



## RESPUESTA DEL GOBIERNO

### (684) PREGUNTA ESCRITA SENADO

684/55710, 684/55711

27/05/2022

143807, 143808

**AUTOR/A: BERNABÉ PÉREZ, Francisco Martín (GPP); RABOSO GARCÍA-BAQUERO, Eduardo (GPP); TOMÁS OLIVARES, Violante (GPP); VÁZQUEZ ROJAS, Juan María (GPP)**

### RESPUESTA:

El 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, en su artículo 91 reconoce el derecho de todos los ciudadanos a obtener medicamentos en condiciones de igualdad en todo el Sistema Nacional de Salud. Para ello, las resoluciones emitidas por el Ministerio de Sanidad en materia de financiación de medicamentos y productos sanitarios del Sistema Nacional de Salud (SNS) surtirán efecto en todo el territorio español desde la fecha en que resulten aplicables. Esa es la herramienta normativa y efectiva para garantizar la equidad en el acceso a los tratamientos en el SNS.

En la valoración económica que se realiza de cada uno de los medicamentos para la toma de decisión de financiación y precio, además del análisis de coste-efectividad, se realiza el análisis del impacto presupuestario y también se consideran los consumos de los medicamentos en situaciones especiales, en el caso de que estos existan.

En el caso de la enfermedad de Morquio la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos consideró la no inclusión de elosulfasa alfa, teniendo en cuenta criterios de racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica y la incertidumbre del valor terapéutico del medicamento. Estos son algunos de los criterios legalmente establecidos para la financiación selectiva y no indiscriminada de medicamentos, necesaria para continuar asegurando una prestación farmacéutica sostenible del SNS, dado el crecimiento continuado de las necesidades en materia de prestación farmacéutica.



En relación con el valor terapéutico del medicamento, se indica que la Comisión ha considerado que con los datos disponibles existe una alta incertidumbre en el beneficio clínico de este medicamento que se acompaña de una alta incertidumbre financiera. Hay que considerar que los principales resultados de eficacia se refieren a variables relacionadas con la movilidad (aumento de 22,5m en el T6M respecto a placebo), sin que se disponga de datos de elosulfasa alfa sobre variables robustas (tiempo de inicio de necesidad de silla de ruedas, dependencia de ventilación mecánica, mortalidad). La eficacia de elosulfasa no ha sido evaluada en pacientes en fases avanzadas de la enfermedad e incapaces de deambular, así como tampoco en pacientes menores de 5 años de edad, por lo que no es posible sacar conclusiones sobre el posible impacto del fármaco en estos grupos de pacientes.

Por tanto, se hace necesaria la recogida de información sobre variables de seguimiento que permitan arrojar más luz sobre las incertidumbres existentes con el tratamiento con elosulfasa alfa con el fin de identificar aquellas poblaciones que más puedan beneficiarse del tratamiento con este medicamento. La compañía no ha presentado una propuesta que pueda manejar la incertidumbre clínica en estos pacientes, siendo necesario tratar de dar respuesta a todas las incertidumbres asociadas a este tratamiento en especial en pacientes de 5 años, y garantizar que se modifica de manera relevante el curso natural de la enfermedad, además de contribuir a la sostenibilidad del SNS.

Con respecto a velmanasa alfa para el tratamiento de la alfa-manosidosis, se informa que la Comisión acordó la no inclusión del medicamento en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (SNS), teniendo en cuenta la propuesta presentada por el laboratorio, la incertidumbre en relación con el beneficio clínico y funcional de velmanasa alfa respecto a los resultados de la comparación con placebo y criterios de racionalización del gasto público e impacto presupuestario en el SNS.

Por último, en relación con velmanasa alfa, se indica que la empresa ha iniciado de parte la solicitud de inclusión el 10 de junio de 2022, por lo que actualmente está en estudio del precio y financiación.

Madrid, 26 de julio de 2022