

Informe
Grupo de trabajo
Fibrosis Quística



Alianza
General de
Pacientes

madrid, 13 junio 2014



**Alianza
General de
Pacientes**



Secretaría
Técnica

Grupo de Trabajo Fibrosis Quística

MIEMBROS

Jose Luis Poveda

*Presidente Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria
(SEFH)*

Cristina Avendaño Solá

*Presidenta de la Sociedad Española de Farmacología
Clínica (SEFC)*

Esther Sabando

*Vicepresidenta Federación Española de Fibrosis Quística
(FEFQ)*

Amparo Solé

*Presidenta Sociedad Española de Fibrosis Quística
(SEFQ)*

Posicionamiento, consideraciones y conclusiones finales alcanzadas

La Fibrosis Quística, enfermedad rara de muy mal pronóstico hasta ahora y que afecta de forma muy importante a la calidad y a la esperanza de vida de quienes la sufren, se encuentra en un momento de cambio notable. La investigación ha obtenido resultados esperanzadores y en los últimos tiempos han aparecido medicamentos que modifican de forma importante el curso de la enfermedad, impactando de forma muy relevante en los pacientes. El abordaje de este cambio de paradigma es un asunto de preocupación tanto para los pacientes y los profesionales como para los gestores sanitarios. Por ese motivo, la Alianza General de Pacientes (AGP) ha reunido alrededor de una mesa a expertos en la patología, que han formado un grupo de trabajo del que, a continuación, se exponen sus conclusiones principales:

- La Fibrosis Quística todavía es una **patología en gran medida desconocida**, ya que a pesar de que un porcentaje significativo de ciudadanos han oído hablar de ella, no conocen las consecuencias que realmente produce en la vida de las personas que la padecen.
- En relación a los cuidados médicos, parece indiscutible que **existen posibles mejoras en la atención sanitaria que se les presta**. Sobre todo respecto a las diferencias existentes en cuanto a la disponibilidad de una serie de medidas para el abordaje del diagnóstico y tratamiento de la patología, tanto a nivel nacional como europeo.
- Los expertos han incidido en la **importancia directa del diagnóstico precoz en la calidad de vida y la supervivencia de los pacientes**, destacando la posibilidad de aplicar terapias individualizadas de forma precoz para enlentecer el progreso de la enfermedad.
Además, conocer desde el mismo momento del nacimiento qué enfermedad tiene su hijo y cómo afrontarla para controlar en lo posible sus consecuencias, es un derecho fundamental que asiste a todas las familias.
Por ello, el grupo de trabajo concluye que se deberían **desarrollar iniciativas que fomentasen la práctica equitativa** del cribado neonatal en España.
- En la actualidad, se observan dificultades para la entrada de nuevos fármacos en España. Este retraso en la incorporación puede condicionar la mejora de la clínica de los enfermos con Fibrosis Quística. En este sentido, podemos resaltar la limitación en el uso de Kalydeco (ivacaftor DCI) en España. Este nuevo fármaco con

evidentes beneficios en enfermos de Fibrosis Quística con la mutación G551D, a pesar de contar, desde hace ya un año, con la aprobación de las Agencias Española y Europea del Medicamento, todavía se encuentra pendiente de la decisión de incorporación al Sistema Nacional de Salud por parte del Ministerio de Sanidad y no se ha producido su comercialización.

Es necesario **definir estrategias de actuación**, que cuenten con los agentes expertos en cada una de las materias implicadas, con el fin de **agilizar el proceso de incorporación a la práctica asistencial de las técnicas y tratamientos que sean necesarios, así como garantizar una decisión común para todo el sistema, con la transparencia y el rigor metodológico que ello requiere**, teniendo siempre como referencia la equidad en el acceso a la calidad asistencial, para todos los ciudadanos de nuestro país.

- Concretamente, con respecto a conseguir un acceso de los pacientes a los fármacos más eficaces disponibles, se considera imprescindible el **establecimiento de una metodología con unos criterios establecidos** que cuente con colaboración permanente entre Ministerio Sanidad, Comunidades Autónomas, Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), industria farmacéutica y Sociedades científicas de Fibrosis Quística, para que se permita agilizar los trámites de evaluación para el acceso a la innovación en un tiempo reducido y en condiciones de igualdad, definiendo claramente su objetivo.
- Los miembros del grupo de trabajo consideran relevante la **creación de un fondo centralizado para la financiación de los medicamentos huérfanos en España**, teniendo en cuenta el peso que supone el cargo de estos medicamentos para el presupuesto de un hospital y por consiguiente, las desigualdades en el acceso a estos tratamientos que se derivan de esta situación.
- Se considera que los estudios de evaluación económica son necesarios para la toma de decisiones respecto a los medicamentos huérfanos, pero al tratarse de medicamentos destinados al tratamiento de enfermedades raras, estos deben complementarse con más componentes que determinen el valor asociado que poseen.

En la toma de decisión sobre las condiciones de incorporación de un medicamento al Sistema Nacional de Salud deben incluirse **consideraciones que evalúen el alcance sanitario y económico de las decisiones tomadas**. Además, se considera que se deberán analizar de forma **independiente los aspectos relativos a la evaluación del valor terapéutico añadido, los relativos al análisis farmacoeconómico, así como al análisis del impacto presupuestario**.

En definitiva, de lo indicado anteriormente este grupo de trabajo insta, debido a la urgencia y necesidad de tratar el acceso equitativo de los pacientes a las recientes innovaciones terapéuticas de demostrada eficacia para el tratamiento de la Fibrosis Quística, al establecimiento de una metodología con unos criterios establecidos, que permita el acceso a la innovación en un tiempo reducido y en condiciones de igualdad, consiguiendo de esta forma una mejora de la salud para los pacientes, y con toda seguridad también a un menor coste a medio y largo plazo.

En este sentido se aconseja que, para el desarrollo, gestión y manejo de la asistencia sanitaria, se requiera de la participación conjunta de un grupo multidisciplinar de médicos, profesionales sanitarios y entidades regulatorias, así como de farmacéuticos y los profesionales de los organismos responsables de la gestión administrativa de los mismos.

Cuestiones analizadas	Sinopsis de las conclusiones alcanzadas
1. Estado de la concienciación ciudadana en Fibrosis Quística; existencia de áreas de mejora en la asistencia sanitaria.	La Fibrosis Quística todavía es una patología en gran medida desconocida. La población general no conoce las consecuencias que realmente produce en la vida de las personas que la padecen. Asimismo, es indiscutible que existen posibles mejoras en la atención sanitaria que se les presta.
2. Inclusión y práctica equitativa del cribado neonatal.	Se considera desarrollar iniciativas que fomenten la práctica equitativa del cribado neonatal en España.
3. Razones de la restricción del acceso a tratamientos innovadores de demostrada eficacia.	La coordinación de los distintos organismos implicados es manifiestamente mejorable y nos enfrentamos a un sistema poco eficiente que es confuso y poco transparente para los ciudadanos. Asimismo, la decisión del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, sobre la incorporación del medicamento al Sistema Nacional de Salud y la fijación del su precio, actualmente, se está dilatando, en algunos casos, más tiempo del establecido en la normativa.
4. Estrategias de coordinación que solventen el retraso en el acceso a ciertos tratamientos innovadores de España.	Establecimiento de una metodología unificadora, con unos criterios establecidos, que cuente con la colaboración permanente entre el Ministerio de Sanidad, la AEMPS, la industria farmacéutica, las sociedades científicas y asociaciones de pacientes, y sobre todo con grupos de expertos tanto en la evaluación como en el manejo de la Fibrosis Quística.
5. Estrategias que debería desarrollar el sistema para permitir un acceso equitativo a la innovación.	Estrategias de actuación, con la colaboración de los expertos en cada una de las materias implicadas, para agilizar el proceso y garantizar una decisión común y equitativa, con la transparencia y el rigor que requiere.
6. Existencia de barreras que incida en que algún paciente no se beneficie de algún tratamiento para la Fibrosis Quística	Se considera que actualmente existen distintas barreras que pueden obstaculizar el acceso de los pacientes a algunos tratamientos disponibles para la Fibrosis Quística.
7. Sobre si se considera la puesta en marcha de un fondo centralizado para la financiación de los medicamentos huérfanos	Se considera muy importante la creación de un fondo centralizado para la financiación de los medicamentos huérfanos en España.
8. Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) y evaluaciones farmacoeconómicas de medicamentos huérfanos	Tanto el valor terapéutico añadido del medicamento, definido a través del IPT, como las consideraciones económicas, son importantes en la toma de decisión. Si bien para los medicamentos huérfanos, deben tenerse en cuenta consideraciones especiales relacionadas con el impacto social y sanitario de las innovaciones.
	Debe aceptarse un mayor coste incremental por paciente teniendo en cuenta el bajo número de pacientes a tratar y su derecho a un trato equitativo en el Sistema Nacional de Salud.

Situación actual de la Fibrosis Quística

La Fibrosis Quística es una enfermedad crónica y hereditaria que representa un grave problema de salud para los afectados. Está considerada como una patología grave de tipo evolutivo, que limita la esperanza de vida de los que la padecen y que hoy en día no tiene curación.

La incidencia de la Fibrosis Quística en nuestro país es de un caso por cada 5.000 nacidos vivos, además uno de cada 35 habitantes son portadores sanos de la enfermedad, de la que existen 1.900 variantes. La esperanza de vida de estos pacientes está muy relacionada con el tipo de variante genética, el diagnóstico precoz de la enfermedad y el acceso al tratamiento.

En este sentido, es importante señalar que un diagnóstico precoz puede prolongar la esperanza de vida de las personas con esta enfermedad. Motivo que determina que en la actualidad, se estén desarrollando planes de diagnóstico precoz en algunas comunidades autónomas, siendo un aspecto destacable el que la técnica de diagnóstico utilizada es extremadamente sencilla y con escasos costes económicos.

Para mantener controlada la enfermedad, las personas con Fibrosis Quística necesitan un cuidado permanente que les obliga a seguir continuos tratamientos, a realizar controles periódicos en el hospital y, en definitiva, a una dedicación plena de los afectados con importantes repercusiones en su familia.

El tratamiento de esta enfermedad se basa en tres pilares fundamentales; conseguir una nutrición adecuada, utilizar medicamentos que luchen contra la infección e inflamación respiratorias y realizar con regularidad la terapia física requerida para el mantenimiento de las mejores condiciones de vida posibles.

Con el paso del tiempo, gracias a la puesta en marcha de unidades de Fibrosis Quística especializadas, así como a la utilización de nuevos tratamientos y técnicas, la supervivencia a esta enfermedad ha ido mejorando claramente, aumentando de forma constante el número de personas adultas con Fibrosis Quística.

A pesar de esta mejora y del desarrollo en los últimos años de interesantes innovaciones en terapias farmacológicas y de diagnóstico, un contexto focalizado en la contención del gasto sanitario no puede frenar el acceso a las nuevas terapias que realmente hayan demostrado valor añadido, y mucho menos, condicionar desigualdades entre las distintas comunidades autónomas.

Grupo de trabajo

El desarrollo de un grupo de trabajo en el seno de Alianza General de Pacientes, se sitúa como uno de los planteamientos de los objetivos de su Plan Estratégico. Concretamente en este caso el Grupo de Trabajo de Fibrosis Quística se ha formado a petición de la Federación Española de Fibrosis Quística (FQ).

Se ha de considerar que la creación y el planteamiento de la sistemática seguida en el desarrollo de los grupos de trabajo en el seno de la AGP, se encuentra especificada en el Procedimiento PC-06 (“Creación y desarrollo de grupos de trabajo en la AGP”) aprobado por el presidente de la AGP y el vicepresidente de Fundamed.

Grupo de trabajo Fibrosis Quística

Fundamentaciones, objetivo y metodología

A pesar de que la Fibrosis Quística es una enfermedad que no tiene cura, un diagnóstico precoz y un tratamiento adecuado pueden controlar la patología y mejorar la calidad de vida del paciente.

La creación y el desarrollo de este grupo de trabajo sobre Fibrosis Quística se justifica en el seno de la AGP, al considerarse necesario arrojar luz sobre la situación actual del abordaje de esta patología desde un punto de vista multidisciplinar, planteándose como objetivos fundamentales, evitar las desigualdades entre los afectados por esta patología y que España no se quede atrás con respecto a Europa, en los estándares mínimos de calidad asistencial en Fibrosis Quística.

En este sentido, nuestro país se puede encontrar en un agravio comparativo con respecto a otros países del entorno europeo, tanto en ciertos aspectos de la atención sanitaria como en la introducción de algunas novedades terapéuticas. Ello determina la creencia en la necesidad de que un grupo de expertos valore la implantación de una estrategia que tenga en cuenta, la necesidad de facilitar el acceso equitativo a los pacientes a una mejor asistencia sanitaria y los mejores tratamientos, y también que describa, desde un punto de vista especializado, la repercusión que se deriva de su implantación en la prevalencia, así como posibles complicaciones y mortalidad de la enfermedad.

De esta forma, el grupo de trabajo pretende constituir una fuente de información objetiva y especializada a los pacientes y favorecer que sean capaces de contribuir y participar en las decisiones que les afectan.

Se considera fundamental, para conseguir dicho objetivo, que el grupo de trabajo fomente que los pacientes expresen sus consideraciones ante los órganos decisores de una forma fundamentada, sólida y documentada y que también tenga en cuenta y valore el conocimiento de la posición de los expertos del ámbito sanitario.

A tal fin, este documento recoge, a modo de consenso, el conjunto de los aspectos tratados por el grupo de trabajo junto con las conclusiones derivadas del resultado del cuestionario que se cumplimentó por los distintos profesionales.

Se especifica al final, asimismo, el posicionamiento de sus miembros con respecto a los asuntos tratados sobre la Fibrosis Quística.

Cuestionario realizado a los miembros del grupo de trabajo

Primera cuestión: En relación a si la actual concienciación ciudadana sobre la Fibrosis Quística es o no suficiente y si se considera que existen áreas de mejora en la asistencia sanitaria que se presta a los pacientes que sufren esta patología.

Consideraciones previas:

La Fibrosis Quística representa un problema de salud grave para sus afectados. Es una enfermedad crónica y hereditaria con una esperanza de vida limitada y dependiente de varios factores tales como el tipo de variante genética, el diagnóstico precoz y el acceso a los tratamientos disponibles.

La prevalencia de esta enfermedad en España es de una de cada 5.000 personas, siendo otro aspecto a tener en cuenta que uno de cada 35 habitantes son portadores sanos.

Resultados del cuestionario:

En relación a si existe suficiente concienciación ciudadana sobre la Fibrosis Quística, los expertos del grupo de trabajo, apoyando sus argumentos en los resultados de encuestas realizadas a nivel nacional y europeo, consideran que todavía es una patología en gran medida desconocida, ya que a pesar de que un porcentaje significativo de ciudadanos han oído hablar de ella, no se conocen las consecuencias que realmente produce en la vida de las personas que la padecen.

Sobre las posibles deficiencias existentes en la atención sanitaria que se presta a estos pacientes, los miembros del grupo de trabajo consideran que, pese a los evidentes avances conseguidos en el abordaje global de esta patología y en la mejora de la calidad de vida y supervivencia de los afectados, es indiscutible que existen opciones de mejora en la atención sanitaria que se les presta.

Una de las razones en las que se apoya el grupo de trabajo para considerar la existencia de estas deficiencias en algunos aspectos de la atención sanitaria, está representada por las diferencias existentes en el acceso a dos niveles; por una parte con respecto a las diferencias de acceso a algunos medicamentos en relación con otros países de la Unión Europea y por otro, a las diferencias existentes en la atención sanitaria entre distintas comunidades autónomas de nuestro país e incluso entre diferentes hospitales en una misma comunidad.

Segunda cuestión: Sobre la importancia de la inclusión y la práctica equitativa del cribado neonatal para la Fibrosis Quística en España.

Consideraciones previas:

Actualmente se utiliza el cribado neonatal como técnica de diagnóstico precoz en la Fibrosis Quística; una técnica considerada extremadamente sencilla y que supone un escaso coste económico.

En noviembre del pasado año, el Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, desarrolló un Proyecto de Orden que alude al Real Decreto 1030/ 2006, del 15 de septiembre, por el que se concreta y actualiza la cartera común básica de servicios asistenciales del Sistema Nacional de Salud, incorporando la Fibrosis Quística dentro de los programas poblacionales de cribado neonatal en recién nacidos, al incorporarlos a la Cartera de Servicios.

En España las únicas comunidades autónomas que aún no tienen incorporado el cribado neonatal para la Fibrosis Quística son Castilla La Mancha, Asturias y Navarra.

Según el citado proyecto de Orden, la incorporación de este cribado de Fibrosis Quística que está presente en los programas de 14 comunidades autónomas e INGESA, a las tres comunidades autónomas que todavía no lo tienen, supondría un coste de 121.000 euros (3,5 euros por recién nacido).

El objetivo que subyace en esta materia, es el acceso equitativo de toda la población a las técnicas de diagnóstico y tratamiento que inciden de forma muy positiva en la mejora de la calidad de la salud de los ciudadanos.

El cumplimiento del acceso equitativo para todos los ciudadanos puede representar un mayor esfuerzo en un sistema sanitario descentralizado en el que, además, incide directamente el contexto actual de crisis económica con la consiguiente contención del gasto sanitario.

Resultados al cuestionario:

La Fibrosis Quística es una enfermedad que hoy en día no tiene curación. Por lo tanto, un diagnóstico precoz permite prolongar la esperanza de vida de las personas que la sufren y mejorar su calidad, ya que permite conocer la incidencia real de la enfermedad, facilitar un asesoramiento genético precoz en las familias y realizar un diagnóstico prenatal o pre-implantacional en embarazos siguientes.

Por consiguiente, el diagnóstico precoz en la Fibrosis Quística hace posible el inicio de un tratamiento temprano destinado a prevenir o minimizar el daño que produce la enferme-

dad en la salud de los pacientes, influyendo, de esta forma, en el aumento de la edad de supervivencia de sus afectados y reduciendo las consecuencias negativas derivadas del diagnóstico tardío.

Distintos estudios han demostrado que los niños diagnosticados por cribado neonatal presentan mejores parámetros nutricionales y respiratorios que los diagnosticados tras presentar manifestaciones clínicas, y ya son numerosos los países que desde hace años incorporan la realización de esta técnica de forma habitual durante la primera semana de vida.

El conocimiento de la mutación genética que está presente en los pacientes, ha añadido recientemente como posibilidad importante, la aplicación de terapias individualizadas como respuesta a la presencia de determinadas mutaciones.

En resumen, con respecto a la inclusión del cribado neonatal de la Fibrosis Quística en la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud, los expertos además de incidir en la ya mencionada importancia directa del diagnóstico precoz de la enfermedad para la calidad de vida y la supervivencia de los pacientes, destacan la posibilidad de aplicar desde el Sistema Nacional de Salud, terapias individualizadas a los pacientes fundamentadas también en el conocimiento del genotipo.

El conocer desde el mismo momento del nacimiento qué enfermedad tiene su hijo y cómo afrontarla para controlar en lo posible sus consecuencias, es un derecho fundamental que asiste a todas las familias.

Tercera cuestión: En relación a cuáles pueden ser las razones de que tratamientos innovadores de demostrada eficacia para la Fibrosis Quística no estén disponibles para el uso de especialistas y pacientes en España, a diferencia de algunos países de Europa.

Consideraciones previas:

Las bases actuales del tratamiento en personas con Fibrosis Quística para lograr el mantenimiento y control de los síntomas que provoca, se fundamentan en la antibioterapia, la fisioterapia respiratoria y una buena nutrición.

La investigación en nuevos tratamientos para la Fibrosis Quística se centra, actualmente, en un mejor conocimiento de las anomalías genéticas que la causan, para así lograr aplicar tratamientos más individualizados y eficaces.

A diferencia de España, en algunos países de Europa, ya se comercializan nuevos tratamientos que siguen esta nueva línea de desarrollo, algunos de ellos de gran eficacia demostrada.

Resultados al cuestionario:

En la actualidad, a pesar de que la cartera de servicios que maneja el Ministerio de Sanidad en relación con la Fibrosis Quística incluye, un grupo numeroso de medicamentos, el acceso de algunas nuevas terapias disponibles puede verse retrasado.

El retraso en la incorporación de estos nuevos fármacos impide el beneficio que pueden obtener los pacientes en su calidad de vida.

El grupo de trabajo también destaca como aspecto que incide negativamente en la atención sanitaria de esta patología, la falta de decisión por parte del Ministerio de Sanidad en la financiación de fármacos que incorporan evidentes beneficios en el tratamiento, así como en la incorporación de técnicas y servicios sanitarios de evidente mejora en el manejo de la evolución de la Fibrosis Quística y por consiguiente, en la calidad de vida de sus afectados.

Concretamente, cabe resaltar en este sentido, la limitación del uso de nuevos medicamentos, como el caso de Kalydeco (ivacaftor DCI), Colobreathe (colistimetato DCI), que, a pesar de contar con la aprobación de las Agencias Española y Europea del Medicamento, en España no ha recibido la aprobación de financiación por parte del Sistema Nacional de Salud, a diferencia de lo que ocurre en otros países de nuestro entorno como Reino Unido, Irlanda, Francia, Alemania, Suecia, Finlandia, Noruega, Grecia, etc.

Además, los expertos de este grupo de trabajo han aportado distintas razones que justifican la falta de disponibilidad de ciertos tratamientos para la Fibrosis Quística en España, entre las que se resaltan las siguientes:

- Dado que existen diferencias sustanciales entre la estructura y los criterios para la incorporación de nuevas tecnologías sanitarias en los sistemas de salud entre países, pretender tener resultados uniformes resulta complicado. Aun así, **se está observando una tendencia global a incrementar los procesos de control presupuestario y de evaluación del coste-beneficio y coste-oportunidad de los medicamentos, así como el incremento de la demanda de evidencia clínica o la incorporación de parámetros de seguimiento postcomercialización.** Todo ello puede dilatar el tiempo para la aprobación de fármacos innovadores y su incorporación al mercado, e inducir desigualdades en el acceso de medicamentos.
- Actualmente, la coordinación de la AEMPS, el Ministerio de Sanidad/Comisión Interministerial de Precios y las comunidades autónomas, cuya decisión delimita el acceso de los pacientes a los nuevos medicamentos, **es manifiestamente mejorable y nos enfrentamos a un sistema poco transparente tanto para los profesionales sanitarios como para los ciudadanos.**
- La decisión del Ministerio de Sanidad sobre la incorporación del medicamento al Sistema Nacional de Salud y la fijación de su precio, está actualmente tardando más tiempo del establecido en la normativa (que sería un máximo de 180 días tras la autorización de comercialización). Esta es una de las razones por las que parece clara la necesidad de reestructurar el modelo.
- De esta forma, se considera que una de las modificaciones podría ser la **unificación de todos los recursos evaluadores del país en un único proceso de evaluación,** lo que mejoraría la coordinación, eficiencia y transparencia de la evaluación y la toma de decisiones para la inclusión de nuevos medicamentos en el Sistema Nacional de Salud. Además permitiría alcanzar una metodología más precisa, aumentando el rigor científico y comunicar con mayor transparencia las decisiones a los pacientes, profesionales y ciudadanos en general, que son quienes financian con sus impuestos la cartera de servicios del Sistema Nacional de Salud y, por lo tanto, son los que ostentan la facultad de decidir.

- Asimismo, la liberación de recursos que genera la eliminación de las duplicidades y redundancias de las evaluaciones previas, podría destinarse a **reforzar la evaluación de los resultados obtenidos para nuevos medicamentos** en la práctica real y poder así reevaluar las decisiones inicialmente tomadas. Por tanto la mencionada evaluación de los resultados, la medición de las mejoras conseguidas por el medicamento en el estado de salud y la comparación de costes y resultados de las distintas intervenciones disponibles, parece aconsejar la unificación de los recursos evaluadores por el Sistema Nacional de Salud.
- Se considera importante que los procedimientos establecidos para la incorporación de un fármaco a la disponibilidad y financiación del Sistema Nacional de Salud, sean los **propios del organismo definido para desarrollarlos englobando al grupo de expertos con el que se cuente** para ello, independientemente de que paralelamente se soliciten contribuciones de las sociedades científicas y de pacientes o de las industrias implicadas.

Cuarta cuestión: Respecto al desarrollo de estrategias de coordinación que solventen el retraso en el acceso a ciertos tratamientos innovadores de España.

Consideraciones previas:

La Fibrosis Quística ha sido y continúa siendo en la actualidad una enfermedad cuya curación parcial sólo se consigue con el trasplante pulmonar.

En los últimos años se ha pasado de tener como única opción de tratamiento el sintomático que ralentiza la progresión de la enfermedad, a tener disponibles tratamientos reparadores de demostrada eficacia. De hecho es previsible que en los próximos años estén disponibles nuevos fármacos para el tratamiento de otras mutaciones frecuentes.

Resultados al cuestionario:

Los miembros del grupo de trabajo consideran fundamental tomar conciencia de la responsabilidad que conlleva la demora que sufre en la actualidad la decisión de incluir ciertos tratamientos en el Sistema Nacional de Salud. Son muchos los pasos que un medicamento nuevo debe atravesar hasta llegar al paciente, por lo que es claro que la solución debe ser multifactorial y resultar de aplicación a distintos niveles.

Para ello es necesario definir estrategias de actuación, como la iniciativa para la colaboración entre el Ministerio de Sanidad y la industria farmacéutica expresada a través del Protocolo de colaboración firmado el 4 de marzo de 2014, que podría ser un punto de partida.

En esta misma vía, la toma de decisión para incorporar un medicamento a la financiación del Sistema Nacional de Salud debe incorporar la colaboración de los agentes expertos en cada una de las materias implicadas, con el fin de agilizar el proceso y garantizar una decisión común para todo el Sistema, con la transparencia y el rigor metodológico que ello requiere, teniendo siempre como referencia la obligada equidad en el acceso a estos medicamentos para todos los ciudadanos de nuestro país.

Quinta cuestión: Con respecto a las estrategias que debería desarrollar el sistema para permitir un acceso equitativo a la innovación, así como a la valoración del acuerdo firmado entre el Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad y Farmaindustria cuyo contenido se desarrolla en este sentido.

Cuestiones previas:

Con este acuerdo el sector farmacéutico se compromete a realizar un gran esfuerzo, consciente de la situación económica existente actualmente en España, con el propósito de garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y adecuar el gasto sanitario al de la Unión Europea.

En el referido documento se prioriza el derecho a la protección de la salud como uno de los más importantes derechos sociales.

Las partes firmantes corroboran la importancia de conseguir el acceso de los pacientes a los fármacos más eficaces disponibles en un tiempo reducido y en condiciones de igualdad en todo el territorio español. Con el modelo que se establece para la fijación de precios y financiación de medicamentos por el Sistema Nacional de Salud se conseguirá un acceso más eficiente y rápido por parte de los pacientes.

Como se especifica en el documento, la creación de un Foro de Diálogo formado por la Secretaria General de Sanidad y Consumo, el Director General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, y, por parte de Farmaindustria, por su Presidenta y el Director General, será fundamental para la consecución de los objetivos planteados en cada caso.

Resultados al cuestionario:

El consenso de los miembros de este grupo de trabajo considera que la firma y el cumplimiento de este protocolo de colaboración entre el Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad y Farmaindustria, podrá dar celeridad al proceso que supone el acceso a la innovación, al trabajar sobre unas bases comunes consensuadas por las dos partes intervinientes, lo que sin duda redundará en un importante beneficio para los pacientes.

Se espera que con estos acuerdos, los fármacos aprobados por las Agencias Española y Europea agilicen sus trámites de aprobación para la financiación pública en España y se de acceso a los fármacos de demostrada eficacia.

Asimismo, se considera imprescindible el establecimiento de una metodología con unos criterios establecidos, que cuente con la colaboración permanente entre el Ministerio Sanidad, la AEMPS, la industria farmacéutica, Sociedades Científicas y asociaciones de pa-

cientes, y sobre todo con grupos de expertos tanto en la evaluación como en el manejo de la Fibrosis, para que, teniendo en cuenta la necesaria sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud, se permita dar celeridad a los trámites de evaluación para el acceso a la innovación en un tiempo reducido y en condiciones de igualdad en todo el territorio español, diseñando y definiendo claramente el objetivo de este acceso equitativo. Para todo ello se considera fundamental contar con la colaboración de un equipo multidisciplinar, con trayectoria avalada que lidere la creación de este tipo de estrategias.

Sexta cuestión: Sobre si la existencia de barreras y procedimientos administrativos, puede representar la posibilidad de que algún paciente no se esté beneficiando de algún medicamento existente para el tratamiento de la Fibrosis Quística

Resultados al cuestionario:

Los miembros de este grupo de trabajo consideran que existen distintas barreras que pueden obstaculizar el acceso de los pacientes a algunos tratamientos disponibles para la Fibrosis Quística, sobre todo en casos en los que están implicados fármacos que supongan un elevado impacto en términos económicos en el presupuesto del sistema sanitario.

La disponibilidad de los fármacos es desigual en el territorio español, debido a que, pese a que gran parte de los fármacos se incluyen en las guías farmacoterapéuticas y se encuentran disponibles para los pacientes, existen algunos hospitales en los que no se puede prescribir tanto fármacos innovadores, como medicamentos en nuevos dispositivos que facilitan la administración y mejoran la adherencia al tratamiento, de tal forma que hay personas con Fibrosis Quística que no están recibiendo los medicamentos más adecuados para su enfermedad y, por tanto, no están teniendo la misma oportunidad de mejorar su calidad de vida que otras que residen en distinta comunidad autónoma.

Séptima cuestión: Sobre si se considera adecuada y viable la puesta en marcha de un fondo centralizado (a nivel autonómico o estatal) para la financiación de los medicamentos huérfanos en España

Consideraciones previas:

Actualmente, los medicamentos huérfanos suponen un gasto aproximadamente el 3-4% de todo el mercado farmacéutico de España. El impacto presupuestario de estos medicamentos puede superar el 11% del presupuesto de los medicamentos en los hospitales. Además, resulta un gasto imposible de planificar de antemano, siendo común la presencia de varios casos en un mismo centro debido al carácter hereditario de muchas de estas enfermedades.

Dentro de un plan de trabajo para el 2013, la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) estableció 13 prioridades (confirmadas para 2014) entre las que se encuentra la creación de una partida específica en el Fondo de Cohesión del Sistema Nacional de Salud para los medicamentos huérfanos, de manera que se garantice el acceso equitativo a los mismos en las distintas comunidades, prioridad con la que muestran su acuerdo todos los colectivos de profesionales que trabajan en enfermedades raras.

En otros países como el Reino Unido y Holanda, se ha interiorizado la necesidad de transferir los costes de estos fármacos a un fondo nacional controlado de forma centralizada para mantener la equidad y evitar niveles inaceptables de riesgo de los proveedores más pequeños. Países como Francia, Australia, Reino Unido y Holanda cuentan con un presupuesto destinado específicamente a estos medicamentos, de modo que no tienen que competir con otras provisiones más generales.

Resultados al cuestionario:

Todos los miembros del grupo de trabajo consideran relevante la creación de un fondo centralizado para la financiación de los medicamentos huérfanos en España, teniendo en cuenta el peso que supone el cargo de estos medicamentos para el presupuesto de un hospital y, por consiguiente, las desigualdades en el acceso a estos tratamientos que se derivan de esta situación.

De hecho, teniendo en cuenta las decisiones tomadas en países de nuestro entorno como Inglaterra, Francia u Holanda, cabría sopesar como una posibilidad factible la creación de un fondo centralizado con tales fines en España.

Octava cuestión: Con respecto a si los medicamentos huérfanos deberían ser tratados de una forma diferente en sus evaluaciones farmacoeconómicas, así como si son éstas las que deberían tenerse en cuenta en el desarrollo de los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de estos medicamentos

Consideraciones previas:

La evaluación y autorización de nuevos medicamentos por cualquiera de los procedimientos en vigor, lleva a su vez, a un proceso de elaboración de IPT, a la decisión sobre el precio y al proceso de financiación de los mismos y, finalmente, a su eventual incorporación a la práctica asistencial. En dicho proceso intervienen, al menos, las estructuras de evaluación de la AEMPS, de la Dirección General de Cartera Básica del Servicio Nacional de Salud y Farmacia, y las de las comunidades autónomas.

En este sentido, con el fin de buscar la mejora de los procesos de evaluación y toma de decisión para una financiación selectiva, evitando una evaluación redundante pero que mantenga la coherencia y compartiendo los recursos de forma más eficiente, se decidió elaborar los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT). Estos Informes pretenden garantizar la equidad entre autonomías ayudando a unificar los criterios y reduciendo los retrasos en las decisiones sobre precio y financiación.

Resultados al cuestionario:

Según el principio de equidad los pacientes con una enfermedad rara deberían tener las mismas oportunidades de recibir tratamiento que el resto de pacientes, por lo que se cree que los estudios de evaluación económica son necesarios pero insuficientes para la toma de decisiones respecto a los medicamentos huérfanos. Al tratarse de medicamentos destinados al tratamiento de enfermedades raras, precisan de más componentes que determinen el valor asociado que poseen.

En la toma de decisión sobre las condiciones de incorporación de un medicamento al Sistema Nacional de Salud tras el análisis del valor terapéutico añadido, deben añadirse consideraciones especiales que evalúen el alcance sanitario y económico de las decisiones tomadas, sopesando el coste adicional en relación al beneficio conseguido e incorporando factores al margen del ratio coste-efectividad.

De hecho la propia legislación (Real Decreto-ley 16/2012, de 20 de abril, de medidas urgentes para garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y mejorar la calidad y seguridad de sus prestaciones) considera que deben tenerse en cuenta aspectos tales como “la gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados, la existencia de otras terapias y el grado de innovación de las mismas,

las necesidades específicas de ciertos colectivos o el valor terapéutico y social del medicamento”.

Hay que tener en cuenta que el número de medicamentos que se investigan para enfermedades raras es excepcional y que el acceso a estos medicamentos supone el tratamiento inmediato de pacientes que pueden tener comprometida su vida y que pueden cambiarla si son tratados a tiempo.

Gran parte de los miembros considera necesario la evaluación farmacoeconómica en la decisión sobre el precio y las condiciones de financiación de los medicamentos, que deben realizarse con adecuado rigor metodológico y competencia. Aunque es importante distinguir entre el análisis farmacoeconómico de coste efectividad y el puro impacto presupuestario. Dependiendo de dónde se centre el impacto presupuestario producido por medicamento que sobrepasa los umbrales estándar de coste efectividad, podrá o no ser asumible.

En definitiva, se trata de que cada uno de estos elementos se analice de forma rigurosa, con los métodos adecuados y por los responsables legitimados en cada campo, con el fin de alcanzar la mejor decisión posible.



**Alianza
General de
Pacientes**



**Secretaría
Técnica**

Coordinación y elaboración del documento

Santiago de Quiroga

Vicepresidente de Fundamed

José María López Alemany

Director Técnico de Fundamed

Patricia Palomera

Responsable de Calidad

Secretaría Técnica Ejecutiva (Fundamed)

Rocío Briones

Área de Calidad

Secretaría Técnica Ejecutiva (Fundamed)



Alianza General de Pacientes

Alianza General de Pacientes

Suero de Quiñones, 34 - Madrid 28002
Tel.: 91 383 43 24 (Ext: 2003) Fax: 91 383 27 96
secretaria@alianzadepacientes.org
www.alianzadepacientes.org