

## CON LA VENIA: *Share your colors, share your story*



Lluís Alcover

*Abogado de Faus & Moliner*

El 28 de febrero fue el Día Mundial de las enfermedades raras. Bajo el lema "share your colors, share your story" se organizaron numerosos eventos alrededor del mundo con un objetivo claro: generar *awareness* e impulsar cambios para las personas que viven con una enfermedad rara, así como su familiares y cuidadores. Al respecto, me gustaría compartir algunas reflexiones.

Que las enfermedades se denominen "raras" no significa que sea "raro" tenerlas. Es lo que se denomina la "paradoja de la rareza". Cada una ella tiene muy baja prevalencia, pero al existir muchas, la probabilidad de contraer cualquiera de ellas no es tan baja. Según datos de FEDER, +3M de personas sufren algún tipo de enfermedad rara en España. De todas ellas, apenas el 5% dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento, lo que demuestra la urgente necesidad de articular mecanismos para mejorar tanto la investigación de nuevos medicamentos como el acceso a los mismos. En el año 2020, se destinaron en el tratamiento de enfermedades raras 882M Eur. Se espera que esta cifra alcance 1.000M Eur el 2021. Estas cifras muestran la importancia de estas enfermedades, así como el gran reto de salud pública y sostenibilidad que conllevan.

El año 2021 no fue un mal año para los medicamentos huérfanos; pero queda mucho camino por recorrer. Esta es una de las conclusiones que puede extraerse del Informe de Evolución de la Financiación y Fijación de Precios de los Medicamentos Huérfanos en el SNS (2016-2021) publicado recientemente por el Ministerio de Sanidad. No fue un año malo porque se ha financiado un número récord de medicamentos huérfanos. Queda camino por recorrer porque muchos fármacos (a pesar de haber demostrado un balance beneficio/riesgo favorable) siguen sin financiarse; o, si finalmente se financian, la decisión llega más tarde de lo que hubiera sido deseable (el tiempo medio entre la autorización de la CE y la resolución de financiación y precio son 607 días). ¿El motivo? Según el Ministerio, la gran INCERTIDUMBRE (tanto clínica como presupuestaria) asociada a estos fármacos. Los datos a febrero 2022 muestran que prácticamente el 40% de los principios activos no financiados se descartaron por esta causa.

¿Qué se puede hacer? En mi opinión, si la CE aprueba un fármaco, significa que el mismo es eficaz para las indicaciones aprobadas, que es seguro en condiciones normales de uso, y que presenta un beneficio/riesgo favorable.