

Fármacos huérfanos

Fuente: Pasajes de un informe redactado por Andreas Hadjivasiliou, un analista de EvaluatePharma, corregido por Lisa Urquhart, redactora de EP Vantage, y publicado por EvaluatePharma®

Un fármaco huérfano es un producto farmacéutico para el tratamiento de trastornos o enfermedades raras. El desarrollo de fármacos huérfanos ha estado incentivado financieramente mediante la ley estadounidense Orphan Drug (Medicamentos Huérfanos) de 1983. La National Organization for Rare Disorders (NORD) (Organización Nacional para Enfermedades Raras), que ayudó a establecer la ley, estima que en la actualidad 30 millones de estadounidenses padecen de 7,000 enfermedades raras. Antes de la ley de 1983, se habían aprobado 38 medicamentos fármacos. El éxito de la ley de Enfermedades Raras en Estados Unidos condujo a que se adoptara en otros mercados clave, tales como en el de Japón en 1993 y en el de la Unión Europea en 2000. Las poblaciones de pacientes de enfermedades raras se definen en la ley como:

- EE UU <200.000 pacientes (<6,37 por cada 10.000, basado en una población de Estados Unidos de 314m)
- EU < 5 de cada 10.000 (< 250.000 pacientes, basado en una población de la UE de 514m)
- Japón: <50.000 pacientes (<4 por cada 10.000, basado en una población de Japón de 128m).

El crecimiento constante e inexorable del mercado de fármacos huérfanos sigue siendo uno de los temas más prominentes de la cuarta edición del Informe EvaluatePharma's Orphan Drug. Lo que cambió en los últimos 12 meses es el mayor escrutinio de los precios de estos productos que salvan vidas. Es prácticamente indudable de las compañías de seguros seguirán cubriendo los medicamentos huérfanos, debido al hecho de que por lo general son la única opción para los pacientes y que, por el momento, son una parte relativamente pequeña de los presupuestos generales. Pero según las determinaciones en el informe de este año, el mercado seguirá expandiéndose rápidamente. Según se proyecta, las ventas de estos productos aumentarán a un ritmo del 11% por año, más del doble del ritmo que se predice para los medicamentos tradicionales. De hecho, se espera que las ventas de medicamentos huérfanos prácticamente se dupliquen entre 2016 y 2022, para alcanzar los US\$209.000 millones. Este rápido crecimiento y la actual disposición de los pagadores de pagar los enormes precios de estos productos son dos de los principales motivos por los cuales el sector está siendo cada vez más atractivo para algunas de las principales empresas de la industria.

Según el informe, el mercado de medicamentos huérfanos, basado en las proyecciones consensuales aplicables a las principales 500 compañías farmacéuticas y de biotecnología, aumentará un 11,1% anual (CAGR) entre 2017 y 2022, a US\$209.000 millones. El crecimiento del mercado de medicamentos huérfanos es más del doble del mercado general de medicamentos de receta, que según se proyecta aumentará un 5,3% durante el período entre 2017 y 2022. Según se cree, los medicamentos huérfanos representarán el 21,4% de las ventas mundiales de medicamentos en 2022,

continua en la pagina 2

Noticias Resumidas. . .

- ♦ El mayorista y distribuidor neozelandés **EBOS Group** informó un fuerte desempeño en su primera mitad, incluyendo ingresos de dobles dígitos y aumentos de sus ganancias. La compañía anunció una ganancia neta no auditada de NZ\$68,8 millones en los seis meses que finalizaron el 31 de diciembre de 2016. Estas cifras son posteriores al crecimiento significativo de sus divisiones de Atención de la Salud y Productos Veterinarios, tanto en Australia como en Nueva Zelanda. Los ingresos del grupo aumentaron un 17%, a NZ\$4.000 millones.

- ♦ Más de 50 farmacias **Walgreens** locales especializadas han sido designadas como especializadas en cáncer. Todas ellas estarán encabezadas por farmacéuticos y técnicos farmacéuticos con capacitación y conocimientos avanzados sobre el cáncer. El personal de las farmacias completó un programa de estudios avanzados sobre el cáncer concentrado en los cánceres del colon y del recto, de pulmón, próstata y mama, así como en diversos cánceres de la sangre. El objetivo es asegurar que los pacientes obtengan los medicamentos y la información que necesiten para permanecer al tanto de sus enfermedades.

- ♦ El grupo de logística sudafricano **Imperial Holdings** adquirirá el 70% del distribuidor de productos farmacéuticos **Surgipharm**, con sede en Kenia, por R456 millones (US\$35 millones). La adquisición es parte de la estrategia de crecimiento de la compañía africana. Surgipharm, con sede en Nairobi, es uno de los principales distribuidores de productos farmacéuticos, médicos, quirúrgicos y afines de Kenia y tiene una facturación anual de aproximadamente US\$70 millones. Imperial también realizó adquisiciones en el sector farmacéutico de Nigeria y de los Países Bajos.

- ♦ El CEO de **Allergan**, *Brent Saunders*, solicita que el presidente Trump lidere las negociaciones de la industria farmacéutica sobre los precios de los medicamentos. En una entrevista concedida a Bloomberg, Saunders recalca que los acuerdos voluntarios para restringir los precios de los medicamentos son “una solución muy práctica que, en mi opinión, no obstaculiza la innovación”, pero añadió que convencer a otros fabricantes de medicamentos de que estén de acuerdo con él puede ser difícil. Compañías como Novartis AG, Takeda Pharmaceutical Co. y AbbVie ya tomaron medidas voluntarias para fijar límites a los aumentos de los precios de sus medicamentos.

- ♦ La Dirección de Alimentos y Fármacos de EE UU aprobó 800 medicamentos en 2016, una cifra sin precedentes que incluye aprobaciones plenas y tentativas. La cifra del año pasado superó el récord anterior de 726, alcanzado en 2015. Muchas de estas aprobaciones de “genéricos por primera vez” incluyen la introducción de contrapartes genéricas de medicamentos de marca que ya estaban en el mercado, lo que lleva a menores

continua en la pagina 3

Fármacos huérfanos (cont.) . . .

excluyendo los genéricos, un porcentaje que en 2000 fue de sólo el 6%. En 2016, las ventas de medicamentos huérfanos aumentaron un 12,2%, a US\$114.000 millones, frente a las de 2015, mientras que las ventas de medicamentos no huérfanos aumentaron un 2,4%, a US\$578.000 millones.

EvaluatePharma® calcula que el costo promedio por paciente por año en 2016 de un medicamento huérfano fue de US\$140.443, frente a al costo de US\$27.756 de un medicamento no huérfano. El precio promedio de los medicamentos aumentó interanualmente tanto para los medicamentos huérfanos como para los no huérfanos desde 2012. La diferencia mediana del precios entre los medicamentos huérfanos y no huérfanos en 2016 aumentó por un factor de 1,3 y 2,3 desde 2012, respectivamente.

El Informe halla que el ingreso por paciente correspondiente a los principales 20 medicamentos huérfanos en EE UU está correlacionado ($R^2 = 0,77$) con el número de pacientes tratados en 2016. Un análisis similar de los 10 medicamentos huérfanos de más venta con los que se trató a menos de 10.000 pacientes confirma una correlación todavía más estrecha ($R^2 = 0,94$). Este análisis confirma las percepciones de la industria de que menores grupos de pacientes permiten que se cobren precios más elevados que los de los medicamentos no huérfanos. Productos tales como Gleevec apoyan la noción de que los medicamentos de esta índole generan cambios de políticas en lo referente a sus precios, opciones de tratamiento y resultados. Soliris confirma el poder de fijación de precios resultante de indicaciones con el menor número de pacientes.

Celgene superará a Novartis, según EvaluatePharma®, como la compañía mundial número uno de medicamentos huérfanos en 2022, subiendo dos puestos y relegando a Novartis al tercer puesto. Los productos de dos compañías representan la mayor parte de las ventas de medicamentos huérfanos: Celgene (Revlimid, con el 80% de las ventas) y BMS (Opdivo, con el 68% de las ventas). Se proyecta que siete de las 10 compañías principales según ventas de medicamentos huérfanos en 2022 serán Mayores Globales. Y se proyecta que en 2022, las 5 compañías principales acapararán casi la tercera parte (el 30,6%) del mercado de medicamentos huérfanos.

EvaluatePharma® realizó un análisis secundario de compañías activas en el espacio de los medicamentos huérfanos, excluyendo los productos huérfanos oncológicos. Según ese análisis, alrededor de 2022 Shire seguirá siendo la compañía de más ventas en este ámbito, con ventas de unos US\$7.900 millones. Este espacio está creciendo a un CAGR del 7,7%, con ventas proyectadas de hasta US\$94.600 en 2022. Las 20 principales compañías representarán un 66% del espacio huérfano no oncológico alrededor de 2022. El espacio no oncológico representó el 53% del mercado huérfano en 2016 y se proyecta que alrededor de 2022 habrá bajado al 45%.

Revlimid será el mayor medicamento huérfano del mundo en 2022, con ventas de US\$13.600 millones para todas las indicaciones. Revlimid, de Celgene, fue aprobado en diciembre de 2005 para el tratamiento huérfano del síndrome mielodisplásico. Revlimid también fue aprobado para las indicaciones huérfanas como el linfoma no de Hodgkin y mieloma múltiple, y sigue estando en desarrollo para un número de trastornos huérfanos. Opdivo, de Bristol-Myers Squibb, ha sido aprobado para mieloma múltiple y

linfoma de Hodgkin y designado para hepatoma, glioblastoma, cáncer de pulmón de células pequeñas y cáncer esofágico. Se proyecta que las ventas mundiales de este medicamento ascenderán US\$9.100 millones.

Opdivo será el medicamento huérfano de más venta en Europa alrededor de 2022, con ventas de US\$2.400 millones para todas las indicaciones. Todos los medicamentos huérfanos ya se comercian y según las proyecciones las ventas de todos ellos – con la excepción de uno – seguirán aumentando hasta 2022. Los medicamentos huérfanos probablemente representarán un 55% del valor acumulativo de los medicamentos europeos en desarrollo hasta 2022. Se proyecta que los productos huérfanos que se lancen en los próximos años crecerán a un CAGR del 116%, frente a los futuros medicamentos no huérfanos, que se espera que crezcan a un CAGR del 95%.

EvaluatePharma® halló que el número de medicamentos designados oficialmente como huérfanos en EE UU se redujo en un 6% en 2016, a 333. A pesar de ello, en 2016 hubo un número sin precedentes de solicitudes a la FDA: 582, un 23% más que en 2015. A un ritmo de aceptación del 57%, ello resultó en el nivel de aceptación más bajo desde 2002. En Europa, las designaciones de huérfanos aumentaron un 9% en 2016, frente a la reducción de un 5% en el otoño de 2015.

WBA revela los resultados de su Programa RSC en 2016

Walgreens Boots Alliance (WBA), que incluye su división internacional de distribución de productos farmacéuticos, dio a conocer su Informe Anual de Responsabilidad Social Corporativa correspondiente al ejercicio fiscal 2016, en el que pone de relieve el apoyo constante que la empresa brinda a las comunidades y lugares de trabajos en las que opera, así como el progreso general hacia el alcance de sus metas ambientales y sociales.

“Nuestra compañía está llena de historias inspiradoras de responsabilidad social y ambiental”, expresó Ornella Barra, cogerente de operaciones de WBA y líder de Responsabilidad Social Corporativa (RSC) (y que también integra la junta directiva de la IFPW). “Me siento inmensamente orgullosa de estas iniciativas, que demuestran lo mucho que nuestra gente se preocupa y que son parte indivisible del trabajo que realizamos a diario. Nos fijamos 12 metas retadoras relacionadas con nuestras actividades comerciales y nos complace sobremanera informar nuestro progreso”.

El informe, que cubre el ejercicio fiscal finalizado el 31 de agosto de 2016, fue revelado en el Centro de Conferencias Knight at the Newseum, en Washington, DC. En 2016, WBA avanzó significativamente en su rendición de cuentas de responsabilidad social y corporativa al informar mediciones que sirven como puntos de comparación para la evaluación del progreso futuro.

Por primera vez desde su creación, en diciembre de 2014, la compañía recopiló datos de todos sus negocios sobre donaciones a obras de beneficencia, emisiones de carbono, uso de energía, depósito de desechos, retención de empleados y género de empleados. En el informe de 2016, la compañía mapea sus objetivos de RSC de conformidad con los Objetivos y Metas de las Naciones Unidas de Desarrollo Sostenible. La dedicación

continúa en la página 3

WBA (cont.). . .

de WBA al alcance de esas metas fue reconocida el año pasado cuando la Fundación de las Naciones Unidas honró a la compañía con su Premio al Liderazgo Global.

El galardón puso de relieve, en parte, los logros de la iniciativa de Walgreens de gran impacto “Get a Shot. Give a Shot”, que a lo largo de los últimos tres años proporcionó cerca de 15 millones de vacunas que salvan vidas a niños de países en desarrollo mediante la campaña Shot@Life. Otro evento que cabe señalar es el Día de Narices Rojas 2016, que duplicó las donaciones recaudadas el año anterior y que superaron los US\$20 millones.

WBA tiene sus cimientos en la fuerte tradición de RSC de sus compañías heredadas y apalanca su escala mundial para realmente tener un impacto significativo con programas que reducen el impacto ambiental y fomentan la buena salud y el bienestar en el mundo entero. La compañía identificó 12 metas estratégicas vinculadas a sus actividades comerciales y a sus cuatro áreas principales de RSC: comunidad, medio ambiente, mercado y lugar de trabajo.

“Adoptamos realmente nuestra responsabilidad corporativa y social y la incorporamos a la manera en que operamos nuestra compañía como una empresa sustentable y rentable”, comentó Stefano Pessina, vicepresidente ejecutivo y CEO de WBA (que fue presidente de la junta directiva de la IFPW). “Como campeones de la atención de la salud, para nosotros hay un fuerte imperativo tanto comercial como moral de ser buenos ciudadanos corporativos. La evaluación, medición y supervisión de nuestro impacto ambiental son parte de todas nuestras iniciativas y procedimientos, así como de nuestra consideración de nuevos contratos y oportunidades corporativas. Obrar según estas normas es parte de nuestra labor diaria en nuestros negocios en el mundo entero”.

Nos gustaría compartir su historia vinculada a la Responsabilidad Social Corporativa. Por favor envíe los detalles de su programa a la oficina de la IFPW.

Noticias (cont.). . .

precios de los medicamentos. A menudo, versiones múltiples de genéricos impulsan la competencia de precios.

♦ *James Frary*, el vicepresidente ejecutivo de **AmerisourceBergen**, ha sido nombrado presidente de la división del Norte de Texas de **CEOs Contra el Cáncer**. En ese cargo voluntario se concentrará en una variedad de temas que afectan a los profesionales que trabajan en la mitad norte del estado, incluyendo mejorar la salud de los trabajadores, la productividad en el lugar de trabajo y los costos de atención de la salud.

(Drug Store News, FiercePharma, Press Releases, & Scrip)