

ASPECTOS JURÍDICO-SANITARIOS DE LAS ENFERMEDADES POCO FRECUENTES Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UNIÓN EUROPEA

Por SUSANA ALBA ROMERO (*)
y M.^a VICTORIA GUTIÉRREZ PÉREZ (**)

I. INTRODUCCIÓN

El año 1993 es la fecha en que la Comisión Europea incluyó el problema de las enfermedades poco frecuentes entre los ocho ámbitos prioritarios de acción comunitaria en su *Comunicación de la Comisión sobre el marco de actuación en el ámbito de la salud pública* (1). Ello se debió a la existencia y reconocimiento de casi 5.000 enfermedades inusuales diagnosticadas.

El Comité Económico y Social en su *Dictamen de 6 de julio de 1994* (2) relativo a la *Comunicación Marco de la Comisión sobre Salud Pública* pidió a ésta un planteamiento jurídico operativo al respecto.

El *Reglamento (CE) n.º 297/95 del Consejo, de 10 de febrero de 1995, relativo a las tasas que deben pagarse a la Agencia Europea para la Evaluación de Medicamentos (EMEA)* (3) expresa en su artículo 7.1. «*En circunstancias excepcionales o por razones fundamentales de salud pública o de sanidad animal, el Director Ejecutivo podrá conceder, teniendo en*

(*) Departamento de Ciencias Sanitarias y Médico-Sociales, Universidad de Alcalá.

(**) Centro de Documentación Europea, Universidad de Alcalá.

(1) COM(93) 559 final.

(2) DOCE n.º C 388 de 31.12.1994, p. 3.

(3) DOCE n.º L 35, de 15.2.95, p. 1.

cuenta cada caso concreto y previa consulta al Comité competente, exenciones o reducciones de tasas con respecto a medicamentos que sirvan para un número limitado de aplicaciones...»

En 1995 el Parlamento Europeo en su *Resolución (4) sobre el programa de acción social a medio plazo 1995-1997*, solicitó a la Comisión un programa de actuaciones en el marco general de la Salud Pública.

El Consejo, en su *Resolución de 20 de diciembre de 1995 (5)*, por la que se insta a la Comisión a emprender trabajos, principalmente, sobre el desarrollo y la comercialización de productos huérfanos, invitó a dicha institución a elaborar un inventario de los conocimientos y la experiencia de los Estados miembros.

Desde 1997, las instituciones comunitarias, motivadas por su preocupación hacia la protección de la Salud Pública, tratan de potenciar su apoyo a las acciones sanitarias promovidas por los Estados miembros. Así las cosas, la Comisión publicó recientemente su *Comunicación relativa a un programa de acción comunitaria sobre las enfermedades poco comunes dentro del marco de actuación en el ámbito de la salud pública (6)*; y tanto el Parlamento Europeo, como el Consejo, en su *Propuesta de Decisión por la que se aprueba un programa de acción comunitaria 1999-2003 sobre las enfermedades poco comunes dentro del marco de actuación en el ámbito de la salud pública (7)*, han dedicado especial atención no sólo a las enfermedades poco comunes (8), sino también al tema de los medicamentos huérfanos en tanto, segmento del mercado farmacéutico con un elevado interés terapéutico aunque con escaso interés comercial.

Un posterior documento emanado desde las instituciones comunitarias en relación a las enfermedades poco frecuentes, fue el *Dictamen del Comité Económico y Social de octubre de 1997 (9)*, por el que apoyan los objetivos especificados en el programa de actuación de la Comisión así como las actuaciones concretas llevadas a cabo para el establecimiento de un marco jurídico adecuado que permita ordenar y armonizar lo relativo a la industrialización y comercialización de los citados medicamentos.

(4) Resolución A4-0311/95. DOCE n.º C 32, de 5.2.96, pp. 15-24.

(5) DOCE n.º C 350, de 30.12.95, p. 3.

(6) COM(97) 225 final, de 26.5.1997, pp. 1-15.

(7) COM(97) 225 final, de 26.5.1997, pp. 16-38.

(8) Esta Propuesta de Decisión constituye un proyecto de acto jurídico cuyo procedimiento está en conformidad con el artículo 189 B del TUE.

(9) CES 1171/97 - 97/0146 COD, de 29 de octubre de 1997.

Más recientemente, el Consejo ha aprobado, con fecha 30 de abril de 1998, la Posición Común (CE) n.º 35/98 (10), con vistas a la adopción de la Decisión, anteriormente citada, por la que se aprueba un programa de acción comunitaria sobre las enfermedades poco comunes en el ámbito de la salud pública (1999-2003) que incluye iniciativas destinadas a suministrar información, estudiar los grupos de enfermedades poco frecuentes dentro de una población y apoyar a las asociaciones de pacientes correspondientes. Paralelamente, ha sido publicada la propuesta de Reglamento (CE) del Parlamento Europeo y del Consejo sobre medicamentos huérfanos (11), presentada por la Comisión el 28 de julio, en que se lleva a cabo una prioridad ya establecida.

A lo largo del presente trabajo, para determinar el ámbito de aplicación de la normativa, veremos el marco existente en torno a la *definición* de las enfermedades inusuales y de los productos terapéuticos aplicados que, sin tener un elevado interés comercial, sin embargo presentan un extraordinario valor socio-sanitario. A continuación analizaremos qué *medidas jurídicas* corresponden para la ejecución de un programa de acción en lo que respecta a garantizar, en términos generales, un alto nivel de protección de la salud pública en la UE, y más concretamente en el tema que nos ocupa, bien entendido que se trata de un objeto de análisis fundamentalmente técnico, marcado por problemas de comercialización, por lo que no se discute la interpretación de la norma.

II. DEFINICIÓN DE ENFERMEDADES POCO COMUNES

Las enfermedades poco comunes podrían enmarcarse conceptualmente desde el punto de vista cuantitativo, es decir, en base a la baja prevalencia. Pero aún considerando esta posible categorización, podría tratarse bien de enfermedades poco conocidas o bien de enfermedades conocidas pero poco frecuentes. En ambos casos existe el inconveniente de que, por su escasa entidad, a la hora de llegar a un diagnóstico, no se consiguen identificar tantas veces como aparecen. A sabiendas de que puede excluirse algún proceso patológico, la Comisión (12) propone definir *enfermedad poco común* como «*aquella con peligro de muerte o de invalidez crónica*

(10) DOCE n.º C227 de 20.7.98, p. 1.

(11) DOCE n.º C 276 de 4.9.98.

(12) COM (97) 225 final, p. 7.

que presenta tan baja prevalencia que precisa aunar esfuerzos de modo especial para asegurarse de que no haya morbilidad o mortalidad prenatal y prematura significativa, gran pérdida de la calidad de vida o del potencial socioeconómico para la persona». Asimismo, está generalmente admitido que se trata de enfermedades con una prevalencia de menos de 5 por 10.000 enfermos dentro del conjunto de la población comunitaria.

III. DEFINICIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

En coherencia con lo anterior y para poder establecer el marco jurídico pertinente, cabe destacar la importancia que conlleva la definición de los productos utilizados en su tratamiento, denominados comúnmente como *medicamentos huérfanos* y que la Comisión (13), considera como «*cualquier sustancia o combinación de sustancias presentada como especialidad farmacéutica que sea:*

- *utilizada para el tratamiento, la prevención o el diagnóstico de enfermedades con peligro de muerte o de debilitación crónica de las personas,*
- *las cuales —enfermedades— tienen una prevalencia de menos de 5 por 10.000 en el conjunto de la población comunitaria (14), y*
- *cuya rentabilidad comercial es insuficiente.»*

IV. MEDIDAS JURÍDICAS PROPUESTAS

Merecen especial atención la propuesta de Decisión y la propuesta de Reglamento anteriormente citadas.

El desarrollo legislativo parte de los artículos 3 (letra "o") (15);

(13) *Ibíd.*, p. 14.

(14) Por su parte la propuesta de Reglamento en su quinto considerando extiende este criterio, puesto que aun reconociendo que el límite adecuado es el mencionado, sin embargo, considera que los medicamentos destinados al tratamiento de una enfermedad transmisible, que ponga en peligro la vida o que conlleve invalidez grave, deben beneficiarse de las medidas de estímulo industrial otorgadas a los medicamentos huérfanos, aunque la prevalencia de la enfermedad sea superior a 5 por 10.000.

(15) Artículo 3 o): «Para alcanzar los fines propuestos en el artículo 2 —promover un desarrollo armonioso y equilibrado de las actividades económicas en la

129 (16); y 130 F (17) del Tratado sobre la Unión Europea (en adelante TUE), entre cuyos objetivos se incluye la prevención de enfermedades, especialmente 'las más graves y ampliamente difundidas', aunque, no por ello las enfermedades poco comunes dejan de ser un importante lastre dentro de un concepto amplio de salud pública que, por definición, abarca las necesidades sanitarias del *conjunto de la población*.

La existencia de afecciones de baja prevalencia, pero con peligro de muerte o de debilitación crónica, como por ejemplo padecimientos neurodegenerativos, enfermedades tropicales, alteraciones genéticas, etc., conlleva, las más de las veces, una notable falta de información sobre ellas y consecuentemente, una carencia de recursos sanitarios bien sea de productos o de servicios.

Comunidad, un crecimiento sostenible, un alto nivel de empleo y protección social, elevación del nivel y la calidad de vida,...— la acción de la Comunidad implicará, en las condiciones y según el ritmo previstos en el presente Tratado (...) o) una contribución al logro de un alto nivel de protección de la salud».

(16) Conforme a las modificaciones operadas con el nuevo Tratado de Amsterdam de 2 de octubre de 1997, el artículo 129 consolida la construcción comunitaria en el área de la salud pública:

«1. Al definirse y ejecutarse todas las políticas y acciones de la Comunidad se garantizará un alto nivel de protección de la salud humana.

La acción de la Comunidad, que complementará las políticas nacionales, se encaminará a mejorar la salud pública, prevenir las enfermedades humanas y evitar las fuentes de peligro para la salud humana. (...).

2. La Comunidad fomentará la cooperación entre los Estados miembros en los ámbitos contemplados en el presente artículo y, en caso necesario, prestará apoyo a su acción.

Los Estados miembros, en colaboración con la Comisión, coordinarán entre sí sus políticas y programas respectivos (...) La Comisión, en estrecho contacto con los Estados miembros, podrá adoptar cualquier iniciativa útil para fomentar dicha coordinación.

3. La Comunidad y los Estados miembros favorecerán la cooperación con terceros países y las organizaciones internacionales competentes en materia de salud pública.

4. El Consejo, con arreglo al procedimiento previsto en el artículo 189 B y previa consulta al Comité Económico y Social y al Comité de las Regiones, contribuirá a la consecución de los objetivos del presente artículo (...)

(17) Artículo 130 F: «La Comunidad tiene como objetivo fortalecer las bases científicas y tecnológicas de su industria y favorecer el desarrollo de su competitividad internacional, así como fomentar todas las acciones de investigación que se consideren necesarias en virtud de los demás capítulos del presente Tratado».

Para evitar lo anterior, el método general de actuación por el que se establecen prioridades sanitarias a nivel comunitario responde a una serie de criterios, tal y como apunta el Comité Económico y Social (18). Tales criterios son:

- a) la morbilidad y mortalidad de la enfermedad,
- b) sus repercusiones socioeconómicas,
- c) la posibilidad de medidas preventivas, y
- d) posibles valores añadidos para la Comunidad, principalmente a nivel económico.

Entre las enfermedades que no reúnen estas condiciones se encuentran las poco comunes, que,

- a) evidentemente, no suponen un alto riesgo de morbilidad ni de mortalidad para el total de la población, aunque desde el punto de vista individual, sí supongan una importante discapacitación;
- b) no conducen a unas repercusiones socioeconómicas amplias para el conjunto de la sociedad, aunque familiarmente aboquen a una falta de recursos materiales, en ocasiones, extrema;
- c) dado que existen miles de enfermedades poco comunes, resulta comprometido generalizar sobre la posible prevención. La casuística es muy variada.
- d) sin embargo en cuanto al último criterio, referido al valor añadido que puede suponer para la UE una acción concreta contra esas enfermedades, las reflexiones pueden ser varias. Desde luego es claro que la principal visión, en referencia al valor añadido, es económica, pero además se trata de crear una filosofía en torno a la idea de salud pública que, plasmándose jurídicamente, permita exceder el marco estrictamente economicista.

La repercusión económica que conllevan viene incrementada por el hecho de que, al ser enfermedades 'raras' el diagnóstico correcto final engloba numerosas pruebas e intervenciones asistenciales previas hasta la total definición del problema. Otra cuestión importante es la inclusión en

(18) Propuesta de Decisión por la que se aprueba un programa de acción comunitaria 1999-2003 sobre las enfermedades poco comunes dentro del marco de actuación en el ámbito de la salud pública. COM(97) 225 final de 26.5.97.

este grupo de enfermedades, de aquellas conocidas pero con un campo de acción muy limitado cuantitativamente. Tal es el caso de la poliomielitis, hoy día poco común pero que, ante medidas preventivas ineficaces, reaparece virulentamente.

En ocasiones se trata de enfermedades casi inexistentes en el territorio europeo, y sin embargo típicas de países en vías desarrollo: es el caso de enfermedades tropicales u otras propias de determinados grupos de población en ciertas comunidades étnicas, cuyas consecuencias nacionales son mínimas, pero desde la perspectiva regional o de grupos sí resultan significativas. Además ¿qué nos asegura que una enfermedad hasta hoy de baja prevalencia, no puede extenderse y embestir a poblaciones más numerosas? Tal es el caso del VIH/SIDA originariamente localizado en África exclusivamente.

Generalmente, los recursos económicos para investigación y desarrollo de nuevos tratamientos se orientan hacia las enfermedades más comunes y ampliamente difundidas; a pesar de ello, la Comunidad ha decidido establecer un marco prioritario también para las enfermedades cuya prevalencia es escasa, en orden a instaurar las bases precisas de una Política sanitaria común en la UE.

IV.1. ESTABLECIMIENTO DE UN PROGRAMA

Tal y como puede verse en todos los documentos de la Comisión, del Parlamento Europeo, del Comité Económico y Social y del Consejo queda perfectamente recogido que la rareza misma de las enfermedades de baja prevalencia, y por consiguiente la falta de información respecto de ellas, puede ocasionar insuficiencia en los recursos y servicios sanitarios precisos para los afectados. Para evitar, en la medida de lo posible, esta situación, la Comisión, en estrecha colaboración con los Estados miembros, así como instituciones y organismos que operen en el ámbito de enfermedades poco comunes, tiene asignada la tarea de establecer un Programa contra las enfermedades poco comunes, que vendrá a denominarse «el Programa», para el periodo comprendido entre el 1 de enero de 1999 y el 31 de diciembre de 2003. Su principal objetivo es contribuir a garantizar un alto nivel de protección sanitaria contra las citadas enfermedades: aportando conocimientos sobre ellas, promoviendo y consolidando grupos de apoyo a los pacientes y favoreciendo la creación de equipos de res-

puesta rápida ante la agrupación de varias de estas enfermedades. Las acciones irán encaminadas a estimular el desarrollo de una *red europea* de información y acceso a la misma, utilizando cuando sea posible las bases de datos existentes. La información comprenderá rúbricas que indiquen el nombre de la enfermedad, sus sinónimos, una descripción general de la afección, sus síntomas, causas, datos epidemiológicos, medidas preventivas, tratamientos habituales, ensayos clínicos, laboratorios de diagnóstico, consultas especializadas, programas de investigación y un Directorio al que pueda recurrirse para obtener más información sobre la enfermedad. Además deberá fomentarse la elaboración de *recomendaciones* por parte de los profesionales para mejorar la detección precoz, el reconocimiento, la intervención y la prevención; así como fomentar la *colaboración transfronteriza* y el establecimiento de redes entre los grupos de personas directa o indirectamente afectados por este tipo de enfermedades y, finalmente, apoyar a escala comunitaria la vigilancia y los sistemas de detección precoz. Para todo lo anterior se presenta la necesidad de que las acciones sean coherentes y complementarias con las iniciativas relativas a los medicamentos huérfanos y su investigación.

La dotación financiera previsible es de 6,5 millones de ecus para todo el periodo cubierto por el programa. La Comisión estará asistida por un Comité compuesto por dos representantes designados por cada Estado miembro y presidido por el representante de la Comisión.

IV.1.a. *Sistemas de información y cooperación internacional*

La *información* fidedigna y permanentemente actualizada al respecto es esencial para garantizar la eficacia de las acciones propuestas, así como para evitar la duplicidad innecesaria de trabajo. La Comunidad en este aspecto, trata de establecer la *infraestructura telemática* precisa para proporcionar la entrada en bases de datos completas a expertos, grupos de interés y organismos que trabajan en la investigación e intercambio de información entre los profesionales sanitarios, los pacientes y los investigadores científicos. Para ello, dentro del marco jurídico comunitario se intenta regular (artículo 6 de la propuesta de Decisión):

- a) creación de una base de datos europea sobre las enfermedades inusuales. Entre la información cabe incluir el nombre de la enti-

- dad patológica respectiva, sus sinónimos, descripción general de su sintomatología, causas, pruebas diagnósticas, tratamientos estándar, tratamientos en proceso de desarrollo e investigación y relación de centros que pueden proporcionar ayuda especializada;
- b) coordinar los sistemas de información y servicios informáticos así como la consolidación de redes de información;
 - c) promover las reuniones científicas de puesta en común de los conocimientos por parte de los profesionales implicados con el fin de mejorar la capacidad de diagnóstico, prevención y tratamiento de dichas enfermedades.

La información anterior además, juega un papel transcendental de apoyo a los pacientes y sus familias. Con esto surgen cuestiones éticas inherentes al ordenamiento jurídico como es la concienciación hacia el respeto de los intereses de unos determinados grupos de enfermos que, por padecer enfermedades no frecuentes, no por ello, dejan de tener derecho a la atención sanitaria correspondiente.

En el contexto jurídico de una Política Sanitaria Común aparecen, asimismo, cuestiones como la *confidencialidad*, el *consentimiento informado* y los *procedimientos clínicos*, en los que es imprescindible establecer los mecanismos oportunos de coordinación, conexión y apoyo comunitario y transnacional, acompañados de la correspondiente financiación.

La información antes mencionada, favorece además la cooperación con terceros países y con organizaciones internacionales con competencias en materia de salud, tanto las gubernamentales como las ONGs. Igual situación surge con los países de Europa Central y Oriental (PECO) siempre de acuerdo a los procedimientos establecidos en cada momento. De este modo, la Unión contribuirá a un mejor conocimiento de las enfermedades poco comunes, también fuera de las fronteras estrictamente comunitarias.

IV.1.b. *Acciones para hacer frente a las agrupaciones de enfermedades poco comunes*

En otro orden de cosas, la Comunidad asume su responsabilidad en cuanto a la gestión del riesgo en caso de agrupaciones de enfermedades poco comunes dentro de una acción inmersa en los principios de subsidiariedad y proporcionalidad.

Las agrupaciones de estas enfermedades que, en ocasiones se asocian con causas exógenas, tienen una importancia clave y por ese motivo la Comisión asume la responsabilidad de actuar como centinela para que se cubran en todo momento las necesidades en materia de detección, tratamiento y técnicas adecuadas, con el consiguiente seguimiento estadístico.

IV. 1.c. *Seguimiento y Evaluación*

La Comisión tiene asignada la tarea de evaluar las actividades desarrolladas, mediante un Informe sobre las acciones conjuntas y en estrecha colaboración entre los Estados miembros y las instituciones, fundamentalmente, en lo que se refiere a política sanitaria y programas de actuación. A tal fin se crea un Comité Consultivo de representantes de los Quince que mantendrán permanente comunicación con la OMS, con otras Organizaciones internacionales, y con terceros países. El Informe final de evaluación de las acciones ejecutadas será la culminación de los trabajos generados a partir de un Informe intermedio al Consejo, al Parlamento Europeo, al Comité Económico y Social y al Comité de las Regiones de modo que todas estas Instituciones y, por su mediación, todas las partes afectadas, queden bien informadas sobre los progresos obtenidos de las acciones emprendidas y financiadas por la UE (artículo 7 de la propuesta de Decisión).

IV.2. PROCEDIMIENTO COMUNITARIO PARA LA PUESTA EN EL MERCADO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS.

La investigación farmacéutica en este área precisa el fomento de estudios sobre el tratamiento de estas enfermedades, de cara a extremar la eficacia de las distintas metodologías utilizadas para poner a punto procedimientos de rápido diseño de medicamentos huérfanos y con ello su consiguiente comercialización y disponibilidad para todos los ciudadanos comunitarios.

Como referencia internacional no deja de aparecer en cabeza Estados Unidos que, además de contar con organizaciones y comisiones encargadas de revisar la política nacional en este campo, ya desde 1983 tiene en vigor un texto legal por el que se regulan los medicamentos huérfanos con

el fin de acelerar su desarrollo y facilitar su comercialización (19). Los Estados miembros, por su parte, crean sistemas de recogida y difusión de datos respecto de programas de detección, información, reconocimiento, prevención y tratamiento de enfermedades inusuales. Proyectos que originan una notable capacidad de seguimiento por parte de la Comunidad. Si bien Francia, Reino Unido, Suecia, Italia y Portugal tratan de abordar acciones sistemáticas de Salud Pública orientadas hacia la problemática que nos ocupa.

IV.2.a. *Medidas de estímulo a la investigación de medicamentos huérfanos*

Dentro del proceso regulador y en coherencia con el principio de competencia compartida entre la Comunidad y los Estados miembros, no se puede obviar uno de los elementos más importantes para la industria farmacéutica, y primer eslabón de la larga cadena comercial de los medicamentos obtenidos mediante innovación: la *I+D*. Los trabajos de investigación y desarrollo llevados a cabo con el fin de diseñar nuevas moléculas terapéuticas obliga a verificar una importante infraestructura, tanto en lo relativo a recursos humanos como materiales. En este sentido, el Cuarto Programa Marco (1994-1998) de la Comunidad Europea para acciones comunitarias en materia de investigación y desarrollo tecnológicos y demostración (20), y más concretamente en su Programa de Biomedicina y Salud (BIOMED 2), Areas I de 'Investigación farmacéutica' y 4.6 de 'Investigación sobre enfermedades poco frecuentes' incluyó, en su momento, actividades de investigación en torno a los medicamentos huérfanos, pa-

(19) Para un acercamiento a la situación del tema en Estados Unidos y en Japón véase HAFFNER, M., «Orphan drug development update». *Drug Information Journal*, 1996;30:29-34; HAFFNER, M. E., «The United States Orphan Drug Act: challenges and success». *Drug Information Journal* 1997; 31:23-25; MEYERS, A., «Orphan Drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia». *Drug Information Journal* 1997;31:101-104; SHULMAN, S., MANOCCHIA, M., «The US orphan drug programme 1983-1995». *Pharmacoeconomics*, 1997;12(3):312-326; UCHIDA, K., «Orphan drugs in Japan». *Drug Information Journal* 1996; 30:171-175.

(20) Decisión n.º 1110/94/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 26 de abril de 1994, DOCE n.º L 126, de 18.5.1994, p.1, modificado por la Decisión n.º 616/96/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 25.3.1996, DOCE n.º L 86, de 4.4.1996, p. 69.

ralelamente al apoyo de la investigación fundamental y clínica de las enfermedades poco comunes. Ello no es óbice para que la investigación sobre enfermedades poco frecuentes siga siendo una prioridad en la Comisión, tal y como figura en la propuesta del Quinto Programa de Investigación y Desarrollo (1998-2002) (21) y que, consecuentemente, los resultados de dicha investigación se apliquen rápida y eficazmente.

En la fase de investigación de nuevos medicamentos y previa a la obtención de la autorización de comercialización, los ensayos clínicos de las futuras especialidades farmacéuticas requieren la participación de un abundante número de personas, tanto sanas como enfermas. Pero, como primer elemento motor, es necesaria una inversión financiera suficiente que permita cubrir los gastos del proceso investigador. Las acciones comunitarias en este campo van encaminadas hacia el fomento de la inversión dentro de la política industrial de la UE.

Antes de la comercialización, para que un medicamento obtenga la denominación de medicamento huérfano, su promotor —artículo 2: *la persona física o jurídica establecida en la Comunidad que desee obtener para un medicamento tal denominación*— debe demostrar que dicho producto está indicado para establecer el diagnóstico, prevenir o tratar una enfermedad que afecta al menos a cinco personas por cada 10.000 en la Comunidad, y que no existe otro método mejor para ello, pero que si lo hubiera, cabe esperar que el medicamento en cuestión sea más seguro, más eficaz y clínicamente superior. Además de la anterior justificación sanitaria, un medicamento también podrá ser designado como medicamento huérfano si su promotor constata que se destina al tratamiento, en la Comunidad, de una enfermedad transmisible que ponga en peligro la vida o que conlleve invalidez grave, pero cuya comercialización previsiblemente no genere suficientes beneficios para justificar la inversión previa (artículo 3 de la propuesta de Reglamento).

El texto contempla, asimismo, otras medidas de estímulo para fomentar la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos huérfanos, como es la posible dispensa total o parcial de las tasas exigidas por el examen de las solicitudes de autorización de comercialización. La Comisión deberá publicar un inventario detallado de todas las acciones desarrolladas por los Estados miembros y la Comunidad en este sentido (artículo 9).

(21) DOCE n.º C 178, de 10.6.1998, p. 49.

IV. 2. b. *Creación de un Comité de medicamentos huérfanos*

La garantía de una adecuada coherencia y complementariedad entre las acciones realizadas y financiadas por la UE, hace conveniente la asistencia por parte de un Comité consultivo, compuesto por representantes de los Quince y presidido por el representante de la Comisión que será el encargado de ofrecer al Comité el plan de medidas respecto a:

- a) criterios y procedimientos para seleccionar y financiar proyectos de acuerdo al Programa,
- b) procedimiento de evaluación.

Principal tarea constituye el examen de las solicitudes de designación y de investigación, que incluye la definición de los criterios de diagnóstico, causas genéticas, en su caso, y sobre todo la creación de observatorios epidemiológicos europeos, redes de información y registro de pacientes afectados. Esta tarea será realizada por el Comité de medicamentos huérfanos, que, tal y como se expresa en el artículo 4, será el encargado y estará compuesto por un miembro nombrado por cada uno de los Estados miembros, tres nombrados por la Comisión para representar a las asociaciones de pacientes y tres miembros nombrados por la Comisión y recomendados por la Agencia, del mismo modo que los representantes de la Comisión y el Director Ejecutivo de la Agencia o su representante podrán participar en todas la reuniones del Comité.

IV.2 c. *Elaboración y comercialización de los medicamentos huérfanos*

El procedimiento de designación de medicamento huérfano comenzará con la presentación de la solicitud a la Agencia, acompañada de los datos y documentos relativos al promotor y al producto en sí mismo. El Comité de especialidades farmacéuticas habrá de preparar el consiguiente dictamen en el plazo de sesenta días a partir de la recepción de la solicitud. En caso de que dicha solicitud no satisfaga los criterios establecidos, y consecuentemente el dictamen fuese desfavorable, el promotor podrá introducir un recurso motivado, a partir de los treinta días siguientes a la

recepción del dictamen. Finalmente la Comisión adoptará la decisión de acuerdo con el dictamen final transmitido por la Agencia (artículo 5 de la propuesta de Reglamento).

Para lograr la autorización de comercialización, el promotor podrá solicitar de la Agencia dictamen sobre los ensayos clínicos y pruebas que deban realizarse para demostrar la calidad, seguridad y eficacia del medicamento, lo que conlleva la asistencia para la elaboración de un protocolo y seguimiento de las pruebas clínicas, y la aplicación de las disposiciones del Reglamento (CEE) n.º 2309/93 (artículo 6 de la propuesta de Reglamento). Bien entendido que la comercialización será autorizada exclusivamente para las indicaciones terapéuticas que cumplan los criterios de medicamento huérfano.

La anterior autorización de comercialización concede la exclusividad comercial por un periodo de diez años, que podrán ser reducidos a seis si al finalizar el quinto año un Estado miembro demuestra que el producto no satisface los parámetros establecidos. Asimismo podrá ser comercializado un medicamento similar para la misma indicación si:

- a) el titular de la autorización de comercialización inicial da su consentimiento al segundo solicitante,
- b) si aquel no puede suministrar cantidad suficiente del medicamento,
- c) si el segundo solicitante demuestra que su medicamento es más seguro, más eficaz y clínicamente superior.

Cabe destacar por tanto, la definición de medicamento similar (artículo 8) como un medicamento que contenga:

- *«la misma sustancia química activa o fracción activa de la sustancia, con inclusión de isómeros y mezclas de isómeros, complejos, ésteres y otros derivados no covalentes, siempre que sus actividades farmacológicas y toxicológicas sean cualitativa y cuantitativamente idénticas a las del producto original;*
- *una sustancia con la misma actividad biológica (incluidas las que difieren de la sustancia original en cuanto a la estructura molecular, la materia prima y/o el proceso de fabricación), siempre que la actividad farmacológica de dicha sustancia sea cualitativa y cuantitativamente idéntica a la del producto original;*

- *una sustancia con la misma actividad radiofarmacéutica (incluidas las que difieren en cuanto a radionucleidos, ligandos, lugar de marcado o mecanismos de acoplamiento entre las moléculas y el radionucleido), siempre que su diagnóstico o indicaciones terapéuticas sean idénticas a las del producto original».*

V. CONSIDERACIONES FINALES

El objetivo general de contribuir a garantizar un alto nivel de protección de la salud pública en la Unión Europea presenta una de sus facetas más recientes en la iniciativa de acometer una Propuesta de Decisión del Parlamento Europeo y del Consejo por la que se adopte un Programa de acción contra las *enfermedades poco frecuentes*.

Paralelamente, los criterios de coherencia y complementariedad enmarcan las bases necesarias para la adopción de la propuesta de Reglamento (CE) también del Parlamento Europeo y del Consejo sobre los *medicamentos huérfanos*, de tal modo que quede garantizada la calidad, seguridad y eficacia de estos productos mediante la correspondiente autorización de comercialización.

Una clara planificación de las acciones encomendadas permite advertir el método por el que será posible una cuantía más numerosa de intervenciones y actuaciones coordinadas con pacientes, con el fin de que no queden aislados o incorrectamente diagnosticados. La educación sanitaria que supone el proporcionarles toda la información que precisen sobre su enfermedad les supondrá un apoyo incuestionable que, por otra parte es responsabilidad de la Autoridades sanitarias.

Del mismo modo, la Unión establece, dentro de su consideración de problema prioritario, una línea presupuestaria específica para la financiación de grupos de trabajo que, dentro de los programas de I+D, investiguen y desarrollen nuevos fármacos que difícilmente podrán alcanzar el nivel de amortización financiera suficiente.

En aplicación del principio de subsidiariedad y para la determinación de los elementos de análisis coste-eficacia, es imprescindible establecer los indicadores que permitan evaluar el alcance de los objetivos; como es el caso de la comercialización de nuevos medicamentos huérfanos, la difusión de información, la creación de la base europea de datos, disposición de documentación, etc.

Por último el hecho de que la Comunidad regule este tema supone un valor añadido para todos los Estados miembros, pues se desarrolla sobre la base de lo dispuesto en el TUE en su artículo 129 aunque no sea de competencia exclusiva de la Comunidad y por tanto no requiera armonización de las disposiciones nacionales en este ámbito.