

**TÍTULO:** “El Golpe” (**del ácido quenodesoxicólico**)

**GÉNERO:** Drama

**DURACIÓN:** 10 años.

**SINOPSIS:**

Cuenta la historia real de una operación sorprendente: **“convertir 4.500€ en 15 millones de euros”**, a la vista de todos y con la colaboración entusiasta de algunos asistentes al espectáculo. Pero cuando termina, los espectadores comprueban incrédulos que los 15 millones han salido de sus bolsillos.

**THE PLAYERS** - Los protagonistas: Personajes principales

- Un laboratorio farmacéutico.
- Una legislación permisiva.
- Una Autoridad Sanitaria negligente.
- Un público condescendiente.

**THE SET-UP - EL PLAN:** Proyecto

Comprar un medicamento existente en el mercado que sea muy útil, muy barato y muy necesario para pocos pacientes y transformarlo en el mismo medicamento igual de útil, igual de necesario también para muy pocos pacientes pero **multiplicando su precio un 157.677% y liquidando la competencia.**

Al final se cambiará el nombre del medicamento y del laboratorio implicado para darles una nueva imagen pública.

**THE TALE** - El tinglado

Desde 1973 estaba autorizado en España el medicamento **Quenobilan** con CN 816.683, propiedad del laboratorio Estedi S.L. y con un PVL en 2008 de 4,46€/envase de 48

cápsulas, cuya composición era Acido **Quenodesoxicólico** 250 mg/cápsula, un ácido biliar que se produce de manera natural en el hígado de los seres humanos, que estaba autorizado para disolver los cálculos biliares de colesterol y tenía un consumo de unos 1000 envases anuales.

Desde 1937 se conoce la **Xantomatosis Cerebrotendinosa** (XCT), enfermedad que suele comenzar en la infancia con diarreas, en la juventud se evidencian cataratas y en la tercera década de vida provoca discapacidades neurológicas que progresan hasta la provocar la muerte.

Desde 1971, se sabe que el ácido **Quenodesoxicólico** (CDCA) está virtualmente ausente en los pacientes con síntomas clínicos de XCT.

En 1975 Gerald Salen realizó con éxito estudios de tratamiento de reemplazo con CDCA a pacientes con XCT.

En 1980 se implicó la deficiencia de la enzima 27-esterol-hidroxilasa en la fisiopatología de XCT. Esta enzima es necesaria para la síntesis del CDCA.

En 1984 Berginer VM. y Salen G (N Engl J Med. 1984; 311(26):1649-52) realizaron con éxito estudios de tratamiento de reemplazo a largo plazo con CDCA a 17 pacientes con XCT.

En 1991 se descubrió que la causa de XCT era mutaciones en el gen *CYP27A1* y desde entonces se han descubierto más de 50 mutaciones diferentes que disminuyen la actividad de este enzima en los pacientes con XCT.

En enero de 2000 se publica en Europa el Reglamento sobre Medicamentos Huérfanos:

- Los Medicamentos Huérfanos son medicamentos autorizados para enfermedades raras.

- Son enfermedades raras las potencialmente mortales o crónicas que afectan a no más de 5 de cada 10.000 personas en la UE.
- Su designación confiere a la compañía el disfrute de incentivos como:
  - Asistencia con el protocolo y asesoramiento científico a un precio reducido.
  - *Exclusividad comercial durante 10 años. ¡El monopolio!*
  - Tarifa reducida para las solicitudes de autorización de comercialización.
  - Acceso a ayudas para la investigación y el desarrollo.

Desde 2006 se sabe que XCT tiene una prevalencia estimada de 1 caso por cada 50.000 individuos en la población blanca.

En 2013 Ginanneschi F, Mignarri A, Mondelli M et al realizaron con éxito estudios de tratamiento de reemplazo a largo plazo con CDCA a 35 pacientes con XCT.

### **THE WIRE** - La trama.

En 2008 Sigma-Tau compra todos los medicamentos genéricos de ácido Quenodesoxicólico autorizados para darlos de baja. En España se da de baja Quenobilan en julio de 2008.

El 27/5/2008 Sigma-Tau solicita el registro en Alemania del mismo medicamento con otro nombre (Xenbilox) para la misma indicación (disolución de los cálculos biliares de colesterol) que tenía el de Estedi en España cuyo precio sube hasta 3.903€ por envase. Pasa de un coste de 0.092€/cápsula a 39.03, un aumento del 42.000%

El 13/11/2014 el ácido quenodesoxicólico Sigma-Tau recibe la opinión positiva del Comité de Medicamentos Huérfanos de la EMA (COPM) recomendando su designación como

medicamento huérfano, lo que se otorga por la Comisión Europea el 14/12/2014.

El Resumen público de opinión del COMP, de 21/5/2015, para la designación de medicamento huérfano se basa en que “En el momento de la designación, los afectados por errores innatos en la síntesis primaria de ácidos biliares afectados no son más de 0,2 por 10.000 personas en la Unión Europea (UE), lo que está por debajo de techo de 5 por 10.000 personas”

**Este dato de 0,2 por 10.000 ya se conocía desde 2006 (1 por 50.000).**

El 14/9/2015 Sigma-Tau solicita autorización de comercialización para **chenodeoxycholic** acid sigma-tau usando Xenbilox como medicamento de referencia para los datos de aspectos no clínicos y para los aspectos clínicos se apoya en dos estudios retrospectivos y revisiones de la literatura científica. No realizó estudios farmacocinéticos.

El 1/4/2016 Sigma-Tau cancela el registro de **Xenbilox** en Alemania.

El 15/9/2016 el Comité de Medicamentos de Uso Humano de la EMA emite su opinión positiva recomendando conceder la autorización de comercialización a Ácido quenodesoxicólico Sigma-Tau para XCT.

El 28/2/2017 Sigma-Tau Pharmaceuticals, Inc. anuncia que cambia su nombre por Leadiant Biosciences, Inc.

El 10/4/2017 el Ácido **quenodesoxicólico** Sigma-Tau es autorizado por la EMA. El Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) califica el Ácido **quenodesoxicólico** Sigma-Tau como medicamento híbrido, es decir similar a otro medicamento de referencia con la misma composición, en este caso Xenbilox, pero para una indicación diferente.

El 24/4/2017 Sigma-Tau solicita el cambio de titularidad de la declaración de medicamento huérfano a Leadiant.

El 8/6/2017 la Comisión Europea concede dicho cambio de titularidad.

### **THE STING** (El golpe)

En 2017 el laboratorio Sigma-Tau cambia de nombre y pasa a llamarse Leadiant Biosciences.

En julio de 2017 Leadiant comercializa el Ácido quenodesoxicólico Leadiant a un precio de 14.618€/envase de 100 cápsulas, *gracias al Monopolio concedido por la UE.*

En 9 años el precio para el paciente/financiador ha pasado de 0.092€/cápsula a 146,18 es decir un incremento del 157.677%. Lo que en 2008 costó al SNS 4.500€ a PVL, en 2017 le costaría 15.000.000€

Y como en 2016 Sigma-Tau había cancelado el registro de **Xenbilox**, único medicamento que quedaba en Europa autorizado para disolver los cálculos biliares de colesterol, cualquier otro laboratorio que desde ese momento quiera volver a registrar el ácido **quenodesoxicólico** para esa indicación necesitará hacer nuevos ensayos clínicos, pero su elevado coste asegura a Leadiant que no tendrá competencia.

Sin trampa ni cartón, todo legal ¡y con la inestimable ayuda de la Unión Europea!

## **CINE-FORUM:**

La conclusión evidente de esta película es que ***urge que la Unión Europea y los países miembros cambien la legislación sobre patentes y exclusividades de medicamentos***, es decir, las leyes que conceden monopolios a una empresa para un medicamento, permitiendo precios abusivos. La UE apoya los monopolios con el argumento de que el sobre-precio que pueden fijar los laboratorios es un “incentivo” para que los laboratorios hagan investigación. Pero ***la UE no comprueba qué investigación se ha hecho, y con qué costes; tampoco se preocupa de ver qué precios fijan los laboratorios y qué beneficios obtienen***; por lo tanto, no comprueban si el “incentivo” que pagamos con dinero público o de los pacientes, es proporcional o es exagerado. Esta falta de diligencia permite que las empresas abusen del “poder de mercado” que les dan los monopolios, fijando precios exagerados. Al mismo tiempo nadie ha podido demostrar, desde que se implantaron las patentes y las exclusividades, que haya mejorado la investigación. Lo que sí han aumentado son los beneficios de las empresas y las barreras en el acceso para los pacientes y los sistemas de salud. Es preciso prohibir los monopolios en los medicamentos. ***Este relato muestra con toda crudeza que el argumento de las empresas para pedir “incentivos” para la investigación (monopolios y precios abusivos) es radicalmente falso.***