- Desconeixement de moltes M.M.
- No prioritats en investigació
- Manca d'interès de les farmacèutiques
- No prioritats en salut pública ni en els sistemes de salut
- No reconeixement dels professionals
- Pacients “sense veu”
- Manca de compromís polític, institucional i social

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**



Què és un medicament orfe?

- ✓ Un medicament destinat a tractar qualsevol malaltia minoritària que afecti a menys de 5 casos per 10.000 habitants.
- ✓ Inclouen vacunes, tractaments guaridors i preventius, agents diagnòstics que puguin beneficiar a uns 250.000 pacients/UE.
- ✓ No inclouen mesures dietètiques ni productes sanitaris.
- ✓ Un fàrmac amb retorn econòmic insuficient per compensar les despeses I+D.

REGLAMENT EC No 14/2000

Per què és necessari un reglament de medicaments orfes?

- ✓ Algunes “condicions” són tan infreqüents que el cost del desenvolupament d’un medicament no es recupera després de la seva comercialització.
- ✓ Conseqüentment la indústria farmacèutica no és receptiva a desenvolupar aquests medicaments sota les condicions normals del mercat.
- ✓ Els pacients afectats per les denominades “malalties minoritàries” tenen dret a rebre medicaments de la mateixa qualitat i amb les mateixes exigències d’eficàcia i seguretat que la resta dels pacients.

REGLAMENT EC No 14/2000

Objectius de la regulació

- Proporcionar incentius per estimular la investigació i desenvolupament de medicaments orfes
- Modificar les condicions de mercat
- Establir el sistema de reconeixement de quins medicaments orfes tenen dret als incentius

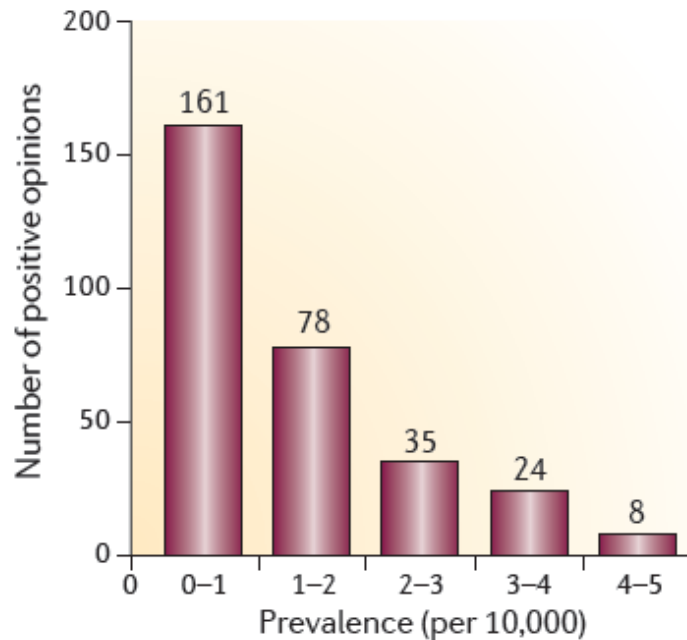
Què són les teràpies avançades?

- 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).

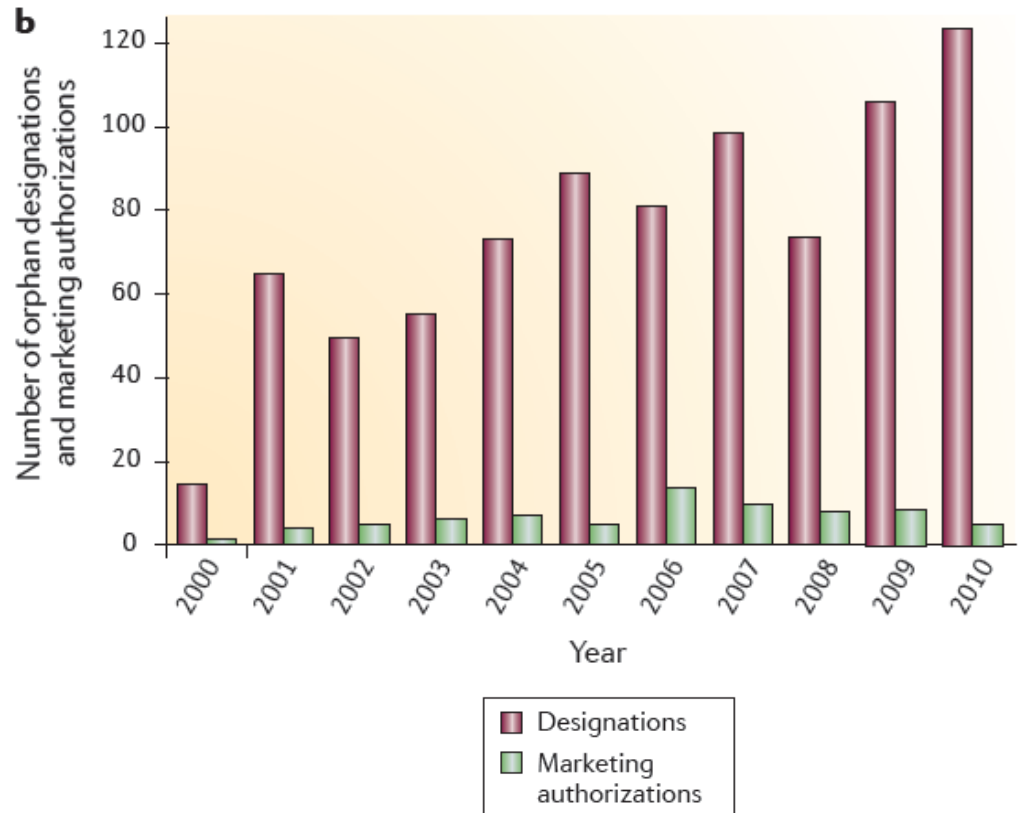
Estatus Orfes Unió Europea **(Investigacional)**

- ✓ **1235** Sol·licituds de designació de medicament orfe
- ✓ **850** Designacions
- ✓ **829** Decisió Comissió Europea
- ✓ **297** Sol·licituds retirades
- ✓ **17** negatives

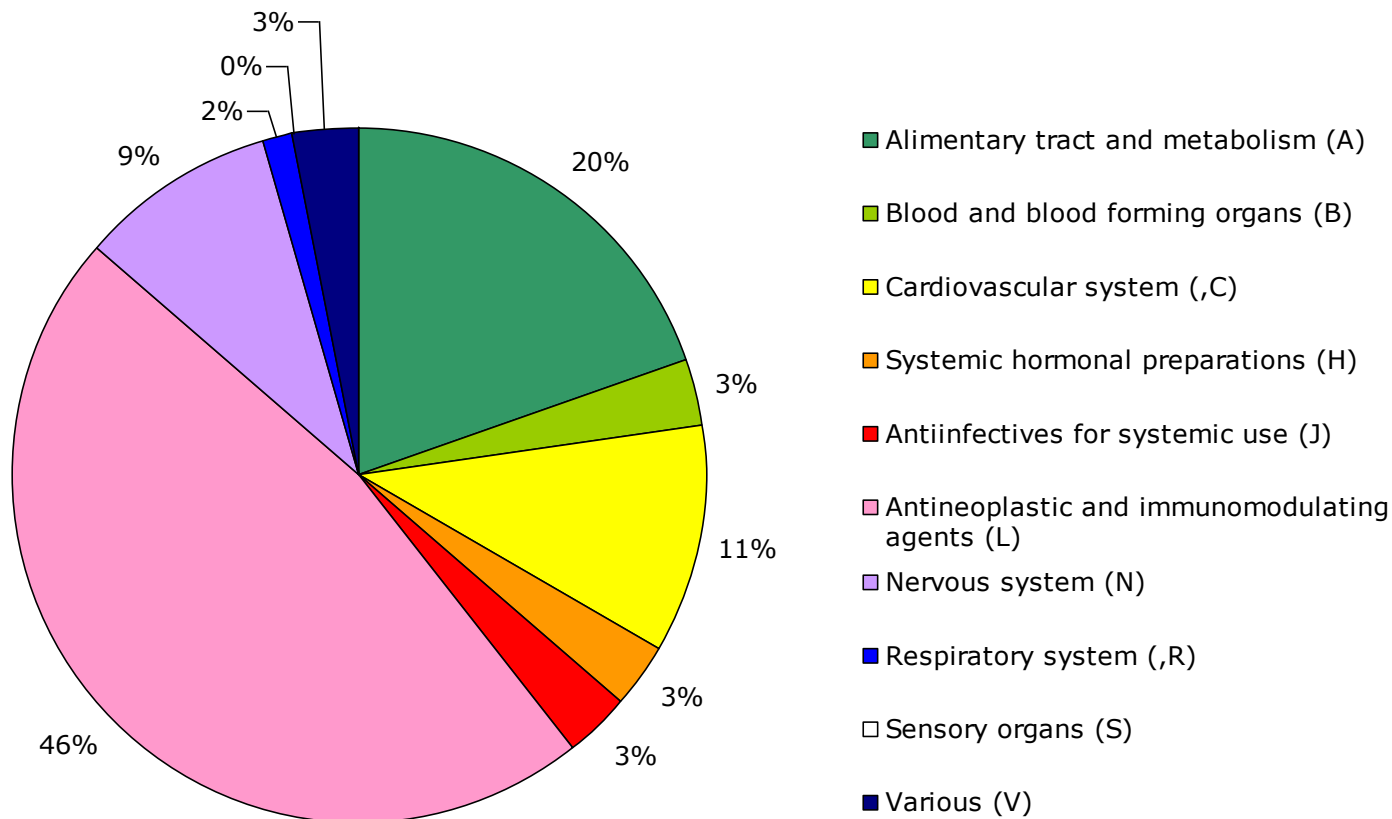
EU Orphan Designation (2000-2010)



≈300 RD



Therapeutic areas –marketing authorisations (n=66)



Number of conditions: 50
(+9 variations not included in graph)

MARC JURÍDIC DE LES MALALTIES MINORITÀRIES



Recomanació del Consell de Ministres de Salut de la Unió Europea , juny 2009

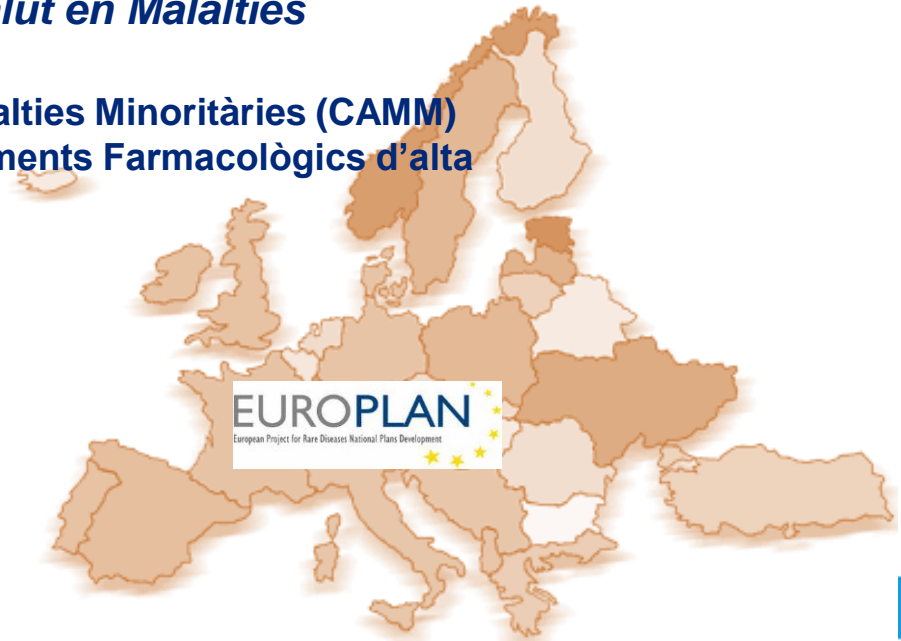


Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud, juny 2009



Actuació Departament de Salut en Malalties Minoritàries 2010

- **Comissió Assessora de Malalties Minoritàries (CAMM)**
- **Consell Assessor de Tractaments Farmacològics d'alta Complexitat (CATFAC)**





Europa: Designació i autorització
medicaments orfes. EMA



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

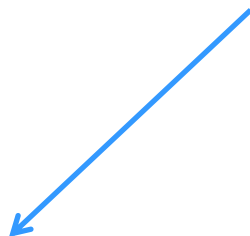


Autonomies: planificació assistència MM
i finançament de les intervencions
terapèutiques (medicaments orfes)

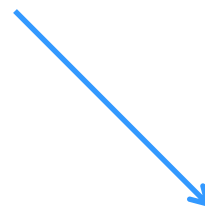
DEPARTAMENT DE SALUT



SERVEI CATALÀ DE SALUT



Consell Assessor Malalties
Minoritàries CAMM, 2009



Consell Assessor
Tractaments Farmacològics
d'Alta Complexitat CATFAC,
2010

Evidència (CAMUH)



Impacte pressupostari
(COPIF)

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



RARE
DISEASE
DAY 29 February 2012

Moltes gràcies

<http://www.malaltiesminoritaries.uab.cat>