



BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

XV LEGISLATURA

Serie B:
PROPOSICIONES DE LEY

8 de marzo de 2024

Núm. 71-1

Pág. 1

PROPOSICIÓN DE LEY

122/000060 **Proposición de Ley de Modificación del 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, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015 de 24 de julio, en lo relativo a Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos.**

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 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, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015 de 24 de julio, en lo relativo a Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos.

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, 5 de marzo de 2024.—P.D. El Secretario General del Congreso de los Diputados, **Fernando Galindo Elola-Olaso**.

A la Mesa del Congreso de los Diputados

El Grupo Parlamentario 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 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, aprobado por Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, en lo relativo a Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos.

Palacio del Congreso de los Diputados, 28 de febrero de 2024.—**María José Rodríguez de Millán Parro**, Portavoz del Grupo Parlamentario VOX.

PROPOSICIÓN DE LEY DE MODIFICACIÓN DEL 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, APROBADO POR REAL DECRETO LEGISLATIVO 1/2015 DE 24 DE JULIO, EN LO RELATIVO A ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRA-HUÉRFANOS

Exposición de motivos

I

En el entorno de la Unión Europea, se considera una enfermedad como rara cuando tiene 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% de la población. Alrededor de 3 millones de españoles padecen enfermedades que, individualmente consideradas, presentan una incidencia muy baja y, además, solo un 5% de ellas disponen de algún tipo de tratamiento potencial. De otra parte, se clasifica como medicamento huérfano (MMHH) al destinado al tratamiento o prevención de una enfermedad potencialmente mortal o crónica debilitante. Se trata de medicamentos innovadores, la mayoría de ellos de origen biotecnológico. Dentro de esta categoría, el medicamento ultra-huérfano es aquel destinado al tratamiento de enfermedades que afectan a menos de 1 de cada 50.000 personas.

La inclusión de las presentaciones de MMHH 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 MMHH 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%.

II

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 MMHH, 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 MMHH [...], 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, sobre la base del Derecho de la Unión Europea, que las normas relativas a los precios de referencia no deben aplicarse a los MMHH, porque ello 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 estos.

III

Los pacientes españoles con enfermedades raras se enfrentan a innumerables obstáculos, entre ellos, barreras en el acceso a los pocos tratamientos disponibles, trabas burocráticas con las que se encuentran durante el proceso de autorización, financiación y fijación de precios, además de la dificultad para recibir un diagnóstico precoz, que evite la evolución de la enfermedad y el padecimiento de 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, no solo repercute negativamente en el principio de igualdad de los españoles, sino que provoca retrasos inadmisibles en el acceso al medicamento y además supone un coste adicional para las arcas del Estado.

Así, diversos informes europeos afirman que el acceso a MMHH en España no sigue las tendencias registradas en otros países de nuestro entorno socioeconómico. El último estudio disponible sobre MMHH autorizados se realizó entre 2018 y 2021, midiendo después su disponibilidad a 5 de enero de 2023. El resultado que arrojó fue que en nuestro país están disponibles 51 de cada 100 fármacos, mientras que en Francia e Italia lo están alrededor del 80% y en Alemania, el 90%. Esta disponibilidad es algo mayor en el caso de los MMHH no oncológicos (52%). Que el 48% no estén financiados en nuestro país significa que hay 21 medicamentos autorizados no disponibles a enero de 2023.

En España, los tiempos medios para su disponibilidad una vez obtenida la autorización europea, hasta su inclusión en el nomenclátor de la prestación farmacéutica son muy elevados. Así, a enero de 2023, dicho lapso alcanzaba los 653 días, lo que significa que no se cumplen los plazos administrativos de 6 meses que recoge el artículo 19 de la Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios. En el caso de los medicamentos no oncológicos el plazo es incluso mayor (680 días). No obstante, para ser más precisos se debería tener en cuenta el tiempo medio desde su autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), momento en el que la compañía ha comunicado su intención de comercializar en España.

Sobre la base de los datos actualizados a fecha de 31 de agosto de 2023 y de diversos informes analizados, se infiere que, si bien un 85% de los MMHH autorizados en la Unión Europea llega a España y cuenta con código nacional (CN), solo un 52% de los mismos está financiado. Junto a esto, se refleja que un 49% de los fármacos ha sido financiado con restricciones. Es decir: con limitación de indicaciones o con indicaciones no financiadas.

De estos datos se desprende también que hay 22 medicamentos que cuentan con autorización de comercialización en la UE, pero no con Código Nacional en España: un 15% del total.

Las cifras referentes son una muestra de cómo la tendencia, aunque algo mejor, no alcanza el ritmo que se desearía: entre los meses de mayo y agosto de 2023 se asignaron 2 nuevos Códigos Nacionales y se aprobó la financiación de 9 nuevos fármacos huérfanos, hasta alcanzar los 126 productos huérfanos con Código Nacional y los 77 productos financiados.

Por todo ello, se hace necesario establecer un procedimiento diferenciado que garantice el acceso temprano a los MMHH y ultra-huérfanos 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 MMHH 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 asociada 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 MMHH y ultra-huérfanos, 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 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, lo 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 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 MMHH y ultra-huérfanos y las patologías a las que se destinan, suponen el tratamiento en centros de referencia (CSUR).

IV

El acceso temprano al diagnóstico de las enfermedades raras —que evite el desarrollo de la enfermedad y sus secuelas— y a los tratamientos con MMHH y ultra-huérfanos presupone que debe crearse 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 alarmante aún es el dato de cuántos de ellos se encuentran financiados por el Sistema Nacional de Salud. Ello también evidencia una falta de transparencia en los procesos que se debe revertir, para lograr 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 MMHH y ultra-huérfanos se debe a la errónea visión de la inversión en Sanidad, entendida como gasto, a la que ya hemos hecho alusión, y que no toma en consideración el ahorro que a corto y medio plazo lleva asociado la financiación de nuevos tratamientos.

V

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 lo dispuesto por la 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).

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, sobre la base de 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 en 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.

VI

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

Al amparo de lo expuesto, el Grupo Parlamentario VOX presenta la siguiente Proposición de Ley.

Artículo primero. 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 financiables 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 ultra-huérfanos, 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 ultra-huérfanos».

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 decimoséptima. *Procedimiento para la financiación pública de medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos.*

Con objeto de garantizar el acceso de los pacientes con enfermedades raras a los tratamientos con medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos 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».

BOLETÍN OFICIAL DE LAS CORTES GENERALES

CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

Serie B Núm. 71-1

8 de marzo de 2024

Pág. 7

Artículo segundo. *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.

La implantación del programa poblacional de cribado neonatal de enfermedades endocrinometabólicas 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 regiones 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 del año siguiente a su aprobación, de manera que su impacto presupuestario se aplique al ejercicio presupuestario inmediatamente posterior a su entrada en vigor.