



ObserveMHe
OBSERVATORIO DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Revisión de artículos

Debates over orphan drug pricing: a meta-narrative literature review

Hanchard MS

Orphanet J Rare Dis. 2025 Mar 7;20(1):107

<https://doi.org/10.1186/s13023-025-03634-2>

Dra. Mariló Edo Solsona

Farmacéutica especialista, Servicio de Farmacia, Hospital La Fe de Valencia

Dr. José Luis Poveda

Coordinador científico
ObserveMHe

Resumen

Las enfermedades raras (EERR) afectan alrededor del 6% de la población mundial con tasas de prevalencia en rápido aumento. Sus tratamientos, generalmente medicamentos con designación huérfana, se denominan medicamentos huérfanos (MMHH) y son cada vez más caros, lo que genera una gran presión sobre muchos sistemas de salud. Por ejemplo, en 2010, once MMHH tenían ventas anuales superiores a los 100 millones de dólares, y el 9 % de los MMHH eran superventas (ventas superiores a 1000 millones de dólares). Además, en EEUU, el coste de los MMHH se multiplicó por 26 entre 1998 y 2017, con aumentos anuales de aproximadamente el 12 % desde entonces. Los ingresos por MMHH han constituido el 20,3 % del mercado mundial de medicamentos con receta a finales de 2024, superando los 1,1 billones de dólares en ventas anuales, cifra superior al producto interior bruto de muchos países. En respuesta, han surgido tensiones en los ámbitos político, académico, de defensa y de políticas públicas sobre el aumento de la prevalencia de EERR, las categorías regulatorias para la designación de MMHH, los métodos de valoración de costes y las implicaciones más amplias para el acceso equitativo de los pacientes con EERR al tratamiento.

Con el fin de realizar un estudio unificado de la literatura que aborde críticamente todas estas tensiones, el autor de este artículo realiza una revisión bibliográfica metanarrativa identificando tres narrativas (una negativa, otra positiva y una tercera que remarca la necesidad de enfoques alternativos/novedosos) en la literatura sobre la fijación de precios de los MMHH, las tradiciones y bases epistémicas sobre las que se asientan y sus puntos de acuerdo/discrepancia.

La literatura de la primera narrativa argumenta que: los costes en I+D de MMHH están agrandados artificialmente; el mal uso de los incentivos regulatorios por parte de la industria genera una especulación excesiva; y se advierte que el capitalismo monopolista desenfrenado en torno a las especialidades de indicaciones y áreas terapéuticas corre el riesgo de agravar aún más, las necesidades insatisfechas. Se basa principalmente en la economía normativa de la salud, con una base arraigada en el idealismo práctico, e incluye aportaciones de académicos, legisladores y activistas. Algunos comentaristas culpan a las deficiencias regulatorias, otros a la industria, pero todos consideran que se necesita una reforma regulatoria, ya que un modelo de libre mercado no se adapta bien a la inelasticidad de los MMHH.

Resumen (cont.)

La segunda narrativa concluye que: los altos precios de los MMHH representan un mercado saludable; los precios están aumentados artificialmente por la competencia del mercado global; la fijación de precios diferenciales implica que los mercados europeos y estadounidenses subvencionan el acceso en otros lugares para aumentar la equidad en el acceso; los altos costes actuales conllevan menores costos futuros, a la vez que apoyan la innovación; y que la formulación negativa de precios elevados de los MMHH tiende a no considerar medidas sociales más amplias ni preferencias expresadas. Los argumentos suelen basarse en las tradiciones empíricas y normativas de la economía de la salud, aunque con una inclinación positivista, e incluyen aportaciones de académicos (independientes y patrocinados por la industria) y de responsables políticos con posturas divergentes sobre el nivel relevante de intervención estatal necesario para contener los precios de los MMHH.

Y finalmente, la tercera narrativa entrelaza diversos hilos, con un pensamiento basado en el idealismo práctico y/o el utilitarismo, y recurriendo alternativamente a bases positivistas (empiristas) y constructivistas con mayor inclinación sociológica. Comparten la opinión de que se necesita una mayor transparencia en la toma de decisiones sobre la asignación de recursos, equilibrando la disposición a pagar con las limitaciones presupuestarias y que se requiere una reforma regulatoria para corregir los procesos de evaluación, valoración y reembolso de los MMHH. Asimismo, las aseguradoras podrían ofrecer mejores criterios de evaluación para abrir nuevas vías de cobertura, a la vez que abordan la presión intangible sobre los pacientes. Las tecnologías emergentes y los enfoques de innovación también se postulan como posibles vías para moderar de forma sostenible los precios de los MMHH.

Comentario

Al sintetizar las tres narrativas en una metanarrativa coherente, la revisión que nos ocupa ha mostrado que el debate sobre los costes en I+D de MMHH entre las décadas de 1990 y 2000 dio lugar a discusiones sobre evaluación, cobertura, incentivos y reembolso. Inicialmente, la discusión se centró en la controvertida cifra de aproximadamente 800 millones de dólares que el Centro para el Desarrollo de Medicamentos (CDD) de la Universidad de Tufts, financiado por la industria, fijó para el desarrollo de nuevos MMHH. A finales de la década de los 1990, varios economistas de la salud, organizaciones sin fines de lucro y políticos consideraron la cifra errónea, y ésta llegó a los 2600 millones de dólares al ser revisada por el CDD generando refutaciones similares a mediados de la década de 2010. Ambos precios se basaron en análisis económicos normativos y/o empíricos, interpretados desde una perspectiva positivista, y se inclinaron hacia el utilitarismo; tanto los precios bajos como los altos de los MMHH beneficiaban a los pacientes con EERR. Las mismas tradiciones subyacentes se mantienen a debate en la actualidad abarcando desde el cálculo de costes en I+D hasta la consideración del coste del tratamiento, pasando por el debate sobre incentivos regulatorios, asignación de recursos, innovación y sostenibilidad del mercado.

En este contexto, una narrativa destaca prácticas indeseables de la industria como el cambio de fármacos, la perennización de patentes, la prolongación progresiva de las indicaciones, la fragmentación de fármacos, el desarrollo de fármacos "imitación", el uso de tácticas de "pago por demora" y una cultura emergente de adquisiciones corporativas en torno a áreas terapéuticas nicho. Varios economistas normativos de la salud consideran estas prácticas como formas de abuso de incentivos destinados a la especulación excesiva, similar al capitalismo monopolista. Estas prácticas se contextualizaban a menudo con las deficiencias percibidas en la legislación sobre MMHH, con la FDA acusada de carecer de criterios de coste-efectividad durante la evaluación en EEUU y la EMA de utilizar la propiedad intelectual de forma desordenada como incentivo en toda Europa. Sin embargo, estos argumentos a menudo se basan en precios de lista como base empírica y en una postura utilitarista que prioriza los costes para cada paciente. En refutación, una segunda narrativa (predominantemente estadounidense) vio a los autores recurrir a la economía empírica y normativa para afirmar que la asequibilidad no es, ni debería ser, un requisito regulatorio. Más bien, el precio de los MMHH producidos por empresas privadas debería dejarse en manos del libre mercado, con precios altos indicando un mercado funcional y probablemente disminuyendo con el tiempo debido al aumento de la competencia.

Comentario (cont.)

Además, la reducción artificial de los precios mediante la regulación podría frenar la innovación futura, aumentando la necesidad insatisfecha. Asimismo, muchos señalan que, si bien los precios de los MMHH pueden parecer altos, una mayor relajación de las medidas existentes de contención de costos respaldaría mejor la innovación futura. Las posturas opuestas de las narrativas uno y dos se relacionan con una discrepancia entre la preferencia expresada/disposición a pagar y el utilitarismo como posturas subyacentes. También, con diferentes posiciones sobre el nivel apropiado de intervención estatal. Una de ellas propone una noción racionalista de que los MMHH son accesibles en un mercado libre; la otra entiende que la sensibilidad temporal del tratamiento de muchas EERR implica que incentivos como la exclusividad en el mercado generan inelasticidad en los mercados de atención médica. Atendiendo a los matices de estos debates, algunos autores muestran (en una tercera narrativa) que la referencia internacional y la fijación de precios diferenciales pueden generar precios aparentemente altos de MMHH en los mercados internos, sin tener plenamente en cuenta su apoyo a una mayor equidad en el acceso. Sin embargo, como argumento compartido y metanarrativa general, los autores de las tres narrativas exigen una reforma regulatoria, tanto en los procesos de tasación, evaluación y reembolso. Algunos instan a mayores medidas de contención de costes y transparencia en los procesos, mientras que otros abogan por un cambio en los criterios y modelos. Estas discusiones derivan en argumentos centrados en soluciones, con una fuerte influencia en las ciencias sociales, que buscan nuevos modelos de innovación.

Si bien esta revisión contribuye a la literatura sobre los precios de MMHH, no está exenta de limitaciones, en particular, al abarcar literatura centrada únicamente en la UE, el Reino Unido y los EEUU. El artículo también revisa la literatura a lo largo de un largo período sobre un tema que ha evolucionado excepcionalmente rápido. Han surgido nuevas políticas y enfoques, y los recientes avances en terapias celulares y génicas han experimentado un crecimiento masivo en el mercado de MMHH, por lo que es probable que muchos debates en la literatura anterior queden rápidamente obsoletos. También en materia política, la promulgación relativamente reciente de la Ley de Reducción de la Inflación por parte de la administración Biden (2022-2024) en 2022 vio a EEUU comenzar a avanzar hacia enfoques basados en el valor para reducir los precios de los medicamentos, incluso para EERR.

Comentario (cont.)

Sin embargo, esto podría revertirse en cualquier momento con la administración del reelegido presidente Trump. Como otra limitación importante, se destaca la falta de participación de los pacientes en la literatura de debates sobre precios de MMHH. Los economistas de la salud representan la gran mayoría de los artículos, con muchos menos artículos de organizaciones de activistas o de pacientes.

Tras todo lo mencionado y acuerdo con el autor, es recomendable que los reguladores consideren tecnologías emergentes y modelos alternativos de innovación con fundamento en las ciencias sociales al revisar los procesos de evaluación, cobertura o reembolso. Por ejemplo, la elaboración de políticas en torno a precios de referencia externa y acuerdos comerciales paralelos (donde estén permitidos) podría generar una presión a la baja que reduzca los costes de los MMHH (y la capacidad de negociación de los pagadores) en regiones como la UE. Sin embargo, se requerirá sensibilidad para evitar la aceleración del acceso y la reducción de los precios netos de los MMHH en los países de la UE con un PIB alto, al tiempo que se retrasa o impide el acceso y el aumento de los precios netos en los países con un PIB bajos, y con ello, una serie de consecuencias sociales impregnadas de inequidad. De manera similar, un movimiento hacia precios basados en el valor también podría reducir potencialmente los precios, aunque con la sensibilidad requerida para resolver varios desafíos de asequibilidad, incluidos los medicamentos que cumplen con los umbrales de coste-efectividad pero que son "inasequibles" dentro del presupuesto a corto plazo de un país. Esta última parece ser la dirección actual de viaje en el Reino Unido, EEUU y varios estados miembros de la UE. Aquí surge una recomendación principal: que los pacientes deben ser centrales en cualquier reforma de precios de MMHH que se adopte. Los pacientes y las organizaciones de pacientes ya han participado activamente en el desarrollo de fármacos, incluida la ejecución y la contribución a diseños de ensayos clínicos innovadores. También como expertos externos para evaluaciones clínicas conjuntas y consultas científicas durante la evaluación de tecnologías sanitarias de nuevos MMHH, incluso a través de organizaciones como el MoCA (Mecanismo Europeo para el acceso coordinado a MMHH). Sin embargo, parece que se podrían crear nuevos roles para que los pacientes participen de forma más significativa en el establecimiento de prioridades y la asignación de recursos para el tratamiento de EERR también a nivel estructural, aportando diversidad de experiencia y pensamiento a estos debates.

Comentario (cont.)

En general, un enfoque hacia las ciencias sociales y el fomento de la capacidad de acción de los pacientes para impulsar cambios a nivel ascendente, en lugar de esperar que la industria y los organismos reguladores lo hagan estructuralmente (a nivel descendente), podrían generar una mayor adopción de la innovación social. En cualquier caso, para sortear el dilema de los altos precios de los MMHH en un ecosistema en rápida evolución, plagado de nuevas oportunidades y riesgos, se requiere un gran esfuerzo de formación de comunidades y de compromiso para adaptarse, siendo los pacientes los que mejor pueden mediar en el diálogo entre la industria, los financiadores y los organismos reguladores, tanto para garantizar la sostenibilidad del acceso a los MMHH como para mantener la estabilidad del mercado.