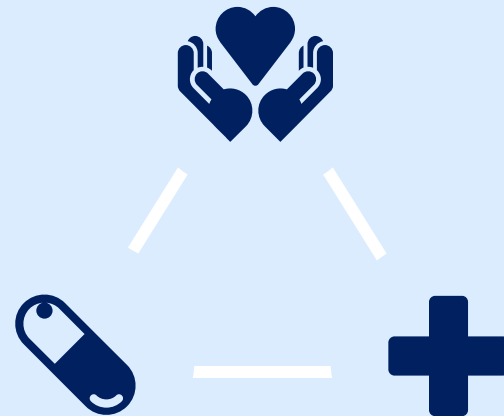




# Encuestas sobre el acceso a los medicamentos para AEH

Médicos y pacientes



Junio de 2022

# **1. Angioedema Hereditario**

## 01 Angioedema Hereditario

El angioedema (AE) es una reacción vascular en el tejido subcutáneo y/o submucoso profundo, con aumento localizado y transitorio de permeabilidad de los vasos sanguíneos que produce edema/tumefacción tisular localizado.

Se trata de una **enfermedad rara**, con una prevalencia estimada en España en 2018 entre 1,1 y 1,6 por cada 100.000 habitantes.

Los pacientes con AEH sufren episodios **recurrentes e impredecibles de hinchazón transitoria**, fundamentalmente de las extremidades, abdomen, cara y vías aéreas superiores. Cuando el AEH afecta al tracto gastrointestinal puede producir edemas en la pared intestinal, resultando en dolor abdominal, náuseas y vómitos. La **inflamación laríngea es potencialmente mortal** pudiendo provocar asfixia.

La impredecibilidad de los ataques de angioedema, junto con la discapacidad, la desfiguración, el dolor y el riesgo mortal **afectan de forma significativa la calidad de vida** relacionada con la salud de los pacientes con angioedema.



## 01 Angioedema Hereditario

El tratamiento farmacológico del AEH con deficiencia del inhibidor de la C1 esterasa se basa fundamentalmente en tres actuaciones:



- **Controlar los ataques** (tratamiento a demanda).
- **Prevenir la aparición de ataques** (PLP).
- **Prevenir la aparición de ataques en situaciones de riesgo**, tales como procedimientos quirúrgicos o médicos (PCP).

Los fármacos más innovadores en España son



- Takhzyro® (fecha de alta en financiación el 01/03/2021).
- Ruconest® (fecha de alta en financiación el 01/01/2021).
- Berinert® Subcutáneo (fecha de alta en financiación el 01/12/2019).

Las innovaciones se basan en la reducción en el tiempo hasta el inicio del alivio de los síntomas, la forma de administración y la posología.



No obstante, se **han observado diferencias en el acceso a fármacos específicos** para el tratamiento a demanda de los ataques de angioedema o para profilaxis a largo plazo.

## **2. Objetivos**

## 02 Objetivos

El proyecto se originó porque AEDAF (Asociación Española de Angioedema Familiar) recibía información por parte de pacientes con AEH sobre la **falta de acceso a fármacos específicos** para el tratamiento a demanda de los ataques de angioedema o para profilaxis a largo plazo.



El objetivo del informe es **analizar si existen diferencias con respecto a las guías internacionales** vigentes en el momento de la encuesta **y con los objetivos del tratamiento** del AEH.

Con ello se pretende:

- Incrementar el conocimiento sobre la disponibilidad y **acceso real de las innovaciones terapéuticas** en los hospitales españoles.
- Concienciar a las autoridades sanitarias y a los decisores políticos sobre las **diferencias en el acceso** para que se puedan llevar a cabo las acciones necesarias sobre la normativa estatal y autonómica.

Las encuestas sobre el acceso a los medicamentos para AEH se componen de:



- Una encuesta online a los **miembros de AEDAF y otros pacientes** residentes en España para preguntarles sobre sus **experiencias personales con el acceso** y la disponibilidad de tratamientos innovadores.



- Una encuesta online a los **médicos que atienden pacientes con AEH** en los diferentes hospitales de las comunidades autónomas sobre la **disponibilidad y acceso a los diferentes fármacos** utilizados.

# **3. Participantes**

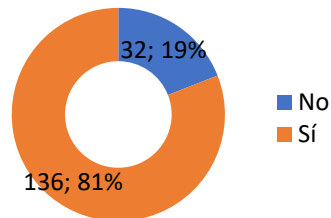
## 05 Participantes



### Encuesta a pacientes

- La encuesta planteada a pacientes de AEH ha contado con un total de **168 participantes**.
- Del total, el 81% de los pacientes están asociados a AEDAF. Esto supone una **importante participación** tanto de los **socios de la AEDAF** como de **personas no asociadas**.

#### Afiliación del paciente a AEDAF



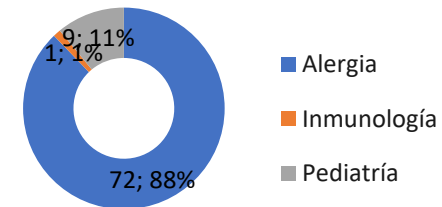
- Las 168 respuestas recogidas representan a **61 centros** de **16 comunidades autónomas**.



### Encuesta a médicos

- La encuesta dirigida a médicos ha contado con la participación de **82 profesionales sanitarios**.
- El 88% pertenecían a la especialidad de Alergología.

#### Especialidad del médico



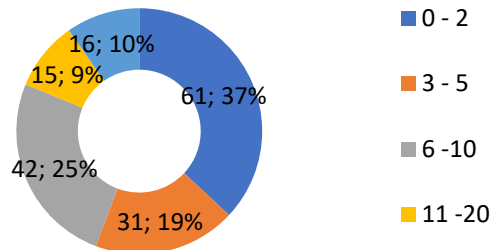
- Los 82 médicos que han participado en las encuestas se distribuyen en un total de **58 hospitales**.



## **4. Resultados de la encuesta a pacientes**

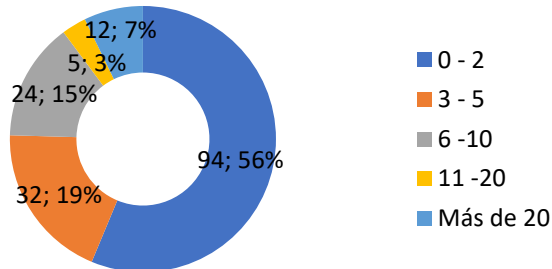
## 05 Resultados de la encuesta a pacientes

### Ataques que han tenido los pacientes en los últimos 6 meses



- En los últimos 6 meses **únicamente el 37%** ha sufrido **menos de tres ataques**, el 19% entre tres y cinco y el 25% entre 6 y 10.
- Además, es destacable que los pacientes con más de **10 ataques** en los últimos 6 meses representan casi **un quinto** de la muestra de encuestados.

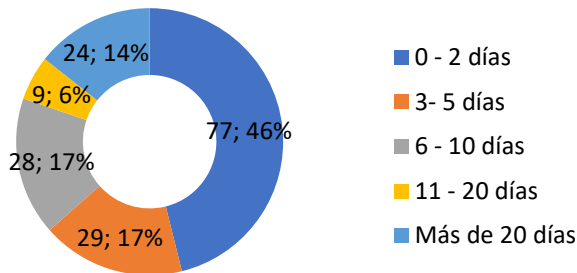
### Nº ataques que han tenido que tratar los pacientes con la medicación recetada para el AE en los últimos 6 meses



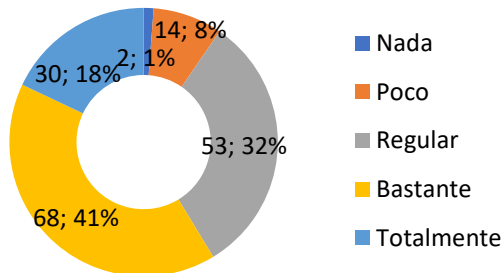
- El **75%** de los encuestados **ha tratado menos de 6** del total de los ataques sufridos en los últimos 6 meses.
- Sin embargo, todavía un **10%** ha tenido que tratar **más de 10 ataques**, y un 7% más de 20 ataques.

## 05 Resultados de la encuesta a pacientes

Nº de días de incapacitación para las actividades diarias, sean en casa, en el trabajo, en el colegio o en el ocio debido al AE en los últimos 6 meses



Consideración de que el paciente puede llevar una vida normal y que tiene cubiertas sus necesidades como paciente de AE



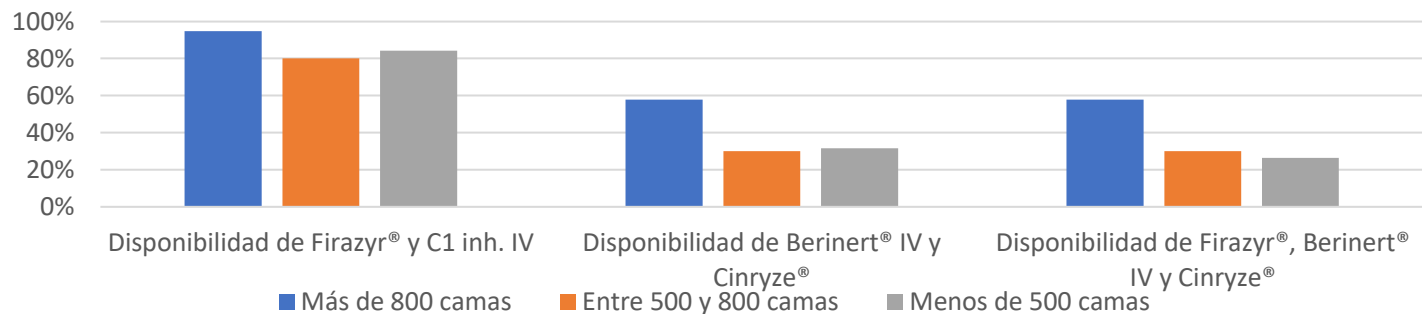
- Los ataques sufridos como consecuencia del AE han provocado que la **quinta parte** de los pacientes con esta patología hayan estado incapacitados más de **10 días en sus actividades diarias** (en el hogar, trabajo, colegio o de ocio) durante los últimos 6 meses.
- Un 14% del total ha estado incapacitado más de 20 días.
- El número de ataques y su gravedad afectan directamente a la calidad de vida de los pacientes.
- Considerando el número de ataques incapacitantes sufridos en los últimos 6 meses, cerca de un **10% de los participantes** declara tener **poco o nada cubiertas sus necesidades** como pacientes.
- Un **32%** de los pacientes afirma que puede llevar una vida **sólo parcialmente normal** debido al AEH.

# **5. Resultados de la encuesta a médicos**

## 06 Resultados de la encuesta a médicos

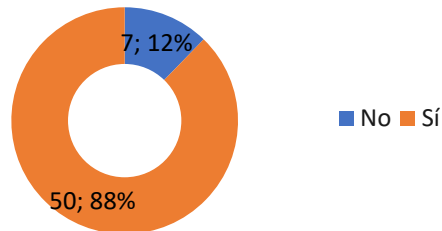
- Los resultados obtenidos del análisis por comunidades autónomas revelan diferencias significativas en la disponibilidad de fármacos que se deben a la variabilidad en la composición de los hospitales según su tamaño. Por ello, los análisis posteriores se han realizado **en base al tamaño del hospital sin considerar la región en la que se encuentra el centro**.
- La **disponibilidad** de fármacos para el **tratamiento de los ataques agudos** de AEH **disminuye a medida que se reduce el tamaño** del hospital. Esta menor disponibilidad en los hospitales de menor tamaño se debe a las mayores dificultades que experimentan los hospitales de menor tamaño para la **inclusión de fármacos de alto impacto presupuestario en la guía farmacoterapéutica** del hospital.
- Estas diferencias indican una **falta de acceso** a los medicamentos en aquellas situaciones en las que **no se atiende al paciente en hospitales de mayor complejidad**. Es por ello por lo que se han creado recientemente los **CSUR** para el abordaje del AEH, con el fin de dar cobertura a todo el territorio nacional y atender a todos los pacientes en igualdad de condiciones independientemente de su lugar de residencia.

Fármacos disponibles en los hospitales para el tratamiento de ataques agudos de AEH según el tamaño del hospital



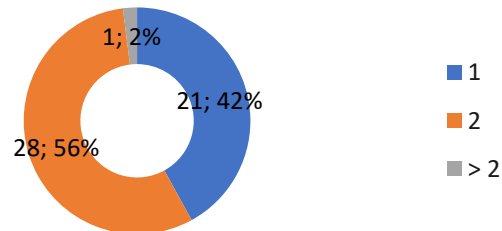
## 06 Resultados de la encuesta a médicos

### Disponibilidad de fármacos para el tratamiento de ataques agudos de AEH en el domicilio del paciente



- Un **88%** de los pacientes pueden disponer de fármacos para el tratamiento de los **ataques agudos** en el **domicilio**.

### Dosis permitidas por los hospitales para el tratamiento de ataques agudos de AEH en el domicilio del paciente

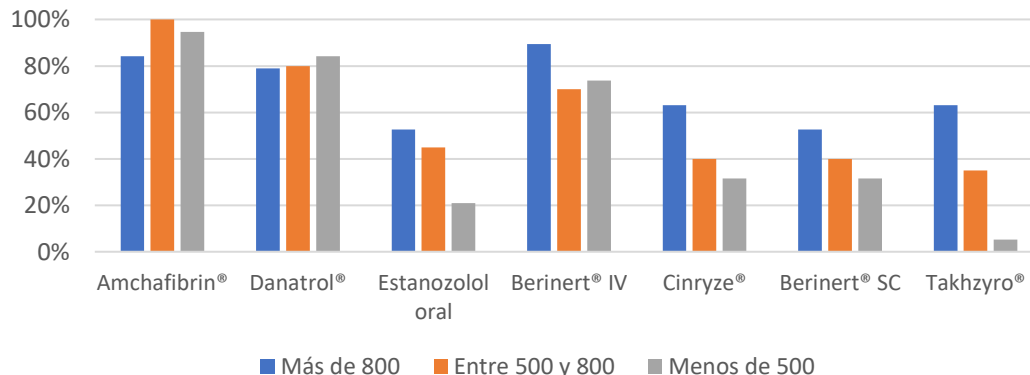


- Las **Guías clínicas** recomiendan que los pacientes dispongan de **dos dosis en el domicilio** para el tratamiento de los ataques agudos.
- Únicamente un **56% cumple con los criterios** de las Guías clínicas.
- Es necesario aumentar la **difusión de las recomendaciones** para que los **protocolos estén alineados** con las guías internacionales.

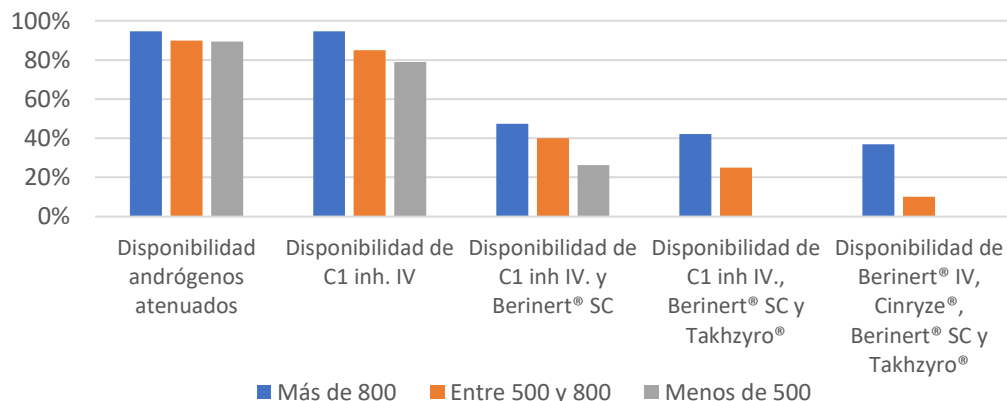
## 06 Resultados de la encuesta a médicos

- De forma análoga a lo que ocurre en el tratamiento para los ataques agudos de AE, **la disponibilidad de la mayoría de los fármacos para la PLP se reduce a medida que decrece el número de camas del hospital.**

Fármacos disponibles en los hospitales para la PLP del AEH (II)



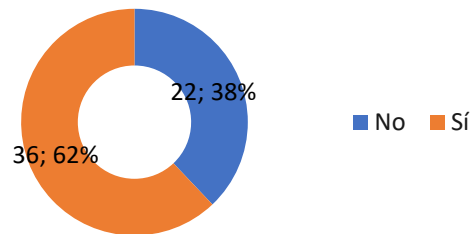
Fármacos disponibles en los hospitales para la PLP del AEH (II)



- Esta menor disponibilidad se debe a que cada hospital debe aprobar la inclusión del fármaco en la guía farmacoterapéutica del hospital, siendo generalmente **más difícil aprobar un fármaco innovador de elevado coste en un hospital pequeño.**

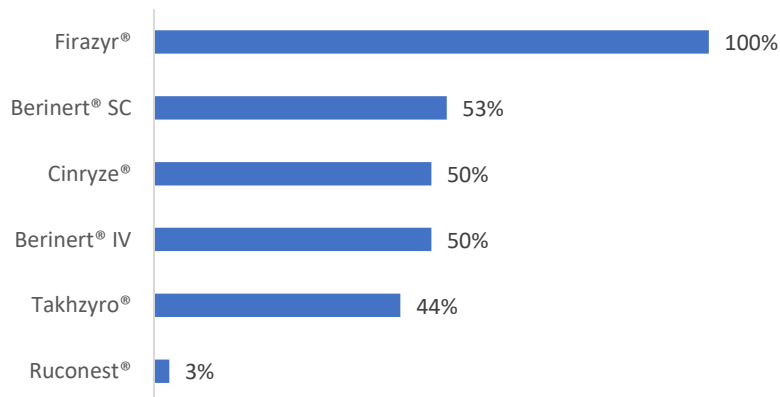
## 06 Resultados de la encuesta a médicos

Disponibilidad de un programa de entrenamiento para la autoadministración de fármacos para el AEH para pacientes y/o cuidadores



- Un tema muy relevante en el abordaje del AEH es la **autoadministración** de la medicación por parte de los pacientes debido al **impacto en la calidad de vida**.
- Cerca de un **40%** de los centros encuestados **no poseen un programa de entrenamiento** para la autoadministración de los fármacos necesarios.

Fármacos incluidos en el programa de entrenamiento para la autoadministración de fármacos para el AEH



- Todos los programas de entrenamiento de los hospitales encuestados incluyen la autoadministración del **Firazyr®** (subcutáneo).
- No obstante, el **resto de los fármacos** disponibles solo se incluyen, aproximadamente, en el **50%** de los hospitales.

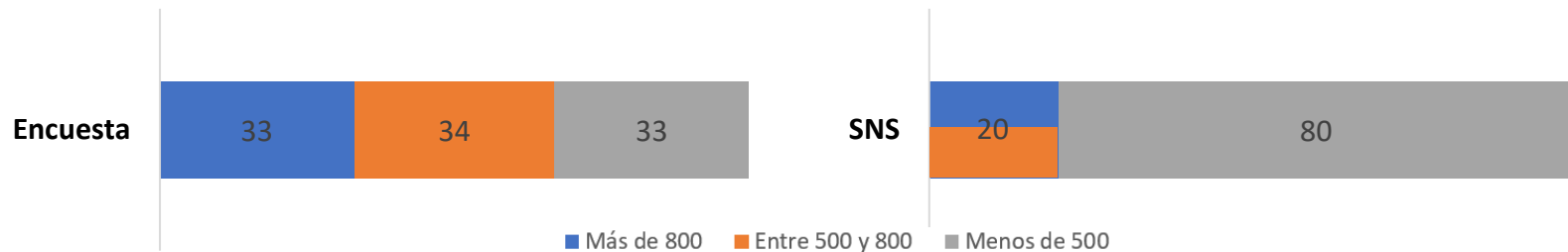


## **6. Consideraciones**

## 07 Consideraciones

Por último, es importante considerar que los datos contemplados en este informe sobre la encuesta de acceso a los medicamentos **reflejan principalmente la situación en los hospitales con mayor experiencia en el abordaje de AEH.**

Distribución de los hospitales según el número de camas (%)



La distribución de la muestra de la encuesta es significativamente diferente a la realidad de los hospitales pertenecientes al SNS. La encuesta ha recogido la situación de la **mayor parte de los hospitales de mayor tamaño**, pero no dispone de una elevada representatividad de los hospitales de menor tamaño.



Los resultados obtenidos en la encuesta a médicos poseen un **sesgo positivo** de los datos dado que han respondido hospitales con disponibilidad de medicación para el AEH. Es decir, la **disponibilidad real posiblemente sea menor a la observada** ya que no han respondido los hospitales con **menor conocimiento de la patología**, y por tanto, con menos fármacos incluidos en la guía farmacoterapéutica del hospital.

# 7. Recomendaciones

## 08 Recomendaciones

A partir de la información obtenida se han elaborado **cuatro recomendaciones específicas enfocadas en mejorar la calidad de vida** de los pacientes con AEH.

1.

**Extender la formación** en unidades que llevan a pacientes con AEH para que instauren **programas de autoadministración** de fármacos específicos con el objetivo de fomentar la igualdad en las posibilidades de autoadministración.

2.

**Difundir las recomendaciones** de las Guías Clínicas entre profesionales médicos, farmacéuticos hospitalarios, etc. sobre la disponibilidad de **dos dosis para el tratamiento de los ataques agudos** en el **domicilio** del paciente.

3.

Difundir las conclusiones del documento de consenso en el que se establece que el **objetivo** final del tratamiento del AEH es el **control total** de la **enfermedad** y **normalizar la vida** del paciente.

4.

Difundir los avances logrados en el conocimiento y abordaje de la patología en España gracias a la reciente creación de los **CSUR**, así como facilitar la **derivación a hospitales con mayor experiencia** en la atención a pacientes con AEH.



Para ello, desde el **Ministerio de Sanidad** y las **comunidades autónomas** se debe diseñar una **estrategia para la implementación de las líneas de actuación definidas** con el objetivo de mejorar la atención sanitaria a los pacientes de AEH.



## Encuestas sobre el acceso a los medicamentos para AEH

Con el patrocinio de:

**CSL Behring**  
Biotherapies for Life™

Con la colaboración de:

**ASCENDO**  
SANIDAD & FARMIA