

# COHERENCIA POLÍTICA MÁS ALLÁ DE LA RESOLUCIÓN DE ENFERMEDADES RARAS

## PRIORIDAD PARA ESPAÑA Y OPORTUNIDAD PARA EL ACCESO EQUITATIVO GLOBAL A MEDICAMENTOS

El anuncio del copatrocinio español de una resolución sobre enfermedades raras a tratar en la próxima Asamblea Mundial de la Salud refleja la iniciativa del Ministerio de Sanidad por aumentar su presencia internacional. Además, coincide con las negociaciones sobre la Legislación Farmacéutica Europea, que aborda, entre otros temas, los incentivos para desarrollar medicamentos huérfanos (medicamentos para enfermedades raras) en la UE. Finalmente, también se alinea con el desarrollo de un ecosistema nacional para desarrollar y comercializar terapias avanzadas asequibles, cada vez más utilizadas para tratar enfermedades oncológicas raras. Esto crea una oportunidad para alinear las políticas farmacéuticas nacionales e internacionales con el objetivo de ampliar el acceso global equitativo a medicamentos para enfermedades raras.

Este análisis resume algunos de los desafíos derivados de las políticas públicas implementadas para incentivar el desarrollo de medicamentos para enfermedades raras. A través de un breve estudio de caso sobre terapias CAR-T, se justifica la necesidad de coherencia política en las políticas farmacéuticas nacionales e internacionales que mejoren la transparencia y el acceso global equitativo a los medicamentos huérfanos.

### 1 • Qué son las enfermedades raras (1).

Las enfermedades raras son aquellas que afectan a un número muy reducido de personas en un territorio específico. Su baja prevalencia a menudo las hace poco atractivas para que la industria farmacéutica invierta en investigación y desarrollo (I+D) de productos para tratarlas o diagnosticarlas, ya que el retorno de la inversión sería demasiado pequeño.

- La categorización de "enfermedad rara" no está estandarizada a nivel mundial, ni abarca un grupo específico de enfermedades:
- En Estados Unidos, las enfermedades raras se definen como afecciones que afectan a menos de 200,000 personas en el país.
- En Japón, se consideran raras las enfermedades que afectan a menos de 50,000 personas.

- El Reglamento de Medicamentos Huérfanos de la Unión Europea define las enfermedades raras como aquellas que son "potencialmente mortales o crónicamente debilitantes" y afectan a no más de 5 de cada 10,000 personas en la UE.
- Un editorial reciente en The Lancet Global Health definió las enfermedades raras como aquellas que afectan a 1 de cada 2,000 personas en cualquier región de la OMS.

Algunas definiciones de medicamentos para enfermedades raras también incluyen la viabilidad económica como criterio secundario para designar medicamentos como huérfanos. La legislación de la UE permite teóricamente la retirada de una designación de medicamento huérfano si el medicamento ya no cumple ciertos criterios (por ejemplo, si el medicamento se vuelve suficientemente rentable). Sin embargo, tales disposiciones no parecen haberse aplicado.

## 2 • La innovación farmacéutica para enfermedades raras. Un modelo con luces y muchas sombras (1).

Como respuesta a la falta de interés desde la industria, en numerosos países se desarrollaron políticas públicas para incentivar la I+D (1), a través del aumento de la financiación pública en I+D, la reducción de impuestos a la investigación clínica en enfermedades raras, descuentos en las tasas regulatorias, y/o asesoramiento regulatorio a desarrolladores. Además, la comercialización a precios muy elevados, gracias a la extensión de monopolios (exclusividad de mercado), supone un incentivo muy atractivo para la industria.

Si bien las opciones de tratamiento para muchas enfermedades raras han aumentado, esta extensión de los monopolios ha generado una serie de problemas crónicos que ponen la sostenibilidad del sistema en cuestión:

- **Precios inasequibles:** Los medicamentos huérfanos suelen lanzarse al mercado con precios extremadamente elevados, haciendo que su acceso sea inalcanzable para muchos sistemas de salud. La exclusividad de mercado otorga al desarrollador de un medicamento huérfano una cantidad variable de años de monopolio extra (siete en EEUU, diez en la UE). Esto impide la entrada en el mercado de genéricos, biosimilares y de medicamentos para la misma indicación terapéutica, generando precios más elevados, que además crecen a ritmos más rápidos que los medicamentos no-huérfanos.
- **Acumulación de indicaciones huérfanas:** los titulares de estos medicamentos pueden obtener múltiples designaciones de medicamento huérfano para un único medicamento, cada una con su período de exclusividad, extendiendo el monopolio durante décadas. Entre 1983 y 2017, al menos siete medicamentos huérfanos consiguieron 20 años o más de monopolio concatenando designaciones huérfanas(3).

- **‘Segmentación’ de enfermedades:** Algunos fabricantes subdividen enfermedades en categorías más pequeñas para obtener un mayor número de designaciones huérfanas para un solo medicamento. Los estudios muestran que las indicaciones con prevalencias ligeramente superiores al umbral para ser consideradas raras tienen más probabilidades de subdividirse y que los tratamientos para esas indicaciones tienen más posibilidades de venderse fuera de indicación, ampliando la base de pacientes.
- **Enfermedades desatendidas:** La industria se ha centrado principalmente en desarrollar tratamientos para afecciones oncológicas que permiten múltiples designaciones huérfanas y la expansión de la base de pacientes a través del uso fuera de etiqueta, mientras que otras enfermedades raras, ultra-raras y desatendidas permanecen sin atención.
- **Problemas sistémicos:** Además de estos problemas específicos de las enfermedades raras, el mercado de enfermedades raras sufre de otras problemáticas relacionadas con el funcionamiento del sistema de innovación farmacéutica, como son la falta de transparencia en los precios reales que los países pagan por ellos, la opacidad en los costes reales de desarrollo y producción, y la falta de acceso en países de ingresos medios y bajos.

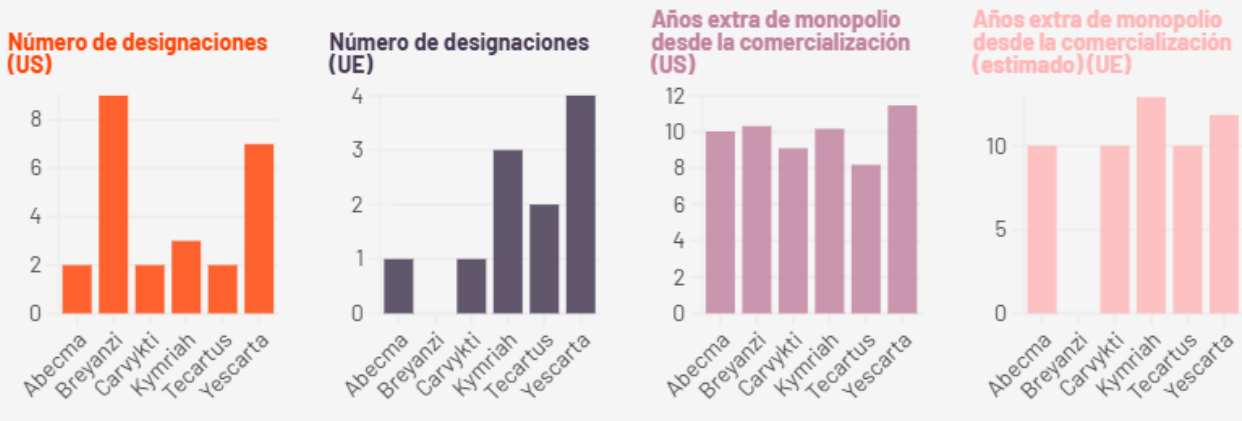
Esta lista de problemas se encuentra ampliamente descrita en la literatura académica. La actual revisión de la estrategia farmacéutica europea propone incentivos para medicamentos huérfanos que alargan el monopolio a 13 años de máximo, si bien es cierto que impediría la concatenación de designaciones. Sin embargo, sigue sin exigir una mayor transparencia, asequibilidad en los precios, o la justificación de que la indicación que se pretende cubrir no es atractiva económicamente, a cambio de recibir estos incentivos.

### 3 • Caso de estudio: Terapias CAR-T como tratamientos huérfanos.

Las terapias CAR-T son un tipo de terapia avanzada que ha sido fundamental para mejorar el tratamiento de varios tipos de cánceres raros. Según la FDA(4) y la EMA(5), todas las terapias CAR-T aprobadas por los dos organismos son medicamentos designados huérfanos (a excepción del Breyanzi en la UE, con tres designaciones retiradas a petición del titular (6)).

Además de los monopolios derivados de las patentes, los incentivos de exclusividad de mercado y la protección de datos regulatorios, las terapias CAR-T disfrutaban de una media de 10.14 años de monopolio extra en EEUU y 10.96 años en la UE, derivados de los incentivos de medicamentos huérfanos. Además, tienen entre 9 y 2 indicaciones huérfanas cada uno en EEUU y entre 4 y 1 en la UE.

## Número de designaciones huérfanas y años extra de monopolio desde la comercialización en la UE y EEUU

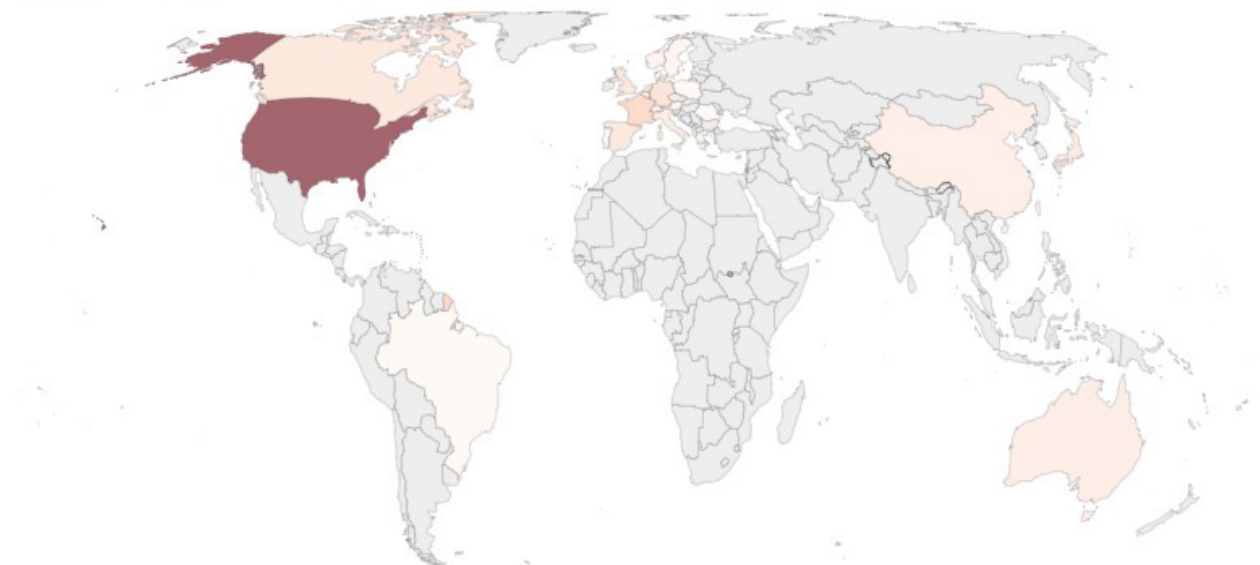


Cuando lo comparamos con el resto de los medicamentos huérfanos en EE. UU., las terapias CAR-T tienen 1.45 años más de monopolio de media y 2.49 designaciones huérfanas más. La falta de datos públicos impide la comparación en la UE.

En términos de acceso global a las terapias CAR-T, es complicado hacerse una idea de los países en los que estas terapias están registradas y disponibles. Sin embargo, un análisis preliminar de los países en los que se han hecho ensayos clínicos con CAR-T comerciales, muestra una imagen muy desigual, con la gran mayoría de los ensayos clínicos realizados en Estados Unidos, Canadá, Europa, Japón, Australia y China. Si bien la realización de ensayos clínicos no asegura el acceso posterior a los tratamientos, sí puede servir como una aproximación de cómo las compañías pueden fijar sus áreas para la comercialización.

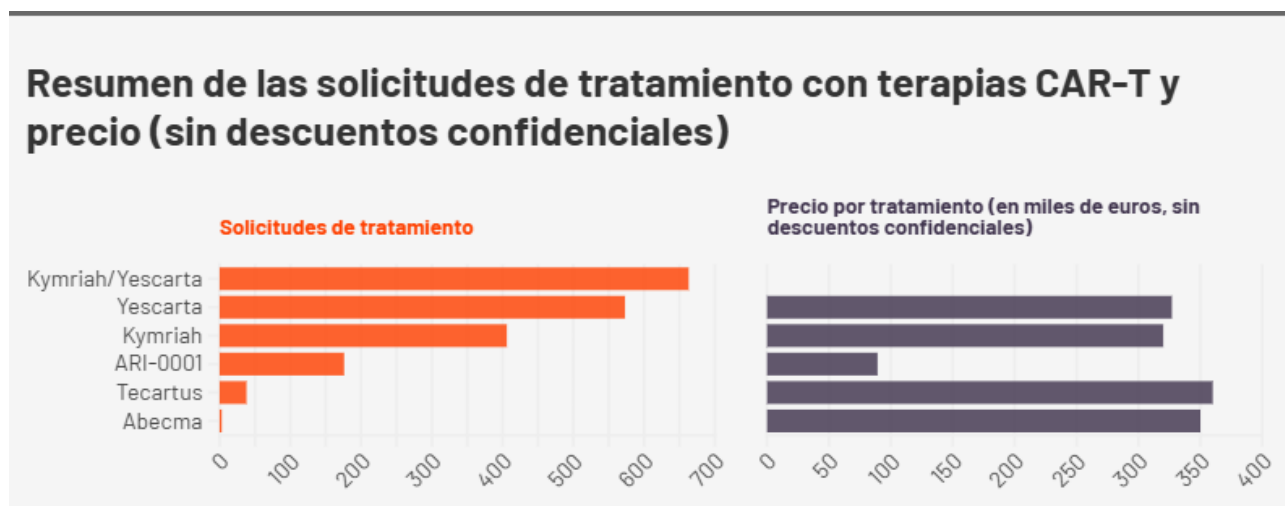
## Número de ensayos clínicos de terapias CAR-T comerciales

1 73



En España, el desarrollo de terapias avanzadas se ha convertido en una prioridad sanitaria e industrial. El país ha invertido en construir una sólida red de investigación preclínica y clínica en terapias avanzadas dentro del sector público, utilizando instrumentos como la Red Terav y los Proyectos Estratégicos para la Recuperación y Transformación Económica (PERTE) de Salud de Vanguardia. Además, la empresa farmacéutica público-privada recientemente creada, Terafront Farmatech, tiene como objetivo desarrollar, fabricar y comercializar medicamentos de terapias avanzadas con principios de sostenibilidad y accesibilidad dentro del Sistema Nacional de Salud (SNS). (7).

De acuerdo con el Plan para el Abordaje de las Terapias Avanzadas en el SNS, en España se han recibido un total de 1859 solicitudes de tratamiento con terapias CAR-T desde marzo de 2019 a junio de 2024, con una tendencia creciente en el número de solicitudes por año(8). Los precios de estas terapias rondan los 400 000 dólares por tratamiento en EEUU, mientras que, en España, antes de los descuentos secretos que realiza la industria, los precios oscilan entre los 360.000€ y los 320.000€(9-12). La excepción a esta norma es el ARI-0001, desarrollado por el Hospital Clínic de Barcelona, cuyo coste es de 89.270 € por tratamiento. Este tratamiento, es uno de los mejores ejemplos del modelo español de I+D para terapias avanzadas, y su uso ha sido autorizado mediante el procedimiento excepcional de exención hospitalaria para casos de Leucemia Linfoblástica Aguda de células B en recaída o refractaria en adultos, un tipo de cáncer considerado raro(13).



Multiplicar el número de solicitudes de tratamiento por los precios indicados arrojaría un costo aproximado de 348 millones de euros (excluyendo los tratamientos combinados de Kymriah y Yescarta, cuyos precios no se han divulgado). Sin embargo, el Ministerio de Sanidad se niega a publicar los precios después de los descuentos proporcionados por las farmacéuticas, lo que hace imposible determinar el costo real de estas terapias para el sistema de salud pública.

Este caso de estudio demuestra de dos maneras cómo las políticas farmacéuticas nacionales e internacionales tienen un impacto interconectado que trasciende las fronteras nacionales. En primer lugar, la falta de transparencia en los precios netos (tras la firma de descuentos confidenciales con la industria) no solo dificulta la rendición de cuentas en España, ya que impide saber cuánto dinero público se gasta en estas terapias, sino que también conduce a costos más altos en otros países, incluidos muchos de ingresos bajos y medianos, que utilizan los precios públicos de España como referencia. De manera similar, los mecanismos de precios secretos en otros países aumentan indirectamente los costos en España.

En segundo lugar, los incentivos de exclusividad de mercado de la Unión Europea para desarrollar medicamentos huérfanos han incrementado el costo de los medicamentos para los Estados miembros de la UE, afectando la sostenibilidad de los sistemas de salud. Sin embargo, estas normas también pueden obstaculizar la estrategia de España para desarrollar terapias avanzadas asequibles a nivel nacional. Según la legislación actual de la UE, así como en las reformas propuestas, ARI-0001 no podría comercializarse en Europa hasta que finalice el período de exclusividad para Tecartus (estimado hasta 2030), a menos que se cumplan ciertas excepciones, ya que ambos tratamientos huérfanos comparten la misma indicación y los incentivos de exclusividad de mercado impiden la existencia de dos medicamentos huérfanos para la misma indicación.

#### **4 · Coherencia política más allá de la resolución de Enfermedades Raras: Liderazgo hacia la equidad**

A lo largo de este documento hemos descrito cómo las políticas nacionales y regionales han creado una serie de problemas sistémicos que impiden el acceso equitativo global a terapias para enfermedades huérfanas, incluidas las terapias avanzadas y CAR-T. Esta sección propone acciones que ayuden a resolver estos problemas sistémicos, aportando coherencia a nivel nacional, europeo e internacional.

##### **Medidas a nivel nacional**

La fijación del desarrollo de terapias avanzadas como una prioridad sanitaria e industrial en España ha comenzado a dar excelentes resultados, generando un ecosistema que puede resultar exitoso a la hora de aunar accesibilidad e innovación. Sin embargo, el ecosistema sigue centrado en el acceso nacional, no orientando sus acciones a cumplir el derecho humano a la salud y el acceso equitativo a medicamentos más allá de las fronteras nacionales. Por ello, pedimos al Gobierno:

- Que de acuerdo con la resolución de la 72.8 de la Asamblea Mundial de la Salud(15), apoyada por España en 2019, se incremente la transparencia en los procesos de fijación de precios netos, compartiendo información sobre dichos procesos y sobre los precios netos de manera pública.

- Que, en línea con la misma resolución, incremente la transparencia en lo relativo al coste de producción y desarrollo de las terapias avanzadas desarrolladas y financiadas desde el sector público español, así como su precio en los distintos países donde se comercialice.
- Que expanda la noción de accesibilidad y asequibilidad de las terapias avanzadas desarrolladas con apoyo público más allá del Sistema Nacional de Salud, asegurando que dichas terapias sean accesibles y asequibles de forma global. Para ello, podría colaborar con las distintas organizaciones públicas y privadas que financian dichas terapias y aquellas que las comercialicen, para desarrollar planes de acceso global que incluya, pero no se limite, al uso de licencias no-exclusivas, la transferencia de tecnología y conocimiento, la colaboración entre instituciones académicas o la financiación de ensayos clínicos en distintos países.

### **Medidas a nivel europeo**

A nivel europeo, los incentivos destinados a fomentar el desarrollo de medicamentos huérfanos deben reformarse para garantizar una mayor transparencia y equidad. Como este documento ha mostrado, el mal uso de los incentivos para desarrollar medicamentos huérfanos obstaculiza el acceso equitativo y la asequibilidad, y puede impedir el desarrollo de terapias públicas como el ARI-0001. Por ello, pedimos al Gobierno:

- Que se oponga al incremento del periodo de exclusividad de mercado, especialmente en aquellos casos en los que el medicamento huérfano ha mostrado rentabilidad económica.
- Que promueva una definición de medicamento huérfano que no solo se base en la prevalencia de la enfermedad, sino que incluya la justificación de que, sin los incentivos previstos en la legislación, no sería sostenible justificar la inversión en I+D.
- Que proponga la creación de criterios de retorno social para acceder a los incentivos, como por ejemplo la publicación de costes de desarrollo, precio neto, la financiación pública, filantrópica y privada recibida para el desarrollo del producto o la elaboración de un plan de acceso global.
- Que proponga la eliminación de los costes regulatorios para entidades académicas y sin ánimo de lucro que desarrollen medicamentos huérfanos.
- Que proteja y promueva el uso de la exención hospitalaria bajo los criterios de interpretación llevados a cabo en España.
- Que colabore con otros Estados Miembro para compartir información relacionada con precios netos de los medicamentos, a fin de obtener una mayor información que redunde en precios más bajos.



## Equidad y transparencia en la resolución de Enfermedades Raras

Todas estas recomendaciones de actuación a nivel nacional y europeo deben reflejarse en las propuestas de España para promover la equidad y el acceso global en la Resolución de Enfermedades Raras. Para ello, proponemos sugerencias al texto de la Resolución en las siguientes áreas:

- Definición de enfermedades raras. Como hemos dicho anteriormente, la definición de enfermedades raras debe tener en cuenta la viabilidad económica (o falta de la misma).

"Llama a los Estados Miembro a colaborar con la Organización Mundial de la Salud para el desarrollo de una definición integral y armonizada de enfermedades raras, que tome en cuenta no solo la baja prevalencia de dichas enfermedades, sino también la falta de viabilidad económica para el desarrollo de productos de salud dirigidos a ellas como condiciones fundamentales para recibir incentivos públicos"

- Condicionamiento y Priorización de la I+D. Dada la financiación pública y filantrópica invertida en I+D para enfermedades raras, y en línea con otros procesos de negociación internacionales que así lo reconocen, es esencial incluir disposiciones en los acuerdos de financiación que promuevan el acceso equitativo global. Del mismo modo, es necesario vincular los incentivos existentes con el desarrollo de planes de acceso global.

"Reconociendo que las inversiones públicas y filantrópicas en investigación y desarrollo para enfermedades raras deben garantizar que los productos de salud resultantes sean accesibles y asequibles a nivel global, particularmente en entornos con recursos limitados, y que dichos acuerdos de financiación promuevan la transparencia, la equidad y la sostenibilidad."

"Instar a los Estados Miembros a incorporar disposiciones en los acuerdos de investigación financiados con fondos públicos y filantrópicos para enfermedades raras, que promuevan el acceso equitativo global, incluyendo condiciones relacionadas con licencias no exclusivas, estrategias de precios asequibles, la sostenibilidad del suministro y la transferencia de tecnología y conocimientos."

"Vincular los incentivos nacionales y regionales para terapias dirigidas a enfermedades raras, con compromisos de acceso equitativo, incluyendo estrategias de precios transparentes, planes de acceso global y medidas para garantizar la asequibilidad y sostenibilidad."



"Priorizar los esfuerzos de investigación y desarrollo que aborden las necesidades insatisfechas de las personas que viven con enfermedades raras, incluyendo colaboraciones internacionales, mecanismos de financiación equitativos y modelos sostenibles de producción y distribución."

- Procedimientos regulatorios. Dado el éxito de la implementación española de la exención hospitalaria y las particularidades de muchas terapias avanzadas, sería interesante la posibilidad de diseminar dicho ejemplo, con el objetivo de que se incluyan procedimientos similares en otras geografías.

"Instar a los Estados Miembros, con el apoyo de la OMS, a trabajar en la armonización de procedimientos regulatorios para la evaluación y aprobación de terapias seguras, eficaces y de calidad para enfermedades raras, incluyendo marcos regulatorios específicos para terapias avanzadas, especialmente aquellos marcos que regulen el uso no rutinario e individualizado de estas terapias, asegurando la seguridad, eficacia y calidad."

- Transparencia. En línea con resoluciones previas de la Asamblea Mundial de la Salud, es esencial que los Estados Miembro incrementen la transparencia en el sector farmacéutico, incluyendo en el sector de las enfermedades raras.

"Reconociendo que la falta de transparencia en los precios y costes, junto con la ausencia de datos abiertos sobre los resultados de investigación, obstaculiza el acceso equitativo a las terapias para enfermedades raras, afectando de manera desproporcionada a los países de ingresos bajos y medios."

"Urge a los Estados Miembro a tomar las medidas apropiadas para implementar el mandato dado en la Resolución 72.8 de la Asamblea Mundial de la Salud "Mejorando la Transparencia de los mercados de medicamentos, vacunas y otros productos sanitarios".

- Transferencia de conocimiento y tecnología. En línea con otros procesos de negociación internacionales y derivado de los aprendizajes de la pandemia del COVID-19, la transferencia de conocimiento y tecnología son puntos esenciales para mejorar el acceso equitativo global.

"Reconociendo que el acceso equitativo a las terapias para enfermedades raras, especialmente en el caso de terapias avanzadas, depende del fortalecimiento de las capacidades globales de investigación, desarrollo y producción, incluyendo la transferencia de tecnología y conocimientos, particularmente en beneficio de los países de ingresos bajos y medios, así como mediante la colaboración y el apoyo internacional."

"Fomentar el intercambio global de conocimiento y transferencia de tecnología, coordinado por la OMS o mecanismos relevantes, para facilitar la producción y distribución equitativa de terapias para enfermedades raras"

- Uso de Flexibilidades de los ADPIC. En línea con otras resoluciones de la Asamblea Mundial de la Salud, el reconocimiento explícito del derecho de los países a utilizar las flexibilidades de los acuerdos ADPIC puede ayudar a dicha aplicación, mejorando el acceso a medicamentos genéricos.

"Reafirmando el derecho de los Estados Miembros a utilizar las flexibilidades proporcionadas en el Acuerdo sobre los ADPIC y la Declaración de Doha para garantizar el acceso a productos de salud asequibles para enfermedades raras, y fomentar esfuerzos colaborativos para maximizar el uso de dichas flexibilidades cuando sea necesario."

## 5 • Referencias

1. *Alonso Ruiz A, Large K, Moon S, Vieira M. Pharmaceutical policy and innovation for rare diseases: A narrative review. F1000Res. 2023 Nov 13;12:211.*
2. *The Lancet Global Health. The landscape for rare diseases in 2024. The Lancet Global Health. 2024 Mar;12(3):e341.*
3. *Padula WV, Parasrampur S, Socal MP, Conti RM, Anderson GF. Market Exclusivity for Drugs with Multiple Orphan Approvals (1983–2017) and Associated Budget Impact in the US. PharmacoEconomics. 2020 Oct;38(10):1115–21.*
4. *Search Orphan Drug Designations and Approvals [Internet]. [cited 2024 Dec 3]. Available from: <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>*
5. *Download medicine data | European Medicines Agency (EMA) [Internet]. 2018 [cited 2024 Dec 3]. Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data>*
6. *EU/3/17/1890 - orphan designation for treatment of diffuse large B-cell lymphoma | European Medicines Agency (EMA) [Internet]. 2017 [cited 2024 Dec 3]. Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-17-1890>*
7. *Diariofarma. diariofarma. 2024 [cited 2024 Nov 26]. La farmacéutica semipública se llamará Terafront Pharmatech Estará presidida por InsudPharma y Rovi e Invierte (Ministerio de Ciencia) serán consejeros. Available from: <https://diariofarma.com/2024/04/10/la-farmaceutica-semipublica-se-llamara-terafont-pharmatech>*
8. *Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia. Plan para el Abordaje de las Terapias Avanzadas en el SNS. Análisis de las solicitudes de tratamiento [Internet]. Ministerio de Sanidad. Secretaría de Estado de Sanidad; 2024 Jun [cited 2024 Nov 25]. Available from: <https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/>*

[docs/20241114\\_infor\\_ms\\_seg\\_plan\\_terapias\\_avanzadas\\_sns.pdf](#)

9. Secretaría de Estado de Sanidad. *Acuerdos de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos. Sesión 241* [Internet]. 2023 [cited 2024 Dec 3]. Available from: [https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/docs/ACUERDOS\\_CIPM\\_241.pdf](https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/docs/ACUERDOS_CIPM_241.pdf)

10. Redacción Médica. *Redacción Médica*. 2021 [cited 2024 Dec 3]. *La primera CART pública ARI 0001 ya tiene precio: 89.270 euros*. Available from: <https://www.redaccionmedica.com/secciones/hematologia-y-hemoterapia/la-primera-cart-publica-ari-0001-ya-tiene-precio-89-270-euros-7483>

11. Secretaría General de Sanidad y Consumo. *Nota informativa de la reunión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos* [Internet]. 2018 [cited 2024 Dec 3]. Available from: [https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/docs/NOTA\\_INFORMATIVA\\_DE\\_LA\\_CIPM\\_187\\_web.pdf](https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/docs/NOTA_INFORMATIVA_DE_LA_CIPM_187_web.pdf)

12. Secretaría General de Sanidad y Consumo. *Nota informativa de la reunión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos*. 2019 Mar 18;

13. Salud por Derecho. *The Hospital Exemption. Increasing access to innovation and local production* [Internet]. 2023 [cited 2024 Dec 3]. Available from: [https://saludporderecho.org/wp-content/uploads/2023/11/HE\\_SaludporDerecho\\_EN.pdf](https://saludporderecho.org/wp-content/uploads/2023/11/HE_SaludporDerecho_EN.pdf)

14. *Guideline on aspects of the application of Article 8(1) and (3) of Regulation (EC) No 141/2000: Assessing similarity of medicinal products versus authorised orphan medicinal products benefiting from market exclusivity and applying derogations from that market exclusivity* [Internet]. 2008. Available from: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A52008XC0923%2803%29>

15. World Health Assembly. *Improving the transparency of markets for medicines, vaccines, and other health products*. WHA72.8 Agenda Item 11.7 May 28, 2019.

## **Nota metodológica**

*Para el análisis de la exclusividad de mercado en terapias CAR-T en Europa, se añadieron 10 años a la fecha de designación como medicamento huérfano siempre que esta fuera posterior a la fecha de autorización de comercialización. En casos en los que la designación es previa a la autorización de comercialización, se sumaron 10 años a dicha fecha.*

*Para el análisis de los ensayos clínicos, se seleccionaron todos los estudios no observacionales listados en [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) que resultaron de la búsqueda del nombre comercial de los tratamientos arriba mencionados.*

*Puedes acceder a las bases de datos aquí: [Archivo](#).*