

# EL ACCESO A UN **tratamiento** ESPECÍFICO



Los medicamentos huérfanos son aquellos destinados al diagnóstico, prevención y tratamiento de las enfermedades raras<sup>1</sup>

## PROBLEMÁTICA

Dificultades del desarrollo de medicamentos huérfanos<sup>2</sup>:

- Baja prevalencia de la enfermedad
- Escaso conocimiento de la enfermedad
- Riesgo para la vida de los pacientes
- Dispersión geográfica de los pacientes
- Inexistencia de comparador apropiado
- Mayor dificultad para obtener evidencia científica

El Reglamento 141/2000 aprobado por el Parlamento Europeo y el Consejo de la Unión Europea dictamina que "Los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes"<sup>1</sup>

## INVESTIGACIÓN

Un ensayo clínico es un **estudio médico** que sigue un **protocolo** enfocado a probar los efectos de algún fármaco, tratamiento biológico o producto sanitario nuevo o ya existente que pueda tratar o curar alguna enfermedad ya identificada<sup>3</sup>

Antes de iniciar un ensayo clínico el patrocinador debe recoger un **consentimiento informado** de todos los participantes que asegure que cada participante está suficientemente informado de<sup>3</sup>:

- Los objetivos del ensayo y su metodología
- La duración estimada del estudio
- Las beneficios esperados, posibles riesgos y reacciones adversas
- Otros tratamientos disponibles
- El derecho a rechazar participar o dejar el estudio en cualquier momento

### Beneficios de participar en un ensayo clínico<sup>4</sup>

- Acceso a tratamientos experimentales
- Atención médica periódica y cuidadosa
- Colaboración con la sociedad y otros pacientes

## ESTRUCTURA ENSAYOS CLÍNICOS<sup>3</sup>

| FASE                 | FASE I            | FASE II         | FASE III           | FASE IV  |
|----------------------|-------------------|-----------------|--------------------|--|
| <b>OBJETIVO</b>      | Seguridad         | Tolerancia      | Eficacia           | Comparación con otros fármacos<br>Efectos a largo plazo<br>Coste-efectividad |
| <b>PARTICIPANTES</b> | Voluntarios sanos | 10-40 pacientes | 100-1000 pacientes | Sociedad (post comercialización)   |

El diseño de estudio más usado en medicamentos huérfanos es el ensayo clínico **aleatorizado controlado con placebo**<sup>5</sup>

La EMA, dependiendo de la prevalencia de la enfermedad de interés, tiene una actitud flexible a la hora de autorizar nuevos medicamentos huérfanos, como en el caso de enfermedades ultra-raras<sup>5</sup>

**MEDICAMENTOS DE USO COMPASIVO:** En determinados casos, la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) puede autorizar la utilización de un medicamento en investigación o un medicamento para una indicación no contemplada en su ficha técnica, al margen de un ensayo clínico, cuando se considere indispensable para un paciente concreto<sup>6</sup>