



# BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

## CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

XIV LEGISLATURA

Serie B:  
PROPOSICIONES DE LEY

10 de marzo de 2023

Núm. 335-1

Pág. 1

### PROPOSICIÓN DE LEY

**122/000311** Proposición de Ley de modificación del Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios y el Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, en lo relativo a enfermedades raras y medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

**Presentada por el Grupo Parlamentario VOX.**

La Mesa de la Cámara, en su reunión del día de hoy, ha adoptado el acuerdo que se indica respecto del asunto de referencia.

(122) Proposición de ley de Grupos Parlamentarios del Congreso.

Autor: Grupo Parlamentario VOX.

Proposición de Ley de modificación del Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios y el Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, en lo relativo a enfermedades raras y medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Acuerdo:

Admitir a trámite, trasladar al Gobierno a los efectos del artículo 126 del Reglamento, publicar en el Boletín Oficial de las Cortes Generales y notificar al autor de la iniciativa.

En ejecución de dicho acuerdo se ordena la publicación de conformidad con el artículo 97 del Reglamento de la Cámara.

Palacio del Congreso de los Diputados, 7 de marzo de 2023.—P.D. El Secretario General del Congreso de los Diputados, **Carlos Gutiérrez Vicén**.

A la Mesa del Congreso de los Diputados

El Grupo Parlamentario VOX (G.P. VOX), al amparo de lo establecido en los artículos 124 y siguientes del vigente Reglamento del Congreso de los Diputados presenta la siguiente Proposición de Ley de modificación del Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios y el Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, en lo relativo a enfermedades raras y medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Palacio del Congreso de los Diputados, 28 de febrero de 2023.—**José María Figaredo Álvarez-Sala**, Portavoz del Grupo Parlamentario VOX.

PROPOSICIÓN DE LEY DE MODIFICACIÓN DEL REAL DECRETO LEGISLATIVO 1/2015, DE 24 DE JULIO, POR EL QUE SE APRUEBA EL TEXTO REFUNDIDO DE LA LEY DE GARANTÍAS Y USO RACIONAL DE LOS MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS Y EL REAL DECRETO 1030/2006, DE 15 DE SEPTIEMBRE, EN LO RELATIVO A ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

Preámbulo

I

En la Unión Europea la enfermedad rara se define como aquella con una prevalencia menor de 5 casos por cada 10.000 habitantes, con peligro de muerte o invalidez crónica. Se estima que existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes; aunque de forma aislada son poco frecuentes, en conjunto adquieren una gran importancia, ya que afectan a entre un 5 y un 7 por ciento de la población.

De otra parte, se clasifica como medicamento huérfano al destinado al tratamiento o prevención de una enfermedad potencialmente mortal o crónica debilitante. Dentro de esta categoría, el medicamento ultrahuérfano es aquel destinado al tratamiento de enfermedades que afectan a menos de 1 de cada 50.000 personas.

La inclusión de las presentaciones de medicamentos huérfanos en los conjuntos de referencia supone una desincentivación de la investigación para el desarrollo de nuevos tratamientos, debido a las especificidades de este tipo de fármacos. Por una parte, se trata de medicamentos destinados a un número reducido de pacientes y, por otra, precisan de una elevada inversión económica, que lleva asociado un alto riesgo de fracaso.

Desde la industria farmacéutica advierten, a estos efectos, que el número de resoluciones negativas que obtienen los medicamentos huérfanos candidatos a financiación tiene un efecto desincentivador a la hora de priorizar el mercado español en las fases de lanzamiento de nuevos productos. Aunque el desafío para la investigación sigue siendo enorme, el actual marco regulatorio europeo, basado en incentivos, ha fomentado la inversión privada en la investigación de estos tratamientos y ha supuesto que solo en la última década los proyectos de I+D en este ámbito hayan crecido un 88 %.

En España, la Resolución de 2 de junio de 2020, de la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, por la que se publica el Acuerdo del Consejo de Ministros de 3 de marzo de 2020, por el que se establece el régimen económico de los medicamentos huérfanos, al amparo de la previsión del artículo 3.3 del texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, acuerda en el apartado primero de su Anexo «declarar a los medicamentos huérfanos, [...], exonerados de la incorporación al sistema de precios de referencia establecido en el Real Decreto 177/2014, de 21 de marzo, [...], cuando en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud no exista una alternativa terapéutica, o, en el caso de que exista, el medicamento huérfano aporte un beneficio clínico relevante, acordado así en el seno de la Comisión Permanente de Farmacia del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud, y ratificado en la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos, considerándose para ello la evidencia y el conocimiento científico disponible así como el informe de posicionamiento terapéutico si lo hubiere».

La Sentencia de la Audiencia Nacional de 2 de diciembre de 2021 estableció, con base en el Derecho de la Unión Europea, que las normas relativas a los precios de referencia no deben aplicarse a los medicamentos huérfanos. Los medicamentos que hayan sido designados como huérfanos no deben ser incluidos en ningún conjunto de las órdenes de precios de referencia porque afectaría negativamente a la consecución del objetivo perseguido por el Reglamento (CE) 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999 sobre medicamentos huérfanos con relación a los incentivos para fomentar la investigación, el desarrollo y la comercialización de los medicamentos declarados huérfanos. Al fin y al cabo, el objetivo de este Reglamento europeo es claro: fomentar la investigación, desarrollo y comercialización de medicamentos huérfanos.

## II

Los pacientes con enfermedades raras se enfrentan a barreras para el acceso a los pocos tratamientos disponibles y a las trabas burocráticas con las que se encuentran durante el procedimiento de autorización, financiación y fijación de precios, junto a la dificultad para recibir un diagnóstico precoz, que evite el desarrollo de la enfermedad, así como secuelas irreversibles.

A todo ello se suma que las evaluaciones regionales provocan que, dependiendo del lugar de residencia, un paciente que sufra la misma patología no pueda acceder a un tratamiento que sí financia la región vecina o se vea obligado a que el médico especialista tenga que solicitar la autorización pertinente para recibir el tratamiento como medicación extranjera. Esta situación, derivada de las ineficiencias del «Estado autonómico» y que perjudican a la igualdad entre los españoles, provoca no solo retrasos inadmisibles en disponer del medicamento, sino un coste adicional para las arcas del Estado.

Los informes anuales de acceso a terapias innovadoras publicados en la Unión Europea, concluyen que el acceso a medicamentos huérfanos en nuestro país se separa de las tendencias registradas en países de nuestro entorno socioeconómico.

De igual forma, en España, recogiendo datos e indicadores en nuestro país, también se alza la voz contra los tiempos medios de disponibilidad de estos medicamentos, desde la obtención de la autorización europea. España se encuentra así en una situación peculiar y restrictiva, respecto de los países de nuestro entorno, con relación a la disponibilidad de medicamentos huérfanos (y ultrahuérfanos) financiados por nuestro Sistema Nacional de Salud.

El tiempo medio, desde la autorización por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) hasta su inclusión en el nomenclátor de la prestación farmacéutica se elevaba ya en 2021 a 572 días. Ello supone un incumplimiento del plazo legalmente previsto de 6 meses, desde que la compañía ha comunicado su intención de comercializar en España.

En el caso de los medicamentos no oncológicos es incluso mayor y se eleva dicho retraso hasta los 613 días. Adicionalmente, debe destacarse que el 48 % de los medicamentos huérfanos se han financiado restringiendo la población de pacientes para los que están disponibles con respecto a las condiciones autorizadas.

De otra parte, los datos recabados en 2021 de fuentes públicas como la Agencia Europea del Medicamento (EMA) y la AEMPS y Ministerio de Sanidad señalaban que, de los 129 medicamentos huérfanos que recibieron autorización de comercialización en Europa, 111 tenían asignado Código Nacional (CN) en España y 56 estaban financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS); es decir, tan solo el 43 %.

Los datos recabados en 2022 no son más alentadores, y mantienen el porcentaje de financiación por el SNS en el 43 %. En el último año, se alcanzó la cifra de 195 productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por la EMA, de los que 146 cuentan con autorización para la comercialización comunitaria. Los medicamentos que cuentan con Código Nacional se han incrementado hasta los 123.

De ahí que sea necesario establecer un procedimiento diferenciado que garantice el acceso temprano a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos mediante:

- a) Un sistema estricto de control para garantizar el cumplimiento de los plazos establecidos para su autorización y fijación de precio; y
- b) Una mayor transparencia en los procesos y en los criterios de evaluación, para que estos sean concretos y rigurosos.

Por último, una barrera adicional con la que se encuentran los medicamentos huérfanos es una financiación insuficiente. No se trata únicamente de una falta de financiación de nuevos tratamientos, como ya se ha visto anteriormente, sino de una visión errónea de la inversión en Sanidad, entendida como gasto, que no toma en consideración el ahorro que a corto y medio plazo lleva asociado la financiación de nuevos tratamientos.

La evaluación fármaco-económica debería integrar la perspectiva social, así como los costes indirectos, creándose al efecto un circuito diferenciado de financiación, con discriminación positiva para los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, que incluya una evaluación específica para estos medicamentos, tanto a nivel nacional como regional.

A tales fines, resultaría necesario establecer, de forma previa al inicio del proceso de financiación, un diálogo temprano con la Administración, desde el momento en que el medicamento obtiene una opinión

# BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

## CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

favorable desde Europa. A fin de acortar los plazos dilatados de forma innecesaria por la burocracia actualmente prevista, ha de protocolizarse una vía temprana de diálogo entre los proveedores y la administración que acortara los tiempos, para adecuarlos por debajo de los seis meses actualmente establecidos. El atraso en la aplicación de los tratamientos incide directamente en el acortamiento de la esperanza de vida de los pacientes y en un sustancial incremento de su grado de discapacidad, que da lugar a un gasto notable para el conjunto de la sociedad.

También, y durante el proceso de financiación, se infiere la necesidad de establecer un procedimiento acelerado y de crear un comité consultivo externo específico que garantice las específicas circunstancias que concurren en este tipo de medicamentos. Al finalizar el proceso de financiación, se deberá igualmente asegurar la recogida de datos de efectividad y garantizar que estos se compartan con clínicos, pacientes y laboratorios. Será preciso, para ello que, en el seno del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud, se apruebe un procedimiento específico de financiación de derivaciones entre las regiones, toda vez que los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos y las patologías a las que se destinan, suponen el tratamiento en centros de referencia (CSUR).

### III

El acceso temprano al diagnóstico de las enfermedades raras —que evite el desarrollo de la enfermedad y sus secuelas— y a los tratamientos con medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos presupone que debe dotarse de un procedimiento diferenciado, especial, específico y preferente para la autorización, financiación pública y fijación de precios de dichos fármacos.

Los últimos datos sobre el acceso de estos fármacos siguen arrojando cifras preocupantes en el retraso en la asignación de Código Nacional en España, y más preocupantes aún en la cifra de los que se encuentran financiados por el Sistema Nacional de Salud.

Ello también evidencia una falta de transparencia en los procesos, que revierta en un procedimiento dotado de una verdadera y eficaz agilidad en el acceso por parte del paciente a los tratamientos autorizados.

En este sentido, la financiación insuficiente de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos se debe a la errónea visión de la inversión en Sanidad, entendida como gasto, y no toma en consideración el ahorro que a corto y medio plazo lleva asociado la financiación de nuevos tratamientos.

### IV

Un paciente con una enfermedad rara espera una media de cuatro años hasta obtener un diagnóstico, y en el 20 % de los casos transcurren diez o más años hasta lograr el diagnóstico adecuado.

Para ello, el cribado neonatal es la principal prueba diagnóstica a nivel universal para la detección precoz de las enfermedades raras. Resulta pues una actividad esencial de prevención secundaria, en el contexto de la salud pública, cuyo objetivo es la identificación presintomática de determinadas enfermedades congénitas en los recién nacidos. En este sentido, la realización de pruebas de *screening* en los primeros días de vida permite el inicio de un tratamiento precoz para prevenir o reducir la morbimortalidad asociada a dichas enfermedades.

Sin embargo, el Sistema Nacional de Salud solo incluye en la Cartera de Servicios Comunes la detección de siete enfermedades endocrino-metabólicas mediante el programa poblacional de cribado neonatal, según Orden SSI/2065/2014, de 31 de octubre, lo que puede explicarse porque la Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud no se actualiza desde 2014.

El consenso sobre este número mínimo de enfermedades raras susceptibles de cribado en la Cartera de Servicios Comunes intentaba homogeneizar el acceso a las pruebas genéticas en todo el territorio nacional. Las regiones deben ofrecer este conjunto mínimo, pero eso no les impide que puedan adoptar un programa ampliado. Sin embargo, existen grandes diferencias en los distintos programas regionales de cribado: mientras algunas regiones incluyen hasta cuarenta patologías en sus programas de cribado, un elevado número de ellas solo detectan el mínimo establecido en la Cartera de Servicios Comunes, es decir, siete. En este sentido, y según manifestaciones del Ministerio de Sanidad, se está elaborando en los últimos meses un proyecto con el objetivo, entre otros, de incluir el diagnóstico de cuatro nuevas patologías: el déficit de biotinidasa, la homocistinuria, la enfermedad de la orina con olor a jarabe de arce y la hiperplasia suprarrenal congénita (HSC).

# BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

## CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

Serie B Núm. 335-1

10 de marzo de 2023

Pág. 5

La inclusión de estas cuatro enfermedades nos situaría en el contexto adecuado para impulsar nuevas medidas de mejora en el diagnóstico precoz de las enfermedades raras. El incremento del número de pruebas, con base a la experiencia previa de las regiones en las que se ha establecido un mejor y más amplio programa de cribado, debe dar lugar a su homogeneización den todo el todo el territorio nacional, que determine el acceso igualitario y equitativo de todos los españoles a la cartera común de servicios del Sistema Nacional de Salud en esta materia.

V

La presente ley consta de dos artículos y de tres disposiciones finales.

En virtud de lo expuesto, el Grupo Parlamentario VOX presenta la siguiente

Proposición de Ley

Artículo 1. Modificación del texto refundido de la Ley de Garantías y Uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio.

Uno. Se modifica el apartado 5 del artículo 89 del texto refundido de la Ley de Garantías y Uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, que quedará con la siguiente redacción:

«Artículo 89. Sustitución por el farmacéutico.

[...] 5. Cuando la prescripción se realice por denominación comercial, si el medicamento prescrito tiene un precio superior al precio menor de su agrupación homogénea, el farmacéutico sustituirá el medicamento prescrito por el de precio más bajo de su agrupación homogénea. El farmacéutico podrá realizar tanto la sustitución del medicamento de síntesis química como del medicamento biosimilar, atendiendo a sus especiales características de intercambiabilidad, por el equivalente en seguridad, eficacia, calidad, posología y vías de administración a la del medicamento biológico original o producto de referencia.»

Dos. Se modifica el apartado 1 del artículo 94 del texto refundido de la Ley de Garantías y Uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, que quedará con la siguiente redacción:

«Artículo 94. Fijación de precios.

1. Corresponde al Gobierno establecer los criterios y procedimiento para la fijación de precios de medicamentos y productos sanitarios financiados por el Sistema Nacional de Salud, tanto para los medicamentos de dispensación por oficina de farmacia a través de receta oficial, como para los medicamentos de ámbito hospitalario, incluidos los envases clínicos, o dispensados por servicios de farmacia a pacientes no ingresados.

Se tendrán en consideración, los mecanismos de retorno (descuentos lineales, revisión de precio) para los medicamentos innovadores.

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos tendrá en consideración los análisis coste-efectividad y de impacto presupuestario.

En el caso de los medicamentos declarados como huérfanos o ultrahuérfanos, la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos tendrá especialmente en consideración, a efectos de la fijación de precios, el reducido número de pacientes, el adecuado retorno de las inversiones en investigación, el ahorro a medio y a largo plazo para el Sistema Nacional de Salud en el tratamiento de las enfermedades raras y los costes no sanitarios asociados a estas patologías.»

Tres. Se modifica el apartado 2 del artículo 98 del texto refundido de la Ley de Garantías y Uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, que quedará con la siguiente redacción:

«Artículo 98. Sistema de precios de referencia.

[...] 2. Los conjuntos incluirán todas las presentaciones de medicamentos financiadas que tengan el mismo nivel 5 de la clasificación anatómico-terapéutico-química de medicamentos de la Organización Mundial de la Salud (ATC5) e idéntica vía de administración, entre las que existirá incluida en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud, al menos, una presentación de medicamento genérico o biosimilar, salvo que el medicamento o su ingrediente activo principal hayan sido autorizados con una antelación mínima de diez años en un Estado miembro de la Unión Europea, en cuyo caso no será indispensable la existencia de un medicamento genérico o biosimilar para establecer un conjunto. Las presentaciones indicadas para tratamientos en pediatría, así como las correspondientes a medicamentos de ámbito hospitalario, incluidos los envases clínicos, constituirán conjuntos independientes. No se incluirán en los conjuntos presentaciones de medicamentos que hayan sido declarados huérfanos o ultrahuérfanos.»

Cuatro. Se añade una nueva letra j) al apartado 8 del artículo 102 del texto refundido de la Ley de Garantías y Uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, con el siguiente tenor literal:

«Artículo 102. Aportación de los usuarios y sus beneficiarios en la prestación farmacéutica ambulatoria.

[...] 8. Estarán exentos de aportación los usuarios y sus beneficiarios que pertenezcan a una de las siguientes categorías:

[...] j) Las personas polimedicadas y con patologías crónicas, en situación de discapacidad o dependencia o que sufran enfermedades raras.»

Cinco. Se incorpora una nueva disposición adicional con la siguiente redacción:

«Disposición adicional segunda. Procedimiento para la financiación pública de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Con objeto de garantizar el acceso de los pacientes con enfermedades raras a los tratamientos con medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos de modo ágil, equitativo y acorde con el principio de igualdad territorial, el Ministerio de Sanidad establecerá en el plazo de seis meses un procedimiento especial para la autorización, financiación y fijación de los precios de estos medicamentos.»

Artículo 2. Modificación del Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, por el que se establece la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización.

Se modifica el apartado 3.3.1 del Anexo I del Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, por el que se establece la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización, que quedará con la siguiente redacción:

«3.3.1 Las enfermedades que forman parte del programa poblacional de cribado neonatal de enfermedades endocrino-metabólicas de la cartera común básica de servicios asistenciales del Sistema Nacional de Salud son:

- 3.3.1.1 Hipotiroidismo congénito.
- 3.3.1.2 Fenilcetonuria.
- 3.3.1.3 Fibrosis quística.
- 3.3.1.4 Deficiencia de acil-coenzima A-deshidrogenasa de cadena media (MCADD).
- 3.3.1.5 Deficiencia de 3-hidroxi-acil-coenzima A-deshidrogenasa de cadena larga (LCHADD).
- 3.3.1.6 Acidemia glutárica tipo I (GA-I).
- 3.3.1.7 Anemia falciforme.

# BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

## CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

Serie B Núm. 335-1

10 de marzo de 2023

Pág. 7

La implantación del programa poblacional de cribado neonatal de enfermedades endocrino-metabólicas de la cartera común básica de servicios asistenciales del Sistema Nacional de Salud se acompañará del desarrollo por parte del Ministerio de Sanidad, de un sistema de información que permita en los niveles autonómico y estatal realizar un correcto seguimiento y evaluación de estos programas poblacionales. El Ministerio de Sanidad elaborará un informe técnico anual de evaluación del rendimiento del programa de cribado que pondrá a disposición del ciudadano y las administraciones en su página web. Asimismo, establecerá protocolos consensuados en el marco del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud que permitan abordar en todas las comunidades autónomas, de manera homogénea y de acuerdo con criterios de calidad, los procesos de cribado.

De conformidad con lo anteriormente expuesto, el Ministerio de Sanidad, en colaboración con las correspondientes administraciones sanitarias territoriales, revisará anualmente este listado, según el rendimiento en la obtención de diagnósticos. A tal efecto, incorporará estas pruebas de cribado a la cartera común de servicios del SNS, para su protocolización en todas las regiones, dotando de equidad e igualdad de oportunidades a todos los españoles.»

Disposición final primera. Habilitación normativa.

El Gobierno está facultado para dictar, en el plazo máximo de seis meses desde la entrada en vigor de esta ley, cuantas disposiciones reglamentarias sean precisas para asegurar el pleno desarrollo y ejecución de lo dispuesto en esta.

Disposición final segunda. Salvaguarda de rango de disposiciones reglamentarias.

Mantienen su rango de real decreto las normas reglamentarias que son objeto de modificación por esta ley. En consecuencia, podrá ser modificada por normas de su mismo rango.

Disposición final tercera. Entrada en vigor.

La presente ley entrará en vigor el 1 de enero de 2023, de manera que el impacto presupuestario derivado de la misma en el sistema tributario español se aplicará al ejercicio presupuestario inmediatamente posterior a su entrada en vigor.

cve: BOCG-14-B-335-1