

Régimen legislativo de los medicamentos huérfanos en España

Introducción

Las **enfermedades raras** afectan a menos de 5/10.000 personas. Estas patologías son tratadas con **medicamentos huérfanos**, que son fármacos que se encuentran privados del amparo de la industria farmacéutica. Los medicamentos huérfanos son “aquellos productos destinados al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad crónica que no afecte a más de 5 personas por cada 10.000 o que, destinado a aquellos fines, resulte improbable que, sin incentivos, la comercialización de dicho medicamento en la Comunidad genere suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria”. La aproximación a los mismos es muy compleja, siendo el **acceso al medicamento** un punto fundamental dentro de nuestro derecho a la **protección de la salud**, expresado en el artículo 43 de la Constitución Española, dentro de los “Principios rectores de la política social y económica”.

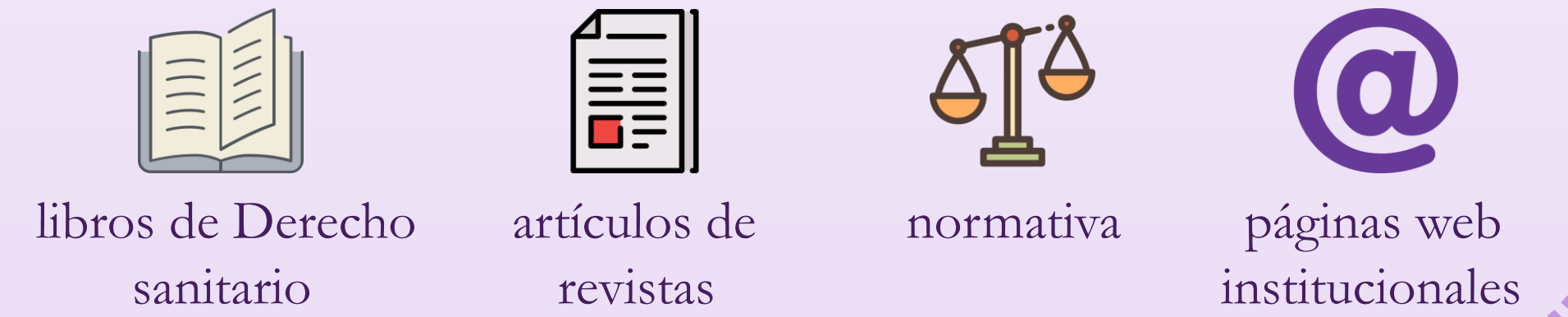
Objetivos

- ✓ Introducción a la **situación en España** de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.
- ✓ Exposición de la problemática relativa a la **investigación** de los mismos.
- ✓ Planteamiento de las **medidas** impuestas para mejorar esta situación.



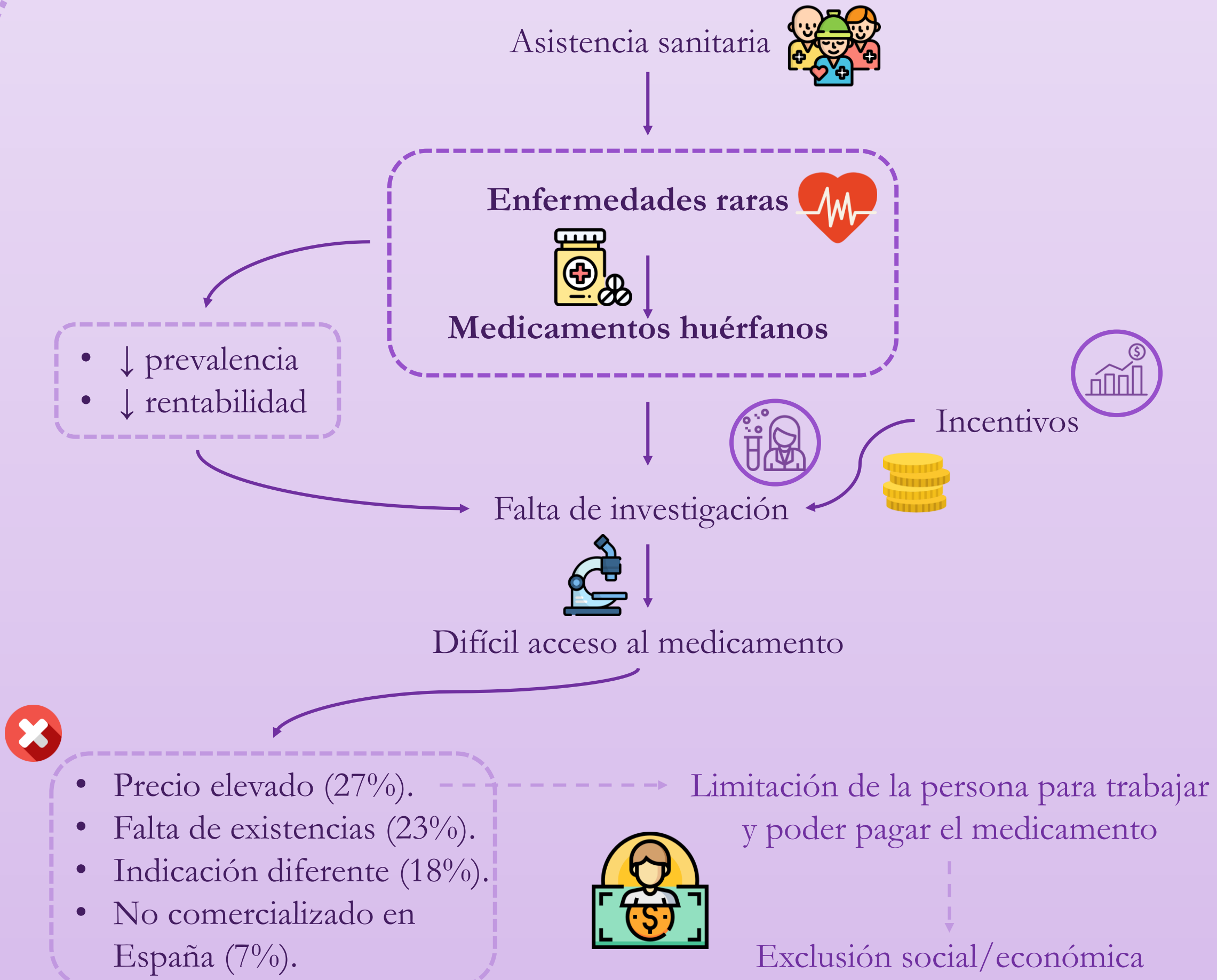
Metodología

Revisión bibliográfica de:



Resultados y discusión

El acceso a los medicamentos huérfanos



Designación de “medicamento huérfano”

- 1 El **laboratorio** encargado del medicamento presenta una solicitud a la **EMA*** para la designación del mismo como medicamento huérfano.
- 2 La **EMA** comprueba la solicitud y prepara un informe para el **COMP****.
- 3 El **COMP** evalúa el informe y emite su dictamen (90 días).
- 4 La **EMA** transmite el dictamen a la **Comisión Europea**, que tomará la decisión final (30 días).
- 5 Se comunica esta decisión al **promotor** del fármaco, a la **EMA** y a las **autoridades competentes** de los Estados miembros.

*EMA: European Medicine Agency.
**COMP: Committee for Orphan Medicinal Products.

Reglamento UE 847/2000: características de los fármacos para ser designados como medicamentos huérfanos

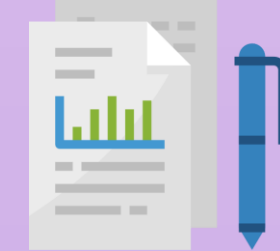
Deben aportar un **beneficio considerable** (ventaja significativa clínicamente o contribución a la atención del paciente).

Incentivos para la investigación de los medicamentos huérfanos



Procedimiento centralizado de autorización (EMA), que facilita y agiliza la comercialización de los medicamentos designados como huérfanos.

Concesión de un **derecho de exclusividad** por **10 años**, que se verá reducido a 6 años si al finalizar los mismos el medicamento deja de cumplir con las características especificadas en el Reglamento 141/2000.



Asistencia por parte de la EMA en la elaboración de **protocolos** de ensayos clínicos.

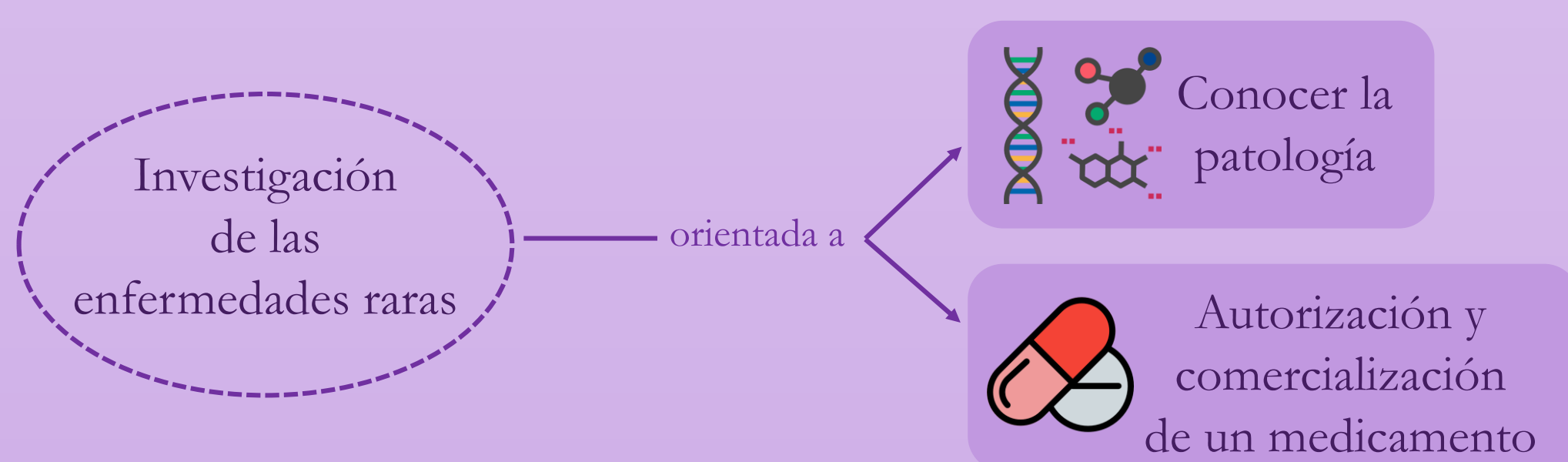
Exención de tasas, concesión de **subvenciones** y otras **ayudas** económicas o “medidas de estímulo” (establecidas por la Comisión Europea y los Estados miembros).



Instituciones dedicadas al estudio de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos en España

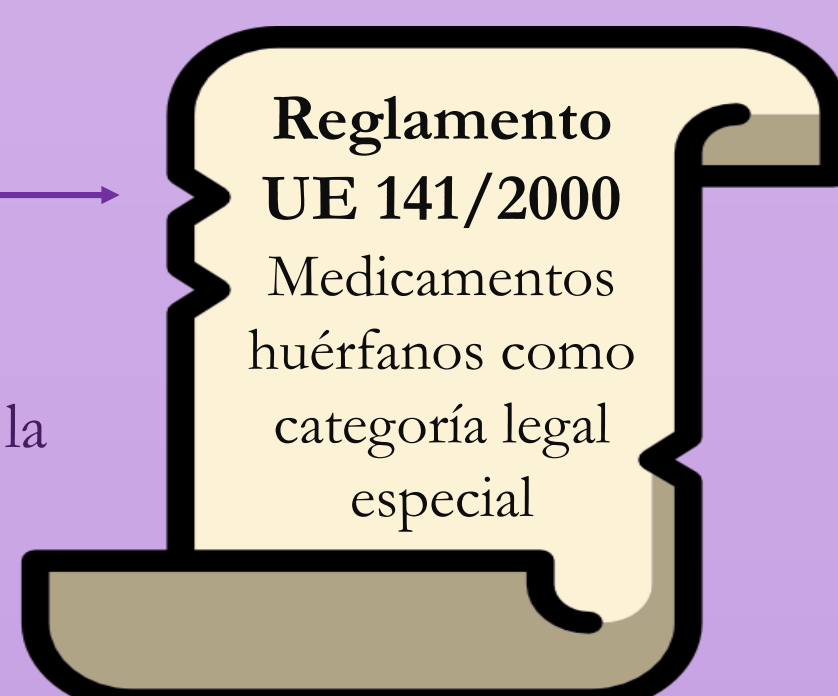


La falta de investigación sobre medicamentos huérfanos



Problema ⚠ En la actualidad, la **investigación** ha quedado subordinada a la obtención de un **beneficio económico**.

Enfermedades raras } ↓ prevalencia
 } ↓ rentabilidad
 } Poca investigación



La aplicación de este reglamento ha **mejorado** la situación, pero las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos siguen siendo una **prioridad** en la **Unión Europea**.

Conclusiones

1. Las **enfermedades raras**, debido a su baja prevalencia y su gran complejidad, se encuentran **poco estudiadas**. Esto hace que los pacientes que las padecen sean más **vulnerables**.
2. Las **medidas** tomadas para fomentar su estudio han generado **beneficios** en este ámbito, pero se sigue necesitando más investigación.
3. El acceso a los medicamentos huérfanos es muy **complejo**, sobre todo por su precio.
4. Las **asociaciones** de pacientes y de investigadores han ayudado a dar **visibilidad** a este problema y a lograr una correcta asistencia sanitaria a estos pacientes.
5. Por último, solo queda esperar que se siga impulsando la **investigación** de estas patologías y de sus tratamientos correspondientes.

Bibliografía

1. FUENTES HISTÓRICAS Y LEGISLATIVAS.
 - BOMBILLAR SAENZ, Francisco Miguel. “Intervención administrativa y régimen jurídico del medicamento en la Unión Europea”. Granada: Editorial de la Universidad de Granada; 2010.
 - SARRATO, Luis. “Régimen jurídico-administrativo del medicamento”. Lleida: Facultad de Derecho de la Universidad de Lleida; 2013.
2. NORMATIVA.
 - [España] “Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios”. *Boletín Oficial del Estado*. [25 de julio de 2015] núm. 177, págs. 62935-63030.
3. PÁGINAS WEB.
 - SOCIEDAD ESPAÑOLA DE FARMACIA HOSPITALARIA (SEFH). [en línea] www.sefh.es [Consultado el 20 de abril de 2018]