



# **RETOS ECONÓMICOS EN MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

Josep Darbà

Universitat de Barcelona

**23/10/2008**

# OBJETIVOS

Los objetivos de esta presentación son:

- I. Analizar la situación actual para financiar I+D y la prescripción de MH
- II. Analizar los métodos de evaluación económica
- III. Analizar los retos económicos

# I+D EN ENFERMEDADES RARAS

- Históricamente los pacientes con ER no han tenido acceso a nuevos desarrollos comerciales
- Muchos países tiene una legislación especial para ER
- Legislación que promueve el desarrollo de estos fármacos
- Se fomenta la innovación mediante subsidios, reducción de impuestos, solicitud de aprobación a menor coste, exclusividad en el mercado y resoluciones rápidas

# FOMENTO DE I+D

- En EEUU sólo 10 tratamientos para ER fueron comercializados 10 años antes de la entrada en vigor de la legislación de MH
- 282 medicamentos y productos biológicos han sido comercializados después de su aprobación
- En la UE se han autorizado 22 medicamentos para ER en 5 años
- Más de 1 millón de personas se beneficiarán de estos tratamientos

# ACCESO Y REEMBOLSO

- El impacto en la esperanza y calidad de vida no son tan evidentes
- Las decisiones de acceso y reembolso se toman a nivel nacional o regional
- Varios estudios constatan la variabilidad y las restricciones en el acceso al tratamiento
- En sólo 9 de los 25 países de la UE han sido comercializados los 10 fármacos aprobados
- En sólo 1 de los 25 países fueron los 10 fármacos incluidos en la lista de reembolso nacional

# EN EL REINO UNIDO

- En el Reino Unido sólo un 69% de enfermedades raras reciben tratamiento (38 enfermedades de un total de 62)
- Cuando existe un tratamiento disponible, sólo en un 34% se da un acceso incondicional por el NHS
- En un 31% de los casos el tratamiento es selectivo suministrado por distintas autoridades sanitarias
- En un 34% de los casos restantes el tratamiento no está disponible

# EN LA UNIÓN EUROPEA

- En sólo 1 de los 26 países se podía acceder a los 12 medicamentos autorizados
- En 9 de los 26 países estaban disponibles la mitad de los medicamentos (datos de 2004)

# EVALUACIÓN ECONÓMICA

- Decisiones de precio y reembolso en base a criterios farmacoeconómicos.
- ¿Se incorporan adecuadamente las preferencias sociales en el tratamiento de ER?
- Principio de equidad: los paciente con ER deberían tener las mismas oportunidades de recibir tratamiento que el resto de pacientes

# EVALUACIÓN ECONÓMICA

- Cálculo del ratio coste-efectividad incremental de la nueva terapia en comparación con los tratamientos existentes
- El ratio coste-efectividad incremental es normalmente muy elevado para los medicamentos huérfanos
- Ensayos clínicos con pocos individuos implica poca evidencia clínica

# EVALUACIÓN ECONÓMICA

- Con los métodos habituales de EE ningún MH sería coste-efectivo
- Sin embargo, el impacto presupuestario es moderado (0,7% - 1% del presupuesto farmacéutico)
- ¿Tiene sentido incentivar la I+D si luego no se van a reembolsar?
- ¿Tiene sentido aplicar los principios estándares de EE en ER?

# EVALUACIÓN ECONÓMICA

- Factores al margen del ratio coste-efectividad:
  - I. Gravedad de la enfermedad
  - II. Disponibilidad de otras terapias
  - III. El coste para el paciente si el medicamento no es reembolsado
  
- Muchos MH representan:
  - I. La única opción terapéutica
  - II. El coste para el paciente incrementaría
  - III. En la UE, en el 40% de los casos no existía un tratamiento satisfactorio

# LA EXPERIENCIA DEL REINO UNIDO

- Los estudios de EE son necesarios, pero insuficientes, para la toma de decisiones
- Razones explícitas para recomendar tratamientos con un ratio coste-efectividad incremental elevado
- Motivo de rechazo: edad, nivel de ingresos, clase social, sexo, orientación sexual, grupo étnico
- Motivo argumentado: innovaciones que significan una mejora importante en la salud cuando no existía ningún tratamiento (NICE)

# RETOS ECONÓMICOS

- Aspectos relevantes:
  - I. Determinar el valor social de los medicamentos huérfanos
  - II. Financiar el desarrollo y consumo de medicamentos huérfanos

# EL VALOR SOCIAL

- Los estudios de EE no incorporan el valor social de los MH
- Los costes del tratamiento pueden ser elevados cuando las ventas son pocas a nivel mundial
- Cuando existen pocos pacientes en los ensayos clínicos es difícil determinar las ganancias en salud (incertidumbre elevada)

# FINANCIACIÓN DE LOS MH

- La innovación se recompensa mediante la financiación de la I+D y la financiación pública
- No hay coordinación entre ambas medidas
- En el caso de MH debería existir una coordinación absoluta:
  - I. No tiene sentido financiar la I+D y luego no reembolsar la innovación resultante
  - II. Derroche de recursos y no fomenta inversión futura

# FINANCIACIÓN DE LOS MH

- La financiación debería ser a nivel nacional y controlada para garantizar:
  - I. La equidad y la consistencia entre distintos territorios
  - II. Evitar la crisis financiera en algunos proveedores con un presupuesto muy limitado

# CONCLUSIONES

- Los factores “especiales”, incluyendo la rareza, deberían ser objeto de consenso social y posterior incorporación explícita en los criterios de evaluación
- Las decisiones de reembolso y fijación de precio deberían ser justificadas y transparentes
- Criterios explícitos y transparencia en su aplicación darían señales claras y reducirían la incertidumbre a los potenciales innovadores

# CONCLUSIONES

- La innovación en medicamentos se promueve mediante tres mecanismos:
  - I. Subvenciones a la I+D
  - II. Condiciones de exclusividad
  - III. Financiación pública de medicamentos
- Las empresas reciben subvenciones para desarrollar MH, que luego no son financiados por su elevado precio, lo que supone un despilfarro en I+D y una frustración para innovadores y pacientes
- El sector público debería utilizar los tres mecanismos como una estrategia única y coordinada para lograr la innovación y el consumo necesarios

## MENSAJE FINAL

- Necesidad de desarrollar métodos innovadores para promover la innovación biomédica en general, y en enfermedades raras en particular
- Y que estas innovaciones lleguen a los pacientes