

## Acelerar la disponibilidad de medicamentos huérfanos en España es clave para los pacientes con enfermedades raras

- Es una de las principales conclusiones del encuentro organizado por la Fundación Mehuer, en colaboración con Sanofi Genzyme, en el que se ha presentado el ‘Estudio sobre la propuesta de cambio de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos’.
- El documento, elaborado por el Instituto de Investigación y Formación en Salud (IFSA), pone de manifiesto que los tiempos de espera para lograr la financiación pública de un medicamento huérfano están aumentando hasta alcanzar los 33,1 meses de media en España.
- La presentación del estudio forma parte de ‘En Voz Rara’, una iniciativa que persigue movilizar el debate sobre la revisión de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos y pediátricos y ser un altavoz de la comunidad de enfermedades raras.

**Madrid, 15 de julio de 2021.** Mientras en Europa crece el interés por las terapias huérfanas y la industria mantiene su apuesta decidida por la innovación en el campo de las enfermedades raras, en España se ralentiza el acceso a los medicamentos para los pacientes en todos los ámbitos. Esta es una de las principales conclusiones del ‘**Estudio sobre la propuesta de cambio de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos**’, realizado en mayo de 2021 por el Instituto para la Investigación y Formación en Salud (IFSA). El documento, que se ha presentado en el marco de un encuentro con expertos organizado por **Fundación Mehuer, en colaboración con Sanofi Genzyme**, forma parte de ‘**En Voz Rara**’ (<https://envozrara.com/>), una iniciativa que persigue movilizar el debate sobre la revisión de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos y pediátricos y ser un altavoz de la comunidad que vive y trabaja con enfermedades raras.

En este contexto, en el encuentro ‘El hoy y el mañana de las Enfermedades Raras’, en el que han participado Manuel Pérez, presidente de la Fundación Mehuer, y Álvaro Lavandeira, abogado de IFSA Salud, han destacado la importancia de acelerar la disponibilidad de medicamentos huérfanos que permitan tratar de forma efectiva a las más de tres millones de personas que sufren enfermedades raras en España<sup>1</sup>. “*El Sistema Nacional de Salud debe sostener el principio de universalidad de las prestaciones sanitarias. Sin embargo, esto no se está cumpliendo: los tiempos de espera para lograr la financiación pública de un medicamento huérfano están aumentando, alcanzando los 33,1 meses de media, siendo el precio su principal freno*”, ha señalado **Manuel Pérez, presidente de la Fundación Mehuer**. De los 5 medicamentos huérfanos que lograron financiación pública en 2020, 3 de ellos tuvieron que esperar más de 4 años para obtener una decisión de precio y reembolso.

**Raquel Tapia, directora general de Sanofi Genzyme** en España, ve en la actual revisión de la normativa “*una oportunidad para impulsar la investigación en el 95% de enfermedades raras para las que aún no se dispone de un tratamiento efectivo. La apuesta de nuestro sector por la investigación es clara, tal y como ha concluido el estudio, y los cambios normativos deben agilizar*

*la llegada de las nuevas soluciones terapéuticas que permitan mejorar la calidad de vida de las personas que sufren enfermedades raras*". Desde hace más de 35 años, Sanofi Genzyme está comprometida con la investigación y desarrollo de soluciones terapéuticas innovadoras que permitan cubrir las necesidades de las personas con patologías minoritarias, además de colaborar con la comunidad médica y ofrecer apoyo y acompañamiento a los pacientes y sus familiares.

## **Impacto del cambio de la normativa europea**

En el año 2000 se aprobó una nueva legislación europea que regulaba la aprobación de fármacos para Enfermedades Raras que, entre otras cosas, propició un despegue claro de la investigación: una cuarta parte de las aprobaciones anuales de nuevos fármacos son ya para patologías poco frecuentes (de apenas 8 medicamentos en el año 2000 a los 169 de hoy)<sup>1</sup>. En España, este salto también ha sido exponencial: en sólo una década los proyectos de investigación clínica han crecido un 88% en el ámbito de las enfermedades poco frecuentes<sup>1</sup>. El 25 de noviembre de 2020, la Comisión Europea comunicó la decisión de revisar la legislación vigente de medicamentos huérfanos y pediátricos con el objetivo de acelerar la investigación en este campo y agilizar los procesos de aprobación de los medicamentos huérfanos.

En este contexto nace '**En Voz Rara**', una iniciativa que tiene como objetivo movilizar el debate sobre la revisión de la normativa y ser un altavoz de la comunidad de enfermedades raras. A través de una plataforma digital, las principales organizaciones, entidades y expertos podrán acceder a recursos informativos y establecer un diálogo sobre los puntos clave de la revisión de la normativa. El 'Estudio sobre la propuesta de cambio de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos' y su jornada de presentación forman parte de este proyecto, que continuará con un ciclo de encuentros virtuales y terminará con una jornada de presentación de conclusiones en 2022.

## **Las enfermedades raras**

Las enfermedades raras, minoritarias o poco frecuentes agrupan un heterogéneo conjunto de enfermedades potencialmente mortales o debilitantes de forma crónica, que afectan a un máximo de 5 cada 10.000 habitantes en Europa. Se estima que existen entre 5.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes que afectan a un 6 % - 8 % de la población mundial. En España, el número de personas que sufren una enfermedad rara es superior a 3 millones de personas<sup>1</sup>.

## **Acerca de Fundación Mehuer**

La Fundación Mehuer es una entidad creada por el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla para promover la investigación y la divulgación en torno a las enfermedades raras y abrir el abanico de colaboración a la sociedad. En el año 2000, la entidad organizó el I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades raras, una cita que alcanzará su décima edición en 2021. Además, impulsa numerosas iniciativas encaminadas a la misma finalidad: nueve becas de investigación, tres premios periodísticos, la Declaración de Sevilla sobre Enfermedades Raras, así como numerosas participaciones en congresos nacionales e internacionales.

---

<sup>1</sup>LAVANDEIRA, A. (2021). *Estudio sobre la propuesta de cambio de la normativa europea sobre medicamentos huérfanos*. Instituto para la investigación y Formación en Salud (IFSA).

## **Acerca de Sanofi**

En Sanofi nos dedicamos a apoyar a las personas en sus problemas de salud. Somos una empresa biofarmacéutica global centrada en salud humana. Prevenimos enfermedades gracias a las vacunas y proporcionamos tratamientos innovadores para combatir el dolor y reducir el sufrimiento. Acompañamos tanto a los pocos que padecen enfermedades raras como a los millones de personas que viven con patologías crónicas.

Con más de 100.000 personas en 100 países, Sanofi está transformando la innovación científica en soluciones para la salud de las personas de todo el mundo.

*Sanofi, Empowering Life*

## **Contacto de prensa:**

### **Fundación Mehuer**

Tomás Muriel  
605 603 383  
tmuriel@euromediagrupo.es

### **Sanofi Genzyme**

Gemma Llop  
650714394  
Gemma.LlopGil@sanofi.com

Anna Valls  
606 57 35 68  
Anna.Valls@hkstrategies.com