



**Llamamiento a las Autoridades Competentes Nacionales de la UE en materia de fijación de Precios y Reembolso para apoyar:**

- 1. La creación de una mesa para la negociación de la fijación de precios con un grupo de los Estados miembros**
- 2. La ampliación de los programas pilotos sobre el Diálogo Temprano entre pagadores y promotores de medicamentos**

Os escribimos en nombre de **EURORDIS** <sup>(1)</sup> (**Organización Europea de Enfermedades Raras**) y **EPF** <sup>(2)</sup> (**Foro Europeo de Pacientes**) para dirigir toda vuestra atención a la necesidad de establecer nuevos mecanismos que mejoren el acceso de los pacientes a los medicamentos en Europa a la vez que se abordan los nuevos desafíos en términos de sostenibilidad de los sistemas sanitarios <sup>(3)</sup>.

Distintas partes interesadas en el debate se reunieron dentro del Proceso del Foro Farmacéutico de la UE <sup>(4)</sup> con el Grupo de Trabajo “Mejorando el Acceso a los Medicamentos Huérfanos en Europa”, y después del Grupo de Alto Nivel de la UE sobre Responsabilidad Empresarial en el ámbito Farmacéutico, concretamente dentro del Grupo de Trabajo sobre un “Mecanismo de Acceso Coordinado a los Medicamentos Huérfanos (MHs)” <sup>(5)</sup> – el llamado proceso MoCA. Este debate ha servido para establecer en los últimos años una nueva cultura de diálogo y ha levantado una gran expectación respecto a la verdadera mejora del acceso a los MHs.

**Los Medicamentos Huérfanos tienen cosas en común con las terapias génicas y terapias con células madre (MTAs), Pediátricos, Medicamentos de Precisión y medicamentos altamente innovadores /de elevado precio. Estos productos, dirigidos mayormente a poblaciones pequeñas, son principalmente especialidades médicas suministradas en el marco de un hospital y por tanto son proporcionados por médicos expertos que tratan condiciones complejas. Las prácticas médicas están convergiendo gradualmente en toda la UE, por lo tanto los datos generados de los estudios clínicos y las fases de pos comercialización son recogidos por estos mismos expertos dentro de los centros hospitalarios.**

---

<sup>(1)</sup> [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)

<sup>(2)</sup> <http://www.eu-patient.eu/>

<sup>(3)</sup> [Shining a light in the black box of orphan drug pricing](#) Picavet E, Morel T, Cassiman D, Simoens S. Orphanet J Rare Dis. 2014 Apr 27;9:62. doi: 10.1186/1750-1172-9-62.

[Market watch: Are orphan drug companies the pick of the pharmaceutical industry?](#) Morel T, Popa C, Simoens S. Nat Rev Drug Discov. 2014 Jan;13(1):10. doi: 10.1038/nrd4205. No abstract available.

[Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries.](#) Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Xoxi E, Simoens S. Orphanet J Rare Dis. 2013 Dec 24;8:198.

[Cost-effectiveness assessment of orphan drugs: a scientific and political conundrum.](#) Simoens S, Picavet E, Doooms M, Cassiman D, Morel T. Appl Health Econ Health Policy. 2013 Feb;11(1):1-3. doi: 10.1007/s40258-012-0004-y. No abstract available.

<sup>(4)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/pharmaforum\\_final\\_conclusions\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/pharmaforum_final_conclusions_en.pdf)

<sup>(5)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/orphans\\_report\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/orphans_report_en.pdf)

En un contexto de grandes avances científicos, un mejor diálogo y plataformas emergentes para el debate entre los profesionales sanitarios, pacientes, responsables en la toma de decisiones, industria, y gradualmente organismos de la EMA y HTA, así como pagadores, nos gustaría instar a las Autoridades Nacionales Competentes a apoyar las dos propuestas que se describen más abajo.

Estas propuestas buscan fomentar la cooperación mediante el establecimiento de un diálogo estructurado entre las Autoridades Nacionales Competentes para la fijación de Precios y Reembolso y otras partes interesadas relevantes. El principal objetivo no es solo mejorar el funcionamiento del Mercado Interno, sino garantizar que los sistemas nacionales consigan un balance adecuado entre la contención de gastos, innovación farmacéutica y acceso de los pacientes a los medicamentos <sup>(6)</sup>.

## 1. Crear una “mesa para la negociación de precios” con un grupo principal de Estados miembros voluntarios:

Las crecientes oportunidades de investigación que se traducen en nuevos tratamientos para pacientes con necesidades médicas no satisfechas representan una **amplia perspectiva a efectos de Salud Pública**. Están saliendo al mercado terapias innovadoras para tratar importantes necesidades médicas no satisfechas.

El impacto que tienen sobre los presupuestos sanitarios es todavía “absorbible” para los sistemas nacionales de salud, pero cada vez plantean **nuevos desafíos respecto al alto precio por paciente y el gran impacto en el presupuesto sanitario, generando así un acceso desigual en Europa**. Se estima que en la Unión Europea aproximadamente el 30% de los pacientes no tiene acceso a los MHs que necesitan <sup>(7)</sup>.

El reto sobre la sostenibilidad se está haciendo más acuciante. Se tiene que crear un nuevo modelo para que la sociedad pueda pagar y proporcionar el acceso a los tratamientos, que tendrá como resultado un importante beneficio médico y efectos en materia de salud en los pacientes.

***Por tanto instamos a las Autoridades Nacionales Competentes a crear una mesa de negociación para la fijación de precios basada en la valoración, volumen y generación de evidencia pos comercialización. Esta “mesa de negociación” permitirá una mejor colaboración a nivel de la UE entre la industria y los pagadores para abordar asuntos de sostenibilidad y en definitiva derivar en un mejor acceso de los pacientes a los medicamentos y producir mejores efectos en materia de salud para los pacientes. Esta mesa podría crearse en primer lugar por un grupo de “Estados miembros voluntarios” y de forma progresiva integrar a más países para cada medicamento.***

Este nuevo modelo a establecer es de especial relevancia en el ámbito de las enfermedades raras por las siguientes dos principales razones:

- El modelo necesitará abordar retos específicos en poblaciones pequeñas, como es el caso de los MHs, medicamentos de uso pediátrico y medicamentos precisos;
- A la hora de la autorización de comercialización inicial (condicional), existe un alto nivel de incertidumbre, lo que plantea nuevos retos a los pagadores.

Un primer grupo de Estados miembros que forman la “coalición de los voluntarios” ha expresado su disposición para embarcarse en un proceso de mayor colaboración que implique a pacientes, industria, pagadores, autoridades nacionales y organismos HTA. Según nuestros conocimientos, cinco

<sup>(6)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/pricing-reimbursement/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/pricing-reimbursement/index_en.htm)

<sup>(7)</sup> <http://www.eurordis.org/content/survey-patients%E2%80%99-access-orphan-drugs-europe>

Estados miembros (Bélgica, como precursor del proceso en 2010, Holanda, Austria, Italia y Portugal) podrían formar este grupo pionero. Después, para cada medicamento, se podría invitar a todos los Estados miembros de la UE a sumarse a la “mesa de negociación sobre la fijación de precios”; por lo tanto, el número de países participantes en la negociación sería distinto para cada medicamento, pero siempre contando con un grupo de países participantes, y perfeccionando gradualmente los procesos para crear una cultura y confianza comunes.

Según las conversaciones entre EURORDIS y los CEOs y responsables, una gran parte de la industria muestra un gran interés en desarrollar un enfoque europeo del mercado, en vez de a nivel nacional, sobre todo en el ámbito de las enfermedades raras. El principal incentivo dentro del Reglamento sobre Medicamentos Huérfanos de la UE reside en los 10 o 12 años de exclusividad de mercado, pero **la Comisión europea no proporciona un mecanismo para tener un acceso real al mercado en la UE.** La mayoría de las negociaciones nacionales sobre precio y reembolso para los medicamentos huérfanos se están celebrando después de los 180 días propuestos en la Directiva relativa a la transparencia de las medidas que regulan los precios de los medicamentos <sup>(8)</sup>.

**La colaboración en Europea para la negociación del precio y mercado serviría para acelerar el acceso al mercado y el acceso de los pacientes, generando así ingresos más rápidos y rendimientos de la inversión a los productores, garantizar un cierto volumen, reforzar el impacto de la puesta en marcha, reducir la carga administrativa y trámites de la negociación – a cambio de un descenso del precio.** También permitiría una recogida de datos y revisión pos comercialización más rápida y sólida.

**Este enfoque solo puede llevarse a cabo si hay una amplia aceptación de los dos principios siguientes por parte de todas las partes implicadas:**

- 1) **Los debates sobre la fijación de precios se basan en una valoración del valor – sobre todo para los medicamentos en áreas con poblaciones pequeñas y gran incertidumbre – y están vinculadas a la generación de evidencia poscomercialización;**
- 2) **Es necesario aceptar – por todas las partes implicadas – que con el tiempo los precios podrán fluctuar: esto significa que los precios pueden aumentar o disminuir después de fijar el precio.**

## **2. Fomentar el Diálogo Temprano entre los pagadores y la industria**

### **a. A través de la aplicación de los programas piloto del MoCA:**

Han pasado más de cinco años desde que el Grupo de Trabajo (GT) sobre el Mecanismo de acceso coordinado a los medicamentos huérfanos, creado dentro del Proceso de Responsabilidad Empresarial en el ámbito de las Farmacéuticas y puesto en marcha bajo la **Presidencia belga del Consejo de la UE en 2010**, se reuniera con las partes más relevantes, incluyendo por primera vez a los organismos HTA y pagadores. El GT se ha reunido periódicamente para reflejar y desarrollar propuestas sobre la forma de crear una colaboración voluntaria a nivel europeo para mejorar el acceso de los pacientes de enfermedades raras a los MHs. Hace dos años, **en abril 2013, se publicó el Informe final del Grupo de Trabajo de MoCA que determinaba que una colaboración y coordinación mayor tendría como resultado un mejor acceso de los pacientes a los MHs.** El informe también indicaba que definir el valor (añadido) de un nuevo MH representa un aspecto importante para un mejor acceso.

---

<sup>(8)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/transpadir\\_finalprop01032012\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/transpadir_finalprop01032012_en.pdf)

Para lograr este objetivo, el grupo MoCA propuso un **Marco Europeo de Valor Transparente** como la base para la colaboración entre los distintos Estados miembros y otras partes interesadas hacia una **evaluación común del valor** de los medicamentos huérfano, teniendo en cuenta que este valor puede evolucionar con el tiempo, dependiendo de la evidencia generada en todo el ciclo de vida de un medicamento.

Desde el principio, **el proceso MoCA ha sido concebido como un proceso de “Diálogo Temprano”, sobre la base de la colaboración voluntaria, incrementando la confianza y el entendimiento mutuo, dentro del marco legislativo existente, y sin un compromiso vinculante para las partes implicadas.** Este diálogo temprano y la mayor cooperación ayudarían a responder a los retos asociados a llevar los tratamientos a poblaciones pequeñas, en áreas de grandes necesidades médicas no satisfechas, grandes incertidumbres y altos precios.

Ahora todos los que participaron en el proceso MoCA sienten que **ha llegado el momento de que se aplique una nueva serie de programas piloto de una forma más estructurada y con más apoyo para generar resultados concretos y aprender de las experiencias.** Se ha alcanzado algo de madurez y acuerdo sobre los conceptos en torno al MoCA; el proceso debe estar respaldado y fundamentado con programas piloto concretos.

***Por tanto instamos a las Autoridades Nacionales Competentes a apoyar de manera más amplia los programas piloto del MoCA que se han de impulsar dentro del MEDEV (Grupo de Evaluación de Medicamentos) como inicialmente estaba previsto, de forma abierta y flexible.***

## **b. A través de la participación de representantes de los pagadores en el Asesoramiento Científico en Paralelo de la EMA y HTA y el Diálogo Temprano Científico Europeo de la EUnetHTA:**

Los programas piloto del Asesoramiento Científico en Paralelo de la EMA y HTA comenzaron en 2010 y ahora es una práctica habitual, con aproximadamente 55 programas pilotos hasta la fecha. Se han vuelto fundamentales <sup>(9)</sup> y cuentan con un gran apoyo por parte de la EMA, la Comisión, todas las agencias de HTA, la industria en general, superando el escepticismo inicial, resistencia y cautela. El siguiente paso será tener el Asesoramiento Científico en Paralelo de la EMA-EUnetHTA, por tanto entre las instituciones europeas.

La HAS (Haute Autorité de Santé, Francia) en nombre de EUnetHTA dirige desde 2014 un proyecto sobre el Diálogo Temprano Científico Europeo (SEED) <sup>10</sup> con más de 20 programas piloto en un año. Otros pocos programas pilotos los realiza directamente la EUnetHTA. La próxima Acción conjunta de EUnetHTA, que comienza en 2016, tiene pensado tener un número de SEED <sup>(11)</sup> todos los meses con los productores de medicamentos.

Hasta ahora los pagadores no han participado en estos dos procesos innovadores y satisfactorios de diálogo temprano con los productores de medicamentos.

<sup>(9)</sup> [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2014/05/WC500166228.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2014/05/WC500166228.pdf)

<sup>(9)</sup> <http://www.earlydialogues.eu>

***Por tanto instamos a las Autoridades Nacionales Competentes a participar en el Asesoramiento Científico en Paralelo de la EMA – HTA y Diálogo Temprano Científico Europeo. La representación de los pagadores podría ser a través del MEDEV o del grupo que forma la mesa de negociación.***

En líneas generales, todas las partes sacarán provecho del diálogo temprano entre los pagadores y productores de medicamentos. En sí misma, esta participación permite a los pagadores explorar el horizonte de los medicamentos que se están desarrollando. Los pagadores tendrán un mayor conocimiento de la enfermedad o condición, del medicamento, de la indicación que persigue, de la estrategia de la compañía sobre todo en lo referente al plan de desarrollo clínico y enfoque regulador. Los pagadores podrán expresar sus preguntas, preocupaciones, expectativas sobre, por ejemplo, el nivel aceptable de incertidumbre, necesidad de un registro, estudio sobre lo que significa vivir con la enfermedad, una estimación del ahorro del coste hospitalario, etc. Los productores de medicamentos tomarían conciencia antes de lo que hacer para abordar las cuestiones que plantean los pagadores y desarrollar soluciones dentro de la investigación clínica para agilizar el desarrollo y optimizar la asignación de recursos.

Este enfoque resulta imprescindible cuando se sacan al mercado medicamentos innovadores al final de la fase 2 con datos limitados pero convincentes y un alto grado de incertidumbre, cuando está prevista la autorización condicional, cuando se autoriza una terapia génica o con células madre que podrían necesitar un entorno hospitalario de alta tecnología, por tanto necesitando una previsión del modelo económico y una forma de acceso de los pacientes.

### **3. Los principales elementos que se están explorando actualmente en distintas plataformas de la UE y que necesitan ser integrados dentro de un nuevo modelo:**

1) Hay que reconocer que, en materia de terapias para poblaciones pequeñas, la generación de evidencia es continua a lo largo del ciclo de la vida del bien. De hecho, los datos recogidos en estudios clínicos, dentro de un grupo de pacientes homogéneo seleccionado según criterios comunes específicos, no refleja la realidad del uso médico en la vida real. Es por tanto necesario comercializar el medicamento (que está restringido por definición) antes, tan pronto como quede demostrada una eficacia satisfactoria, al menos en un subgrupo de la población destinataria y luego recoger datos reales / evidencia para así afinar la evaluación de la seguridad y eficacia, definir los grupos de pacientes destinatarios, la efectividad, así como el mejor lugar del tratamiento dentro de la estrategia terapéutica. Esto servirá para definir la práctica óptima del tratamiento.

2) Es importante apoyar y promover el desarrollo de un enfoque de Vías adaptables de los medicamentos para los pacientes (MAPPs, siglas en inglés), en especial en la EMA (Asesoramiento Científico y Concesión de Licencias Adaptables), a nivel de HTA (Diálogo Temprano, expediente del valor básico adaptado y el informe europeo de valoración común), pero también con los pagadores. “Solo los pacientes tienen la legitimidad de decidir el riesgo o daño que están dispuestos a aceptar por un determinado beneficio. Los pacientes saben mejor que nadie sopesar lo que es aceptable respecto a los beneficios y riesgos y la incertidumbre” <sup>(12)</sup>. Por esto la evaluación sobre la relación beneficio-riesgo en el CHMP necesita tomar en cuenta a los pacientes en el contexto del alto grado de incertidumbre. Esto ayudará a los pagadores a tomar decisiones fundadas.

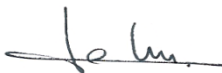
---

<sup>(12)</sup> [http://static.correofarmaceutico.com/docs/2015/05/05/informe\\_anual\\_2014\\_ema.pdf](http://static.correofarmaceutico.com/docs/2015/05/05/informe_anual_2014_ema.pdf)

- 3) Deberá desarrollarse un mecanismo basado en el proceso MoCA teniendo en cuenta al mismo tiempo la reciente tendencia hacia Vías Adaptables de los Medicamentos para los Pacientes. En este contexto, hay que destacar la **relación entre la Mesa de negociación para la fijación de precios y la generación de evidencia poscomercialización: las negociaciones entre los pagadores y la industria para determinar el precio ha de estar vinculada a la generación de evidencia poscomercialización**, y han de contar con la participación de expertos y pacientes, **basándose en los instrumentos para la evaluación de los medicamentos (como el EPARs, informes de HTA, Marco europeo de transparencia del valor), junto con un cierto grado de transparencia sobre los costes, y una estimación del volumen de pacientes tratados en Europa**. El precio y la generación de evidencia poscomercialización han de estar estrechamente vinculados para que los precios fluctúen según las posteriores valoraciones hechas en momentos claves a lo largo del ciclo de vida del medicamento. Este planteamiento demanda una estrecha colaboración con la labor de cooperación de la EMA y HTA, para adaptar los requisitos de poscomercialización.

Quedamos a vuestra entera disposición

Atentamente



Yann Le Cam  
Director Ejecutivo  
EURORDIS – Enfermedades Raras de Europa



Nicola Bedlington  
Directora Ejecutiva  
Foro Europeo de Pacientes