



Alianza  
General de  
Pacientes

**fundamed**  
Fundación de ciencias del  
medicamento y  
productos sanitarios

**Secretaría  
Técnica**

## Expertos elaboran un documento sobre fibrosis quística a instancias de la AGP

- En las conclusiones del Grupo de Trabajo se solicita un fondo centralizado para la financiación de medicamentos huérfanos.
- Debería existir un cribado neonatal en España que sea equitativo en todas las comunidades autónomas.

**Madrid, 1 de julio 2014.-** La Fibrosis Quística es una enfermedad crónica y hereditaria que representa un grave problema de salud. 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.

Con todo, la enfermedad vive un momento de cambio notable. La investigación ha permitido la aparición de medicamentos que modifican de forma importante su curso. A pesar de ello, se observan dificultades para la entrada de nuevos fármacos en España, un retraso que puede condicionar la mejora de estos pacientes. A esto se suma que se trata de una patología en gran medida desconocida por la sociedad. Teniendo en cuenta que existen áreas de mejora en la atención sanitaria de esta patología, la Alianza General de Pacientes (AGP) ha reunido en un grupo de trabajo a José Luis Poveda, presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria; Cristina Avendaño, presidenta de la Sociedad Española de Farmacología Clínica; Esther Sabando, vicepresidenta de la Federación Española de FQ y a Amparo Solé, presidenta de la Sociedad Española de FQ con el fin de elaborar un documento de conclusiones.

Sobre la mesa se puso la limitación del uso de ivacaftor (comercializado por Vertex como Kalydeco) en nuestro país, ya que, a pesar de contar desde hace un año con la aprobación de las Agencias Española y Europea del Medicamento, todavía se encuentra pendiente de la decisión de la incorporación a SNS por parte del ministerio.



**Alianza  
General de  
Pacientes**

**fundamed**  **Secretaría  
Técnica**

Ante esta situación, los expertos señalaron la necesidad de definir estrategias de actuación para agilizar los procesos de incorporación a la práctica asistencial de las técnicas y tratamientos necesarios, garantizando una decisión común para todo el sistema. Por ello, solicitan que se establezca una metodología con unos criterios establecidos por ministerio, CC.AA., Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, la industria farmacéutica, las sociedades científicas implicadas y los pacientes.

De este modo, consideran que deben incluirse, a la hora de tomar una decisión sobre la inclusión de un fármaco en el sistema, consideraciones que evalúen el alcance sanitario —a través de los informes de posicionamiento terapéutico— y económico de las decisiones tomadas, analizando independientemente el valor terapéutico añadido y los datos farmacoeconómicos.

En un paso más, el documento plasma la propuesta de que se establezca un fondo centralizado para la financiación de los medicamentos huérfanos en España, teniendo en cuenta el peso que suponen estos medicamentos para el presupuesto de un hospital y por ende, las desigualdades en el acceso a estos tratamientos que se derivan de esta situación.

Por otro lado, los expertos coincidieron en la importancia del diagnóstico precoz en la calidad de vida y la supervivencia de los pacientes, concluyendo que se deberían desarrollar iniciativas que fomentasen que haya un cribado neonatal equitativo en todo el SNS.

## Conclusiones alcanzadas

<b><u>CUESTIONES ANALIZADAS</u></b>	<b><u>SINOPSIS DE LAS CONCLUSIONES ALCANZADAS</u></b>
<b>1. Estado de la concienciación ciudadana en Fibrosis Quística; existencia de áreas de mejora en la asistencia sanitaria.</b>	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.
<b>2. Inclusión y práctica equitativa del cribado neonatal.</b>	Se considera desarrollar iniciativas que fomenten la práctica equitativa del cribado neonatal en España.
<b>3. Razones de la restricción del acceso a tratamientos innovadores de demostrada eficacia.</b>	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



**Alianza  
General de  
Pacientes**

**fundamed**  **Secretaría  
Técnica**

<u>CUESTIONES ANALIZADAS</u>	<u>SINOPSIS DE LAS CONCLUSIONES ALCANZADAS</u>
	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.

### Sobre la AGP

La Alianza General de Pacientes (AGP) es una iniciativa generalista (no específica de una patología o condición), transversal (en colaboración con otras instituciones sanitarias) e independiente de cualquier ideología política, que se establece para generar el diálogo con las organizaciones de pacientes, potenciando la participación de los pacientes en las decisiones sanitarias, siguiendo la tendencia internacional. Actualmente aglutina a 30 organizaciones de pacientes, con más de 400.000 socios que representan a millones de afectados de 19



**Alianza  
General de  
Pacientes**

**fundamed**  **Secretaría  
Técnica**

patologías, con vocación de contribuir a afrontar los problemas de salud de una parte muy importante de la población en España.

C.I.E.: G82912148 / FUNDACIÓN CIENCIAS DEL MEDICAMENTO Y PRODUCTOS SANITARIOS, inscrita en el Ministerio de Educación, Cultura y Deporte, en el Registro de Fundaciones con el número 681.