



Guía básica de la política del RDLA:

Antecedentes de la Ley de Tarifas para Usuarios de Medicamentos Recetados (PDUFA)

Información de fondo: La Ley de Tarifas para Usuarios de Medicamentos Recetados (PDUFA) fue promulgada por el Congreso en 1992. En un esfuerzo por brindar apoyo a una muy necesaria infraestructura de revisión regulatoria dentro de la Administración de Medicamentos y Alimentos (FDA), la ley facilitó la creación de estos recursos al permitirle a la FDA cobrar tarifas a los fabricantes de medicamentos para el proceso de aprobación de medicamentos en dos instancias de la revisión de un producto: una en el momento en que se presenta la Aplicación de un Medicamento Nuevo (NDA) o Aplicación de Licencia de Productos Biológicos (BLA), y una luego de su aprobación. Dichos fondos se asignan para ser utilizados en el proceso de aprobación de productos del Centro de Evaluación e Investigación de Fármacos (CDER) o del Centro para la Evaluación e Investigación de los Productos Biológicos (CBER).

A su vez, la FDA debe cumplir ciertos parámetros de desempeño relacionados con la línea de tiempo del proceso de revisión. El objetivo de la PDUFA era mejorar la duración de los tiempos de aprobación de los productos en la FDA. La FDA necesitaba personal adicional para lidiar con el atraso de productos que estaban esperando la autorización para salir al mercado y no había recibido suficientes fondos por parte del Congreso para hacerlo. Dado que la PDUFA fue promulgada como ley, las tarifas para usuarios tuvieron un papel importante en acelerar el proceso de aprobación de fármacos y productos médicos.

La PDUFA se reautoriza cada cinco años y ha sido reautorizada cinco veces desde 1992 en 1997, 2002, 2007, 2012 y 2017. La siguiente reautorización, también conocida como PDUFA VII, será en 2022.

La última reautorización, PDUFA VI, fue aprobada en 2017 e incluyó las siguientes mejoras:

- Inclusión oficializada de los datos de experiencia del paciente (PED) en el desarrollo de medicamentos y en el proceso de revisión, incluido el uso de los resultados informados por los pacientes;
- Uso de pruebas reales para la toma de decisiones regulatorias;
- Proceso dedicado para mejorar el uso de biomarcadores como parámetros secundarios en el desarrollo de fármacos.

Consideraciones futuras para la política de la PDUFA: La PDUFA VII tendrá que ser reautorizada en septiembre del 2022. La PDUFA VII es una oportunidad para que la comunidad de pacientes con enfermedades raras mejore todavía más los canales de aprobación de medicamentos para enfermedades raras en la FDA.

Recursos:

- [Seminario web mensual del RDLA \(julio 2020\)](#)
- [Información acerca de la PDUFA VII en el sitio web de la Fundación EveryLife](#)

Rare Disease Legislative Advocates (RDLA, Activistas Legislativos de Pacientes con Enfermedades Raras) es un programa de la fundación para enfermedades raras EveryLife que apoya la defensa de todos los pacientes con enfermedades raras y las organizaciones vinculadas a estas. El programa RDLA tiene el compromiso de desarrollar la comunidad de defensores de los pacientes y trabajar de manera colaborativa para amplificar la voz del paciente para que sea escuchado por los legisladores locales, estatales y federales. Para recibir asistencia, puedes ponerte en contacto con Shannon von Felden, Directora del programa RDLA, a la siguiente dirección de correo electrónico: svonfelden@everylifefoundation.org.

www.RareAdvocates.org

@RareAdvocates

