

Sopar Claris

AMICS UAB

MAYO 2022

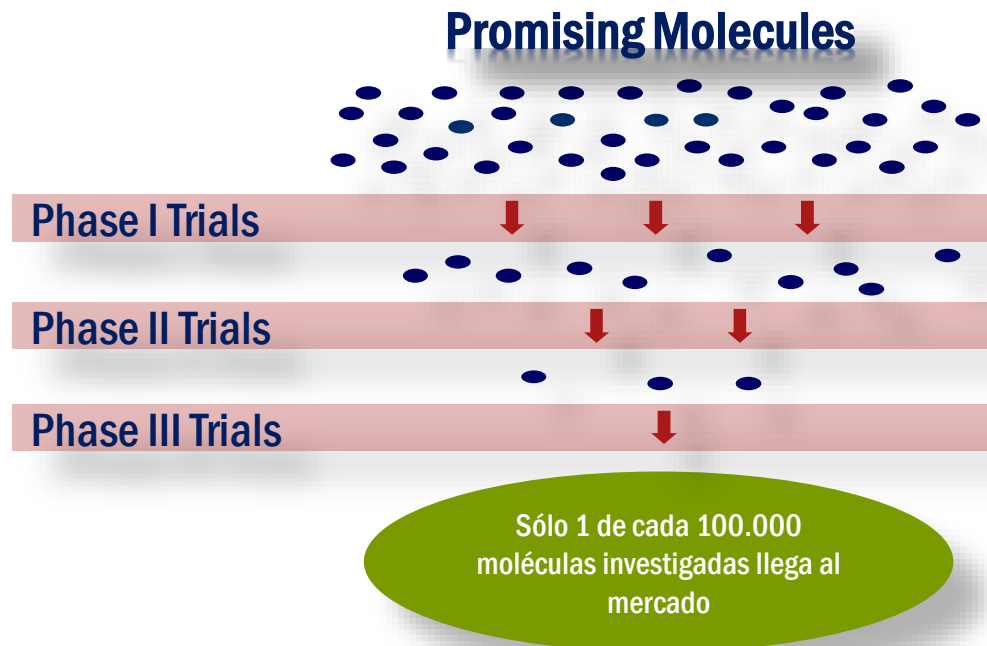
- **En Europa, una enfermedad rara afecta a 1 de cada 2000 personas**
- **Existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras**
- **Son enfermedades poco frecuentes que pueden ser difíciles de diagnosticar, habitualmente, graves, crónicas, genéticas y potencialmente mortales.**
- **El impacto en los pacientes, sus familias y la sociedad es profundo**
- **En España se estima que hay 3 millones de personas afectadas.**
- **Se tarda una media de 4 años en alcanzar un correcto diagnóstico y 2 de cada 10. pacientes tardará hasta 10 años**
- **Tan sólo un 5% de las enfermedades raras tienen tratamiento en la actualidad**
- **Y en la actualidad se investigan no más de un 20% de las mismas**

RETOS PARA LA INDUSTRIA EN LA INVESTIGACIÓN EN ENFERMEDADES RARAS

- **Complejidad biológica** de las propias enfermedades.
- **Heterogeneidad** de la enfermedad
- **Poco o nulo conocimiento** sobre la historial natural de la enfermedad
- **Diagnostico complejo/necesidad de realizar inversión previa/adicional**
- **La mayoría son pediátricas**
- **Alta inversión en proyectos** en las fases pre-clínicas basadas en conceptos teóricos con un éxito limitado -> muchos de estos proyectos no llegarán a la fase clínica.
- **Pocos centros de referencia**, pocos KOLs
- Necesidad de **tener presencia en múltiples países**
- Necesidad de abrir un elevado número de centros
- No existen comparadores
- **Esfuerzos adicionales** en producción para garantizar el suministro
- Coste de desarrollo y comercialización similares a las enfermedades más prevalentes



El riesgo y el coste del desarrollo de un nuevo producto es muy alto, más aún en enfermedades raras ya que no existe conocimiento científico previo ni una muestra grande de pacientes para el desarrollo clínico



Tiempo:
12-13 años desde la síntesis de un fármaco potencial hasta su comercialización

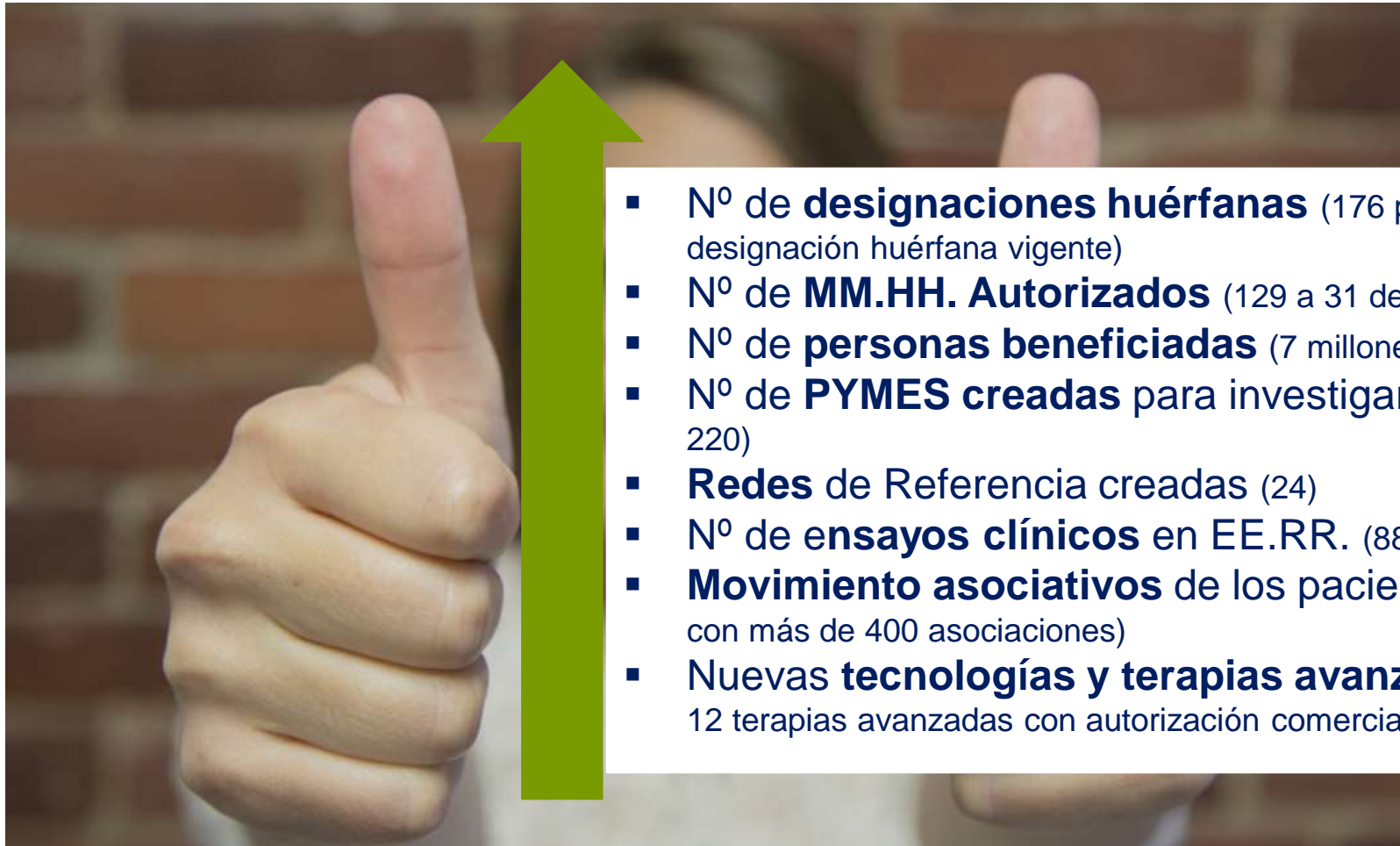
Coste:
La media del coste pre-comercialización de un nuevo tratamiento es € 1.000 Millones



Algunas afecciones son tan poco frecuentes que el coste de desarrollo y puesta en el mercado de un medicamento destinado a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar dichas afecciones no podría amortizarse con las ventas previstas del producto; la industria farmacéutica sería poco propensa a desarrollar dicho medicamento en las condiciones normales del mercado; tales medicamentos se denominan de hecho «medicamentos huérfanos».

Los pacientes que sufren afecciones poco frecuentes deben poder beneficiarse de la misma calidad de tratamiento que los otros; por consiguiente, conviene establecer incentivos para que la industria farmacéutica lleve a cabo la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos adecuados; existen regímenes de incentivo al desarrollo de medicamentos huérfanos en Estados Unidos, desde 1983, y en Japón, desde 1993.

Los medicamentos huérfanos que puedan beneficiarse de incentivos deben designarse de forma clara y simple; a tal fin, resulta totalmente justificado elaborar un procedimiento comunitario abierto y transparente para declarar determinados medicamentos «medicamentos huérfanos».

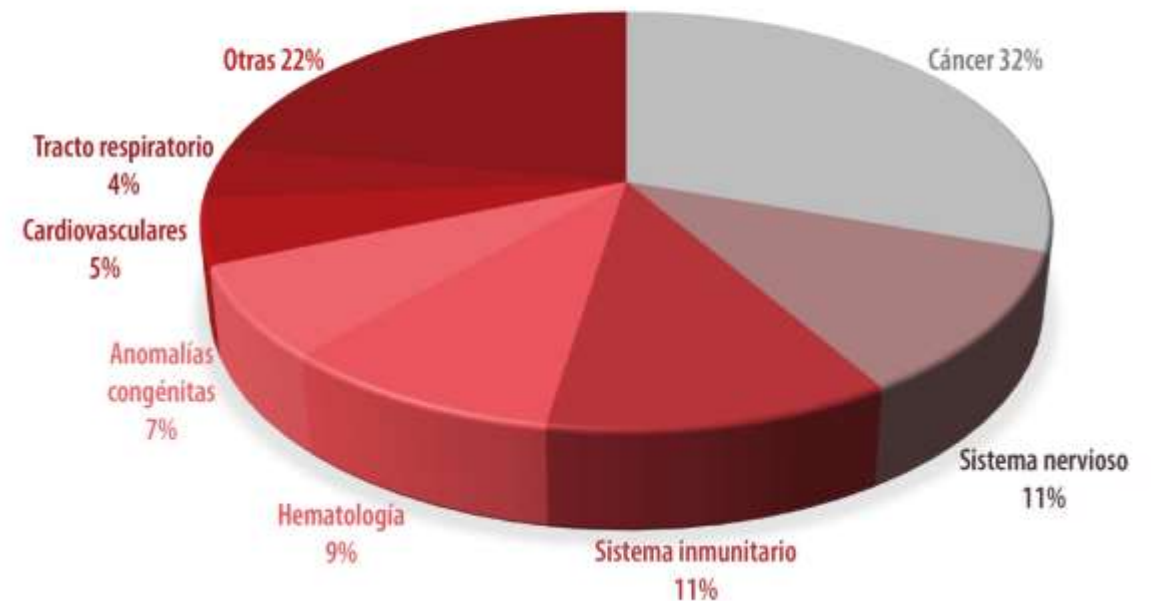


- N° de **designaciones huérfanas** (176 productos con nombre comercial y designación huérfana vigente)
- N° de **MM.HH. Autorizados** (129 a 31 de diciembre de 2021)
- N° de **personas beneficiadas** (7 millones en Europa)
- N° de **PYMES creadas** para investigar y desarrollar MM.HH (+ 220)
- **Redes** de Referencia creadas (24)
- N° de **ensayos clínicos** en EE.RR. (88% de crecimiento)
- **Movimiento asociativos** de los pacientes con EE.RR. (Ej. Feder con más de 400 asociaciones)
- **Nuevas tecnologías y terapias avanzadas** (a 31 diciembre de 2021: 12 terapias avanzadas con autorización comercial)

EN 2020, EL 20% DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS LLEVADOS A CABO EN ESPAÑA ESTABAN DESTINADOS A ENFERMEDADES RARAS

- En 2020 se autorizaron en España **1.018 ensayos clínicos** en los que participaron más de **80.000 pacientes.**
- Esto supone un **incremento del 23%** en el número de ensayos y del 87% en el número de pacientes con respecto a 2019.
- En el ámbito de la EE.RR. España alcanzó un máximo histórico de **194 ensayos** (5.5% más que en 2019), en los que participaron **3.191 pacientes.**

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR. POR ÁREA TERAPÉUTICA 2020



¿QUÉ MÁS PODEMOS HACER FAVORECER LA INVESTIGACIÓN EN ENFERMEDADES RARAS?



LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA INFORME DE ACCESO 2021

aeLmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

MM.HH. EN LA **UE Y ESPAÑA**

176

Productos con
nombre comercial
y designación
huérfana

129

MM.HH. con
autorización de
comercialización
(AC)

111

Tienen Código
Nacional (CN) en
España
(86%)

56

Están financiados
por el SNS
(43%)

Gracias