

Jornada en el Senado

Oportunidades y retos en la regulación, evaluación y acceso a terapias avanzadas

16 de febrero 2025



Introducción

Lasker y PORIB coorganizaron el 16 de febrero del 2026 una Jornada en el Senado titulada: Oportunidades y Retos en la Regulación, Evaluación y Acceso a las Terapias Avanzadas.

La Jornada contó con el aval de la Plataforma de Organizaciones de Pacientes (POP) y la colaboración de Bristol Myers Squibb, Johnson & Johnson y Vertex Pharmaceuticals. El acto fue moderado por D. Ibán García del Blanco, Director de Relaciones Internacionales de Lasker, exvicepresidente segundo de la Comisión de Sanidad del Senado.

El encuentro juntó a un total de 18 ponentes y permitió la realización de una reflexión común sobre el estado actual y las necesidades futuras de las terapias avanzadas en España. Este documento resume las intervenciones y recoge las principales conclusiones del debate. Tiene como finalidad permitir avanzar en el trabajo hacia un mayor desarrollo y acceso a las terapias avanzadas desde la perspectiva de los pacientes, instituciones europeas, nacionales y autonómicas, profesionales sanitarios, economistas de la salud e industria.

Con el aval de:



Patrocinadores:



Regulación y Política Sanitaria

Conclusiones

- 01** El reto principal no es la ausencia de legislación, sino la necesidad de una mayor **agilidad, predictibilidad, coordinación y reducción de duplicidades**.

- 02** El marco actual ya contempla instrumentos como la **financiación condicionada**, el uso de **datos de vida real** o la **exención hospitalaria**, pero su utilización efectiva es el principal desafío.

- 03** Resulta necesario mantener una visión estratégica que equilibre **innovación, sostenibilidad y equidad**, aportando certidumbre a profesionales, pacientes y sector industrial.

- 04** Existe una preocupación estratégica europea por reforzar la **capacidad productiva e industrial** asociada a la innovación.

Evaluación y Financiación

Conclusiones

- 01 El sistema de decisión sigue centrado en el impacto presupuestario inmediato. Sin embargo, las terapias avanzadas requieren un enfoque basado en su **eficiencia y valor a largo plazo**.
- 02 Estas terapias suponen un **cambio de paradigma** y necesitan **modelos específicos de evaluación** que incorporen su potencial curativo, la reducción de tratamientos futuros y la trayectoria clínica completa.
- 03 La reevaluación con datos de vida real debe tener **consecuencias operativas directas**, tanto en precio como en acceso y extensión de uso.
- 04 Es imprescindible reforzar los **sistemas de información y registros clínicos interoperables**; actualmente, herramientas como VALTERMED tienen una utilidad limitada al no estar integradas plenamente con la historia clínica.
- 05 La evaluación debería incorporar no solo la eficacia clínica, sino también la **eficacia del itinerario asistencial y los resultados sociales y funcionales del tratamiento**, con la incorporación de variables como la calidad de vida, el impacto social, la carga del cuidador y el valor percibido por el paciente.
- 06 Contar con **registros clínicos sólidos y revisiones periódicas del valor** permitiría ajustar decisiones y precios conforme se genere evidencia en práctica real.
- 07 El principal desafío no es solo la eficiencia del tratamiento, sino la capacidad de **asumir su coste inicial en el corto plazo** dentro de presupuestos públicos anuales.
- 08 La **fragmentación de la financiación entre Comunidades Autónomas** genera tensiones y podría requerir mecanismos comunes o instrumentos de compensación para tratamientos de alto impacto.
- 09 La **reevaluación de resultados en salud** debe vincularse a mecanismos de financiación dinámica que permitan ampliar acceso cuando se confirme el valor terapéutico.
- 10 La **duplicación de procesos de evaluación o financiación** retrasa la llegada del tratamiento al paciente.

Acceso, Equidad y Organización del Sistema

Conclusiones

- 01 Existe un desfase relevante entre la **autorización europea de terapias y su disponibilidad efectiva en España**.
-
- 02 Garantizar que cualquier paciente acceda al mejor tratamiento con independencia de su **lugar de residencia** sigue siendo un objetivo prioritario del sistema.
-
- 03 El **acceso** no depende únicamente de la aprobación del medicamento. El **diagnóstico tardío**, la falta de **continuidad asistencial** y los retrasos en **procesos administrativos** constituyen barreras críticas.
-
- 04 Los **tiempos de evaluación y acceso en España** evidencian un problema estructural del proceso. La **inequidad territorial** afecta a todo el proceso asistencial, incluyendo cribado neonatal, diagnóstico genético, evaluación, logística, disponibilidad de centros y sistemas de información.
-
- 05 Las terapias avanzadas requieren **modelos asistenciales en red**, con coordinación efectiva entre centros de referencia y niveles asistenciales. Aunque existen infraestructuras relevantes (como centros especializados, redes clínicas, bases genéticas), su uso no es homogéneo entre territorios.
-
- 06 El **retraso diagnóstico en enfermedades raras** evidencia que mejorar el acceso a terapias avanzadas exige reforzar previamente las capacidades diagnósticas.
-
- 07 Las bases de datos genéticas, los sistemas de información compartidos y la monitorización continua son **infraestructuras críticas** para el desarrollo y uso eficiente de estas terapias.
-
- 08 El **acceso compartido a la historia clínica y a los resultados** entre centros y niveles asistenciales facilitaría la equidad, la evaluación y la toma de decisiones basada en evidencia.

Colaboración y Pacientes

Conclusiones

- 01** La **participación de los pacientes** debe consolidarse como un elemento estructural y activo en los procesos de evaluación, financiación y toma de decisiones.

- 02** La **visibilidad social de las enfermedades raras** ha demostrado influir en la investigación, la regulación y las prioridades sanitarias, evidenciando el impacto real de la participación social.

- 03** La **colaboración público-privada** se configura como un elemento estructural e inevitable en el desarrollo, producción y acceso a terapias avanzadas. Esta colaboración debe abarcar investigación, fabricación, innovación clínica, sistemas de datos, equipamiento y desarrollo industrial.

- 04** Los **acuerdos de riesgo compartido** no solo tienen un papel financiero, sino que podrían contribuir a generar confianza entre los actores del sistema y a facilitar la adopción de innovación.

- 05** Iniciativas orientadas a fortalecer la **capacidad productiva y la competencia**, como programas nacionales específicos, pueden contribuir a mejorar la asequibilidad y sostenibilidad del sistema.



Saludo Institucional

Apertura institucional del Senado

D. **Pedro Rollán**, presidente del Senado, ha situado el encuentro en el marco del compromiso institucional con la sanidad y la innovación.

Durante su discurso, ha destacado “el compromiso conjunto de la sociedad y de la Unión Europea hacia la mejora continua de los servicios de salud en nuestra sociedad”.

Ha destacado que la jornada abordará **las terapias avanzadas desde diferentes enfoques**, como son el **ámbito autonómico**, debido a la singularidad de la Cámara con su representación territorial, y desde el **punto de vista del marco regulatorio**, teniendo en cuenta que el Senado tiene capacidad legislativa propia.

Además, ha resaltado que **“España se encuentra entre una de las mejores sanidades de Europa y del mundo**. Desde las instituciones debemos garantizar que la innovación llegue a todos los ciudadanos sin generar desigualdades y asegurando la sostenibilidad de nuestro sistema sanitario”.

También ha destacado que “desde las instituciones se debe fomentar la investigación científica y el uso de nuevas terapias que permitan un beneficio terapéutico a los pacientes”. En este sentido, ha subrayado el **potencial transformador de las terapias avanzadas** en el tratamiento de enfermedades que “hasta hace muy poco tiempo, lamentablemente, se consideraban incurables o de difícil tratamiento”. Estos avances científicos, enfatiza, también plantean una serie de **desafíos** éticos, regulatorios, organizativos y de equidad.

Al finalizar su discurso, el presidente del Senado reflexiona sobre la labor de muchos años que ha hecho posible que **el sistema sanitario español se encuentre entre las primeras posiciones a nivel global**, sobre todo en lo que respecta a los **ensayos clínicos**, “algunos de ellos asociados a las terapias avanzadas”. Sin embargo, “no debemos relajarnos y debemos seguir reforzando los pilares que nos han llevado a esta situación”. Asimismo, concluye que “el verdadero valor de las terapias avanzadas no reside únicamente en la sofisticación de la tecnología sanitaria, sino también en su capacidad para devolver la esperanza a miles de pacientes y familiares”.

Definición clínica e integral de las terapias avanzadas

D^a. Sol Ruiz

Jefa de la División de Medicamentos Biológicos, Biotecnología y Terapias Avanzadas de la AEMPS.

Sol Ruiz ha sido la primera ponente en esta jornada. Ha empezado su intervención explicando qué se consideran terapias avanzadas, mencionando la terapia génica y celular y resaltando su singularidad.

Ha destacado el procedimiento de la Agencia Europea de Medicamentos, que suele tener un proceso de 210 días de evaluación que puede acelerarse y, así, reducirse a 180. Además, ha resaltado que **cada país decide sobre el precio y el reembolso**, por lo que, “aunque un medicamento tenga la opinión positiva de la Agencia Europea de Medicamentos no necesariamente se encuentra disponible en todos los países de la Unión Europea”.

Hablando de **edición genómica**, Sol Ruiz ha afirmado que, en España, tenemos ya varios ensayos clínicos con este tipo de tecnología. En este sentido, destaca que, aunque el número de pacientes pueda ser bajo, “los resultados son realmente robustos”. Posteriormente, ha recurrido a varios ejemplos de medicamentos

y patologías específicas para ilustrar los retos y oportunidades en terapias avanzadas. En este sentido, ha mencionado también la posibilidad de **autorización de uso** que permite a España utilizar medicamentos de fabricación no industrial en hospitales sin necesidad de una autorización de comercialización centralizada (**exención hospitalaria**). Sol Ruiz ha destacado las condiciones para que este uso pueda garantizarse, como son la evidencia de eficacia y seguridad.

Finalmente, ha terminado su ponencia destacando la **investigación y los ensayos clínicos** en España. Ha afirmado que **España tiene un papel de liderazgo, sobre todo, en “enfermedades raras, terapias avanzadas, y medicamentos innovadores”**, no solo en investigación sino también en acceso.



Sostenibilidad e innovación:

Marco regulatorio, evaluación de su valor y acceso a terapias avanzadas



Moderado por:

D. Pedro Carrascal

Director general de la Plataforma de Organizaciones de Pacientes.

D. Miguel Ángel Calleja

Farmacéutico Hospitalario. Ex presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH).

D. Daniel de Vicente

Vocal de la junta directiva de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).

D. Valentín García Gutiérrez

Vicepresidente 2º de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y hematólogo en el Hospital Universitario Ramón y Cajal.

D^a. Isabel Píneros

Directora del departamento de acceso en Farmaindustria.

La mesa se ha inaugurado con la intervención de **Daniel de Vicente**, que ha empezado por destacar que, en los últimos años se ha visto un aumento del interés en enfermedades raras por parte de la sociedad, tanto civil como clínica y científica, y esto se debe en gran parte al papel de las asociaciones de pacientes. Asimismo, ha afirmado que “cuando se da **visibilidad** y además **un marco regulatorio que favorezca este tipo de innovación**, se fomenta la investigación en este tipo de terapias”. Ha subrayado que solo 6% de las enfermedades raras tienen un tratamiento efectivo, y que en España hay cerca de 3 millones de personas afectadas. Además, resalta que se tiene que esperar, de media, 24 meses para acceder a los tratamientos en el país. “Lo fundamental es **garantizar la voz de los pacientes**” y que puedan participar activamente en los procesos, desde la evaluación del medicamento hasta los procesos de financiación.

La mesa ha seguido con la intervención de **Valentín García Gutiérrez**, que ha empezado afirmando que, desde la SEHH, “estamos convencidos de que ya tenemos un ejemplo de **modelo de éxito**, como ha sido la implementación del modelo de terapias CAR-T”. Ha destacado que se debe tener en cuenta la **equidad** a la hora de incorporar nuevas terapias al sistema, garantizando un acceso que “sea fácil para los pacientes”. Estas terapias, ha destacado, **aunque tengan un coste inicial elevado, pueden “ahorrar muchos recursos**, como tratamientos o líneas posteriores y hospitalizaciones”. Además, ha subrayado que el papel de los profesionales médicos es fundamental, y que “probablemente dónde mejor centralizado esté todo es en las sociedades científicas”. Ha expresado su preocupación con respecto a los “criterios de selección de expertos en temas de

financiación y discusión” y “el debate enorme sobre el **conflicto de interés** de los expertos” de forma que, con los criterios actuales, “nadie que se pueda considerar medianamente experto en estas terapias celulares va a poder formar parte de estos comités y vamos a ser excluidos”. En este sentido, ha concluido que estos conflictos de interés (como el hecho de haber participado en ensayos clínicos) no deberían ser considerados como criterio de exclusión, resaltando el papel de las sociedades científicas para solucionar esta situación.

Miguel Ángel Calleja ha destacado, en su intervención, el papel fundamental de la farmacia hospitalaria en el contexto de las terapias avanzadas. Ha subrayado que estamos hablando de terapias que, **“aparte de ser efectivas y seguras, son terapias que en muchos casos son de una sola administración”**, lo que supone una enorme ventaja para los pacientes. Ha hecho hincapié en el hecho de que, **aunque son terapias muy costosas**, el factor de producir una cura significa que **el impacto presupuestario se está reduciendo**, a largo plazo. Con respecto a los desafíos, el ponente se ha centrado en la reevaluación de resultados en salud y los retrasos en la evaluación de la innovación, comparando la situación con Alemania, dónde se tardan mucho menos días que en España.



Isabel Pineros ha cerrado la primera ronda de intervenciones de la mesa, empezando por destacar la cantidad de medicamentos de terapias avanzadas que tenemos actualmente. Sin embargo, y haciendo referencia a la presentación de Sol Ruiz, “cuando se revisan **cuantas de las 22 terapias avanzadas autorizadas por la EMA están disponibles en España, se observan que son solo 9, existiendo un desequilibrio claro**. Por tanto, es necesario, en muchas ocasiones, un **cambio en la organización sanitaria**” y “nuestro sistema sanitario tiene que prepararse para poder incorporar estos medicamentos, pero esto en ningún caso tiene que ser un freno para poder disponer de ellos en un **tiempo mucho más ágil** del que tenemos actualmente”. La directora del departamento de acceso en Farmaindustria ha destacado también un trabajo reciente de la patronal sobre el cribado neonatal; en concreto, sobre la **equidad en el cribado**. Ha subrayado que, sin duda, la actualización del Plan Estratégico de Terapias Avanzadas supuso “un antes y un después” para la entrada de los primeros medicamentos CAR-T en España.

En el segundo turno de intervenciones de la mesa 1, **Daniel de Vicente** ha puesto de manifiesto la importancia del **diagnóstico genético**, afirmando que “el 50% de los pacientes de [enfermedades] raras tardan una media de 5 años en ser diagnosticados, y el 20% de estos pacientes más de 10 años. Además de garantizar el diagnóstico, Daniel de Vicente ha hecho hincapié en la necesidad de que las pruebas diagnósticas se implementen con **equidad**, destacando la **diferencia existente entre Comunidades Autónomas**. Asimismo, ha defendido que hay que ampliar el cribado genético de forma equitativa, sobre todo, para pacientes de enfermedades raras. Además, ha resaltado que otro de los problemas que tenemos es que **no se da continuidad al proceso tras el diagnóstico de un paciente**, para poder acceder a este tipo de medicamentos. En este sentido, el **trabajo en red** es crucial, ya que muchos de estos diagnósticos ya no se hacen a nivel nacional, sino a través de redes europeas de referencia.

Valentín García Gutiérrez ha defendido que “**las terapias avanzadas nos obligan a replantear cómo medimos el valor de estos tratamientos**”, explicando que antes se aprobaban

fármacos en base a supervivencia global, y ahora ya no es el caso. Desde luego, considera necesario evaluar el valor que aportan y en qué se traduce realmente, lo que explica por qué la financiación es más compleja que la aprobación. Ha reforzado la idea de que estos tratamientos ahorran recursos, sean terapias sucesivas, trasplantes sucesivos o fármacos de mantenimiento, por lo que “**hay que cambiar el chip para estas negociaciones y tener nuevos indicadores**” y registros.

Por su parte, **Miguel Ángel Calleja** cree que la clave sería “enfocarnos más en esa **reevaluación de resultados en salud** y que esa reevaluación tuviera una repercusión”, como puede ser un acceso mayor y acelerado. En este sentido, ha considerado que VALTERMED puede ser una herramienta interesante, aunque, ahora mismo, no está enfocada de esa forma, al no estar conectada con la historia clínica. Ha defendido que España necesita “que no funcionemos solo por el impacto presupuestario (...), que actuemos en base al **coste efectividad**”, reforzando la idea de que muchas de estas terapias tienen costes elevados, pero, sí son curativas, este coste sería efectivamente más bajo.

Para finalizar las intervenciones, **Isabel Pineros** ha expresado su concordancia con lo dicho por los demás compañeros de la mesa. Ha destacado que “nos gusta mucho etiquetar a estos medicamentos como medicamentos con incertidumbre, pero curiosamente son medicamentos que tienen una **autorización centralizada**, que han pasado por una evaluación de todos los países de Europa y en los que se ha valorado su **calidad**, su **seguridad**, su **eficacia** y encima se les ha premiado con un balance positivo de **beneficio-riesgo**”. Debido a que tienen datos limitados, “se les da una autorización condicional, pero no para que **se decida su no financiación en España**”, sino porque falta información adicional. Asimismo, la directora del departamento de acceso de Farmaindustria ha afirmado que “**no hay que cambiar ninguna ley ni ningún Real Decreto para tener una financiación condicional**”. Finalmente, ha subrayado que estamos enfocándonos más hacia **acuerdos económicos** y no de **pago por resultados**, lo que no resuelve ningún tipo de incertidumbre terapéutica.

Modelos de financiación y compra pública



D. Manuel García Goñi

Catedrático de Economía Aplicada, Facultad de Ciencias Económicas y Empresariales, Universidad Complutense de Madrid.

Manuel García Goñi ha centrado su ponencia en los modelos de financiación y compra pública.

El catedrático empezó su presentación resaltando algunos datos, como el **incremento en un 66% del gasto farmacéutico**, sumando farmacia hospitalaria, en los últimos 11 años (del 2014 al 2024). En este sentido, ha defendido que **"estamos gastando más, pero también estamos mejorando mucho la calidad de vida de nuestros pacientes y la cantidad de vida de nuestros pacientes"**. Además, **"estamos tendiendo a una medicina muy individualizada"**, por lo que esto supone costes elevados e **incrementos en investigación e innovación**.



Con respecto a los gastos, Manuel García Goñi ha resaltado que, al tratarse de dinero público, tenemos la **necesidad de que el sistema nacional de salud sea eficiente y sostenible**. A estos conceptos, García Goñi añade el de solvencia, porque “no solo se trata de que algo sea coste-efectivo, sino que se trata también de que un tratamiento podamos pagarlo y, a veces, no lo podemos pagar”.

En su ponencia, ha destacado también los **dos tipos de mercados** en los que tenemos innovaciones importantes, sobre todo en **tratamientos farmacológicos y terapias avanzadas**: los que tienen competencia clara y los que no, refiriéndose a la existencia de **alternativas terapéuticas** y subsecuente ausencia de monopolio.

García Goñi ha explicado también la **utilidad de la herramienta Horizon Scanning**, que nos indica aproximadamente lo que “va a llegar en los próximos meses o años al mercado”. En su opinión, es una herramienta importante por varios motivos: en primer lugar, “para que los centros, los hospitales, puedan **acostumbrarse y adaptarse** a resolver al problema de cómo se tiene que proveer ese tipo de medicamentos de terapia avanzada a los pacientes”. Por otro lado, también es importante para que, “a la hora de **fijar los precios** sepamos con qué nos enfrentamos, qué valor se añade respecto a lo que ya hay o a lo que va a haber próximamente de cara a la negociación de esos precios”.

Además, el catedrático ha resaltado los **acuerdos de riesgo compartido**, en línea con lo mencionado por Miguel Ángel Calleja en la mesa 1, que “liman las asperezas de la falta de confianza que puede haber entre la oferta y la demanda”.

Desde un punto de vista económico, el problema con las terapias avanzadas es que son productos nuevos y caros. De esta forma, por un lado, **la oferta necesita recuperar su inversión y desarrollo**, por lo que el precio va a ser elevado y, por otro, la demanda (el pagador) tiene que sufragar esos costes elevados y no conoce cómo va a actuar el mercado/los pacientes susceptibles de estas terapias, con lo cual **la demanda se hace corta. Esto genera desequilibrio, que a la vez genera falta de acceso**.

Finalmente, ha resaltado la necesidad de tener un buen **registro de datos clínicos** que permitan **mejorar la evaluación**, y que esta se vaya revisitando con la generación de datos de vida real, así como **de la revisión de los precios**. El catedrático ha concluido que “las terapias avanzadas están **cambiando el equilibrio de fuerzas entre el sistema público y el sistema privado**”, con una interacción mucho más fuerte por la parte pública y la necesidad de incentivos para ambas partes.

Las terapias avanzadas en España



D. César Hernández

Director general de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia del Ministerio de Sanidad.

César Hernández ha sido el protagonista de la tercera y última ponencia individual de la jornada. Ha empezado su intervención destacando el papel de **liderazgo de España**, en Europa y en el mundo, **en la investigación y al desarrollo de terapias avanzadas**. En su opinión, esto se debe a tres hechos: 1) una estructura académica muy buena en su momento (cerca de 2007); 2) la transformación de la cláusula de exclusión del Real Decreto de fabricación de medicamentos de terapia de fabricación no industrial de medicamentos de terapia avanzada; y 3) el plan del año 2018 de la Dirección General de Cartera y Farmacia para dinamizar la llegada de las terapias CAR-T.

Cada vez va a haber más terapias avanzadas, por lo que se espera que estos medicamentos "sirvan para **cambiar de manera notable el curso de la enfermedad y la calidad de vida de los pacientes**". Esto supone un reto importante, "no tanto para las piezas de legislación que tenemos en marcha, sino por lo que dentro de ellas supone este mundo de las terapias avanzadas (...) también **solapándose con el del mundo de las enfermedades raras**". La legislación, explica, trata de "tener un marco amplio y común donde cada una de las cuestiones encuentren su acomodo", aunque no se hagan referencias explícitas a las terapias avanzadas o las enfermedades raras.

"El reto para el sistema sanitario es **hacer que lo extraordinario se convierta en frecuente**", ha adelantado César Hernández, reforzando la idea de que hay que incentivar la innovación.

El director general ha incidido en el reto que sería tratar los 3 millones y medio de pacientes de enfermedades raras en España con medicamentos que costaran 2 millones de euros por paciente,

lo que resultaría en un **coste "absolutamente inasumible"**. Asimismo, ha insistido en que "la **base presupuestaria** no puede ir extendiéndose de acuerdo con la **carga poblacional**", por lo que hay que seguir incentivando por encima del valor clínico real de un medicamento, pero también generar "competencia entre los diferentes actores que puedan llegar".

Ha destacado también la **existencia de centros especializados en las Comunidades Autónomas (los CSUR)**, dando la oportunidad a que el sistema evolucione. Esto es importante, entre otros factores, para que los pacientes no tengan que desplazarse entre comunidades durante cada una de las fases del tratamiento.

Desde el Ministerio, ha comentado que "el siguiente informe que hagamos (...) incluirá **todos los medicamentos de terapia avanzada**". Además, ha mencionado la importante **Estrategia de la Industria Farmacéutica**, publicada en 2024.

César Hernández ha destacado también la importancia de CERTERA y Terafront, que son las piezas que hacen posible que todo lo que se puso en marcha con el Real Decreto de fabricación de medicamentos de terapia avanzada sirva para que haya más productos y más competencia y, por lo tanto, **más asequibilidad y sostenibilidad**.

Finalmente, ha remarcado la inevitabilidad de la existencia de **colaboración público-privada** en el área de las terapias avanzadas. "España está en un buen lugar para seguir marcando diferencias", y las terapias avanzadas son uno de los focos de la Estrategia de la Industria Farmacéutica.

Construyendo el marco regulatorio de las terapias avanzadas:

El ritmo de la innovación nutre el debate desde Europa a España



Moderado por
D. Manuel Delgado
Socio director de Lasker

D^a. Alba Soldevilla
Vocal del PSOE en la Comisión de Sanidad, Congreso de los Diputados.

D. Rafael Belmonte
Secretario segundo de la Comisión de Sanidad, Congreso de los Diputados.

D^a. Paschalia Koufokotsiou
Policy Officer, DG SANTE, Comisión Europea.

La segunda mesa de la jornada se ha centrado en el marco regulatorio europeo y en los desarrollos nacionales en las terapias avanzadas. La primera ponente ha sido **Paschalia Koufokotsiou**, Policy Officer de la DG SANTE de la Comisión Europea, que ha compartido una presentación relativa a la parte transformativa de las terapias avanzadas en la Unión Europea. En su intervención, ha abordado el procedimiento que requieren estos tratamientos, explicando la necesidad de una **autorización central** y el papel de la **Agencia Europea del Medicamento** (EMA, por sus siglas en inglés) **y de sus comités**. La policy officer ha destacado lo que son las **competencias nacionales** de los Estados Miembros de la UE, como las exenciones hospitalarias, la evaluación de tecnología de salud y las cuestiones relacionadas con el precio y reembolso. Ha explicado también que las terapias avanzadas tienen que administrarse en centros de tratamiento específicos.

Alba Soldevilla ha empezado su intervención destacando tres principios que, en su opinión, la futura ley del medicamento debe reflejar para dar respuesta a las terapias avanzadas: 1) **agilidad**, evitando retrasos, duplicidades o rigideces innecesarias; 2) **predictibilidad y seguridad jurídica**, ya que el sistema funciona mejor cuando los distintos actores saben cómo se evalúa, cómo se decide y en qué plazos se toman las decisiones; y 3) **transparencia**, por parte de la Administración y por parte de la industria. Para garantizar la estabilidad del marco legislativo, la diputada ha destacado la importancia de **"mantener una visión de sistema y de ciclo de vida"**, ya que "las decisiones de esta ley no solo afectan a la autorización del precio, sino a todo el recorrido del medicamento dentro del sistema". Además, ha considerado relevante para conseguir este marco estable de la **participación**

de pacientes, Comunidades Autónomas, profesionales, industria y demás actores.

En su intervención, **Rafael Belmonte** ha resaltado dos principios que considera fundamentales: 1) un riesgo, porque "no son tiempos fáciles para legislar en España en este momento" y 2) la ambición, que complementa lo comentado por Soldevilla anteriormente, con respecto a la agilidad. El diputado ha resaltado que no debemos dejar que "la innovación se la lleve permanentemente Estados Unidos y la producción China" y que Europa se quede con las tareas de legislar y reglamentar. La coordinación, ha explicado, es también fundamental, así como la **subsidiariedad**. Asimismo, el secretario segundo de la Comisión de Sanidad del Congreso de los Diputados ha recalcado la importancia de los **incentivos fiscales**, el tipo de incentivo más claro para las empresas.

En el segundo turno de intervenciones, centrado en la sostenibilidad y sistemas de evaluación, Rafael Belmonte ha destacado como elemento a incorporar en la evaluación la **eficacia del itinerario clínico**. En segundo lugar, ha considerado la cuestión de la **incentivación**, no solo desde el punto de vista de la Administración y de la financiación, sino también en cuanto a un "marco regulatorio más ágil, una Administración más eficaz o un poco más eficiente".

Por su parte, **Alba Soldevilla** ha señalado que "las terapias avanzadas nos ponen ante la pregunta de cómo tomar decisiones cuando **el impacto presupuestario inicial es elevado y la evidencia y los beneficios se consolidan a lo largo del tiempo**".

En este sentido, ha considerado que “la **eficacia clínica** es el eje central de la evaluación”, pero en el caso de las terapias avanzadas “**limitar el análisis solamente a lo clínico puede ofrecer una visión incompleta**”. Soldevilla ha recurrido también al Real Decreto de Evaluación de Tecnologías Sanitarias para resaltar los mecanismos que este prevé, como el hecho de que “permite ajustar decisiones posteriores en función del valor que el medicamento demuestra en vida real”. Finalmente, ha mencionado las características específicas de estas terapias que “obligan a afinar la decisión pública”, como es la **incertidumbre clínica** y el **impacto presupuestario**.

En el contexto de la **exención hospitalaria**, Paschalia Koufokotsiou ha mencionado la publicación, el verano pasado, de un estudio sobre su implementación en Europa. La representante de la Comisión Europea ha destacado la complejidad de las terapias avanzadas, explicando que “la exención hospitalaria proporciona la **flexibilidad** de que las autoridades nacionales puedan aprobar el uso de una terapia avanzada”, insistiendo en que “tiene que haber un uso no rutinario”.



Una visión integral sobre el posicionamiento y el acceso de las terapias avanzadas, desde la perspectiva autonómica



Moderado por:

D. Miguel Ángel Casado

Director de Pharmacoeconomics & Outcomes Research Iberia y presidente de la Fundación PORIB.

D^a. Nekane Murga

Coordinadora de Medicina Personalizada y de precisión y terapias avanzadas de Osakidetza.

D. Gonzalo Balbontín

Director gerente de la Fundación Progreso y Salud de la Junta de Andalucía.

D. Enrique Ruiz Escudero

Portavoz del PP en la Comisión de Sanidad, Senado.

D^a. Concepción Andreu

Vicepresidenta segunda del Senado.

La tercera y última mesa de la jornada se ha enfocado en la perspectiva autonómica, partiendo de la base de la aprobación, en julio de 2025, del Plan de Terapias Avanzadas. **Concepción Andreu** ha tenido la primera intervención, en la que ha puesto de manifiesto los principales **retos que enfrentan las Comunidades Autónomas** en la gestión y toma de decisiones con respecto a las terapias avanzadas. La vicepresidenta segunda del Senado, **Concepción Andreu**, ha empezado por mencionar la **gestión logística**, debido a las particularidades de cada comunidad, que puede abordarse a través del establecimiento de una red sólida para poder llevarla a cabo, incluyendo la **formación de los profesionales**, destacando la importancia de que se formen de la misma manera en todas las CCAA. La **financiación y la evaluación** del valor concreto es el segundo reto que ha destacado Andreu, insistiendo en que sean comunes en todas las comunidades. Finalmente, la **financiación** para la investigación y tratamiento, destacando la importancia de la **colaboración público-privada**. Concepción Andreu ha defendido que las opciones políticas no deben influir en el Consejo Interterritorial, sino que el enfoque debe ser "el valor clínico y sanitario".

Enrique Ruiz Escudero ha empezado por contextualizar la Estrategia Regional de Terapias Avanzadas de Madrid, puesta en marcha en 2018. Ha destacado el **pago por resultados** y que "ahora mismo no hay respaldo jurídico para realizar este tipo de financiación de los medicamentos", por lo que hay que **seguir avanzando para evitar duplicidades**. Enfatiza que "si existe una única evaluación, las Comunidades Autónomas no hagamos otro mecanismo de evaluación para duplicar, porque todo eso va en detrimento del tiempo que tarda el paciente en recibir su tratamiento". Además,

Ruiz Escudero cree que hay que analizar el tema de la **financiación** en España y garantizar la **equidad**, para que cualquier español, "resida donde resida, tenga **acceso al mejor tratamiento** en las circunstancias que cada uno vaya teniendo".

Por su turno, **Nekane Murga** ha destacado que Euskadi tiene un ecosistema que juega a su favor, así como un **sistema sanitario público con un "histórico de trabajo transversal y muy orientado a la equidad"**, en el que se comparte la historia clínica con atención primaria a todos los hospitales. Murga ha mencionado, como ejemplo, el hecho de que "estamos trabajando en una **base de datos genética**" que será importante a la hora de conocer variantes. La ponente ha resaltado la importancia de la **equidad** para que los pacientes puedan acceder a estas nuevas terapias, por lo que **la coordinación es fundamental**.

Gonzalo Balbontín ha hecho una reflexión sobre lo que se ha comentado a lo largo de la jornada, como la equidad, la sostenibilidad o la financiación, afirmando que todo esto aglutina el papel de la Fundación Progreso y Salud, que actúa desde varias perspectivas. "La primera de ellas es que actúa como **coordinadora de la red** de fundaciones gestoras de investigación que están por todas las provincias" de Andalucía, una comunidad muy grande que requiere una coordinación efectiva, actuando como vínculo entre investigadores, empresas y sanitarios, así como organizaciones como pueden ser las universidades. Balbontín ha destacado también la importancia de la **colaboración público-privada y el pago por éxito**, así como en "la necesidad de invertir en la actividad para tener **equipamiento de última generación** y también en **sistemas de información** que permitan monitorizar todo lo que se está haciendo".

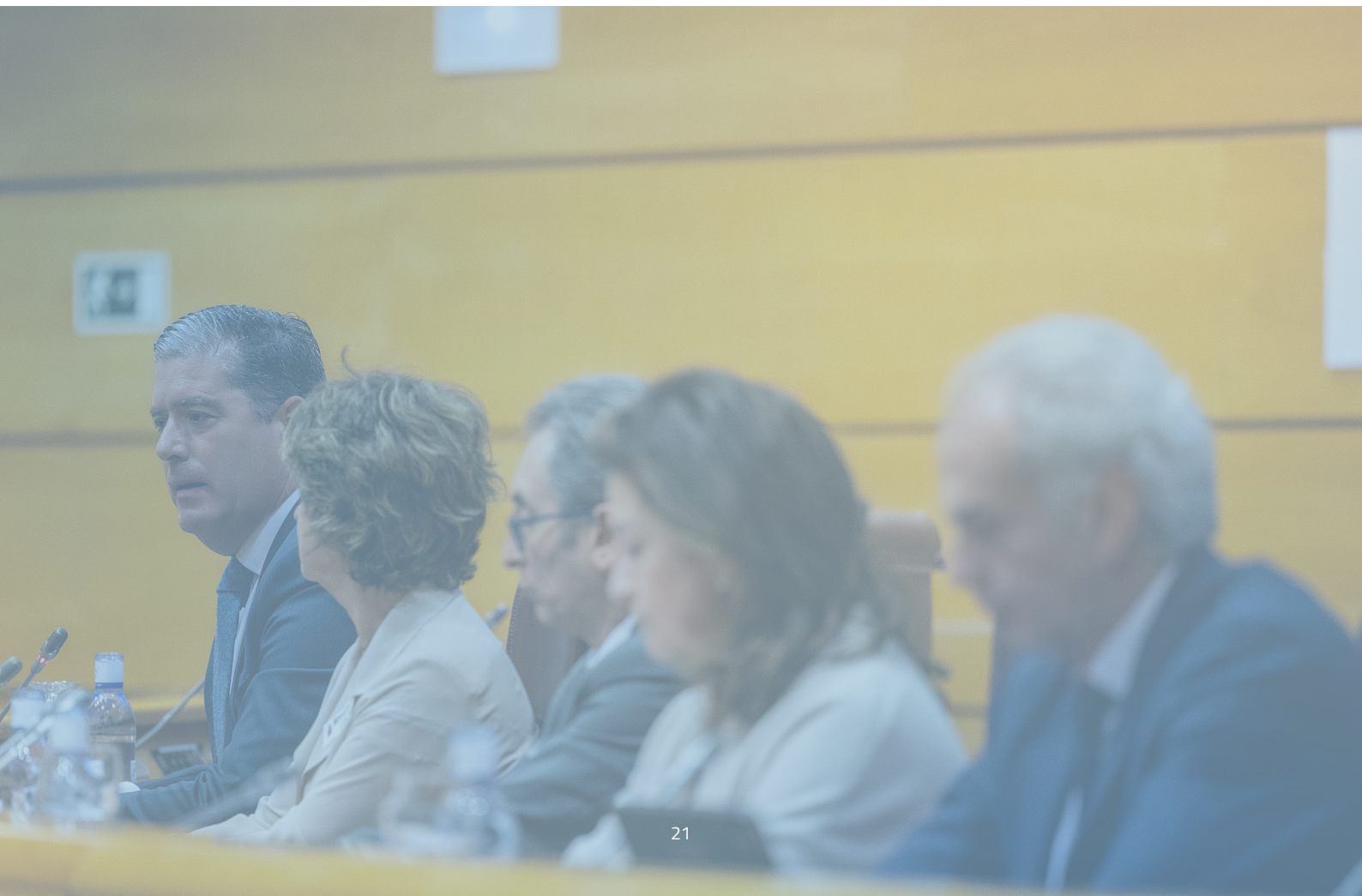
En el segundo turno de intervenciones, **Gonzalo Balbontín** ha defendido que la nueva ley del medicamento “debería establecer un **marco idóneo para que las terapias avanzadas tengan su posicionamiento, dado que su producción y su administración es distinta a los procesos más establecidos**; es decir, tienen una particularidad que merece la pena tener en consideración”. Finalmente, ha resaltado la importancia de tener una coordinación normativa para que se apliquen determinadas medidas de manera homogénea.

Nekane Murga ha mencionado la existencia de herramientas, como la **cartera común de genética** que se ha puesto en marcha hace menos de un año, o la **red ÚNICAS** para coordinar las enfermedades raras. En su intervención, Murga ha defendido las sinergias y el aprovechamiento de todo lo que las comunidades son capaces de lograr, como el sistema de conocimiento de resultados o la identificación de centros de referencia.

Centrándose en las barreras que se encuentran las Comunidades Autónomas, **Concepción Andreu** ha destacado, en primer lugar, la **complejidad burocrática**. En segundo lugar, ha mencionado la

asimetría de la información y la capacidad técnica. Por último, ha considerado la **dispersión y la falta de agilidad**. Asimismo, la vicepresidenta segunda ha defendido que los ajustes necesarios para afrontar estos retos son “**más agilidad, transparencia y acortar plazos de evaluación** de las CAR-T”. Además, hay que “**armonizar y simplificar los criterios de los acuerdos**” y, finalmente, tener una “**financiación centralizada** o una especie de fondo común que desvincule los tratamientos a esas tensiones presupuestarias de cada Comunidad Autónoma”.

Centrándose en la valoración de la financiación de las terapias avanzadas, **Enrique Ruiz Escudero** ha afirmado que “hay que dimensionar cuál es el impacto que tiene la inversión que se realiza en farmacia”. Ha resaltado que el acuerdo al que se llegó en su momento fue que **era la comunidad de origen la que financiaba el tratamiento**, refiriéndose a las comunidades que no tuviesen centros o unidades de especialización que pudiesen recibirlos. El senador ha vuelto a resaltar el **pago por resultados**, que refuerza mucho la **colaboración público-privada**. Dentro de las terapias avanzadas, ha concluido, es necesario “**tener una dimensión mucho más allá de lo que se ha hecho convencionalmente**”.



Cierre institucional

D. Manuel Arellano,
Vicepresidente de la Plataforma de Organizaciones
de Pacientes

Manuel Arellano, ha cerrado esta jornada, empezando su discurso por hacer un repaso de lo que se ha debatido, como la necesidad de agilizar el acceso, garantizar la **sostenibilidad, comunicar entre sistemas o evaluar no solo desde una perspectiva clínica.**

El vicepresidente de la POP ha recalcado que **las terapias avanzadas también tratan la prevención**, para “evitar que la enfermedad vaya peor y que la gente tenga vida”. Aunque la inversión inicial sea elevada, estas terapias mejoran la calidad de vida de los pacientes a lo largo plazo, por lo que no deberíamos centrarnos tanto en el corto plazo.

Las terapias avanzadas, ha expuesto, “son un **cambio de paradigma**”, desde luego en la atención sanitaria. En este sentido, desde la Plataforma de Organizaciones de Pacientes resaltan la importancia de no analizar el valor de las terapias avanzadas solamente desde un punto de vista clínico, porque hay una **visión mucho más amplia** que debemos tener, que engloba la parte social y aspectos como la “**equidad territorial**”, los “**tiempos reales de acceso**”, la “**carga de los cuidadores**” o la “**calidad de vida**”. Concluye, “las innovaciones tienen que dar un valor, pero un valor percibido por la persona”.

España cuenta con un **sistema sanitario público muy sólido, buena colaboración público-privada y profesionales con un nivel altísimo de calidad**. En el ámbito de la discusión regulatoria y de los marcos normativos, “la participación de los pacientes tiene que entenderse como un elemento estructural del sistema”.

Necesitamos una **visión estratégica** a medio y largo plazo que sea “**capaz de equilibrar innovación, sostenibilidad y equidad**, y ofrecer **certidumbre** tanto a los profesionales como a las personas que esperan una opción terapéutica que a veces puede ser su salvación”.

Manuel Arellano ha concluido su discurso de cierre defendiendo que “las terapias avanzadas representan lo mejor de la medicina cuando son **accesibles, evaluadas con rigor, y aplicadas con equidad**”.



Acerca de Lasker

Lasker es una **consultora de comunicación y relaciones institucionales especializada en la gestión de la reputación** y en la construcción de relaciones de confianza entre las organizaciones y sus grupos de interés.

Desde una aproximación estratégica e integrada *-corporativa, institucional, de marca y digital-*, la firma acompaña a empresas, asociaciones y organizaciones en el diseño de estrategias de comunicación, asuntos públicos y gestión de crisis orientadas a resultados.

Con un equipo sénior y multidisciplinar, Lasker combina análisis, creatividad y ejecución para gestionar la conversación pública, anticipar riesgos y oportunidades y alinear los objetivos de negocio con las expectativas de reguladores, medios, inversores y sociedad.

Acerca de PORIB

PORIB es una consultora científica y estratégica especializada en **Evaluación Sanitaria, Acceso al Mercado y Real-World Evidence (RWE)/ Investigación de Resultados en Salud**, fundada en 2004, al servicio de la Industria Farmacéutica y de Tecnologías Sanitarias, Administraciones Sanitarias, Universidades, Asociaciones de Pacientes y Profesionales Sanitarios. Con más de 20 años de experiencia es líder en número de publicaciones en revistas nacionales e internacionales, así como Comunicaciones a Congresos. Desde su fundación más de 100 empresas han confiado en sus servicios profesionales.

PORIB ayuda a demostrar el valor, la utilidad terapéutica y la eficiencia de las intervenciones sanitarias para facilitar la toma de decisiones a los profesionales y el acceso a los pacientes.