

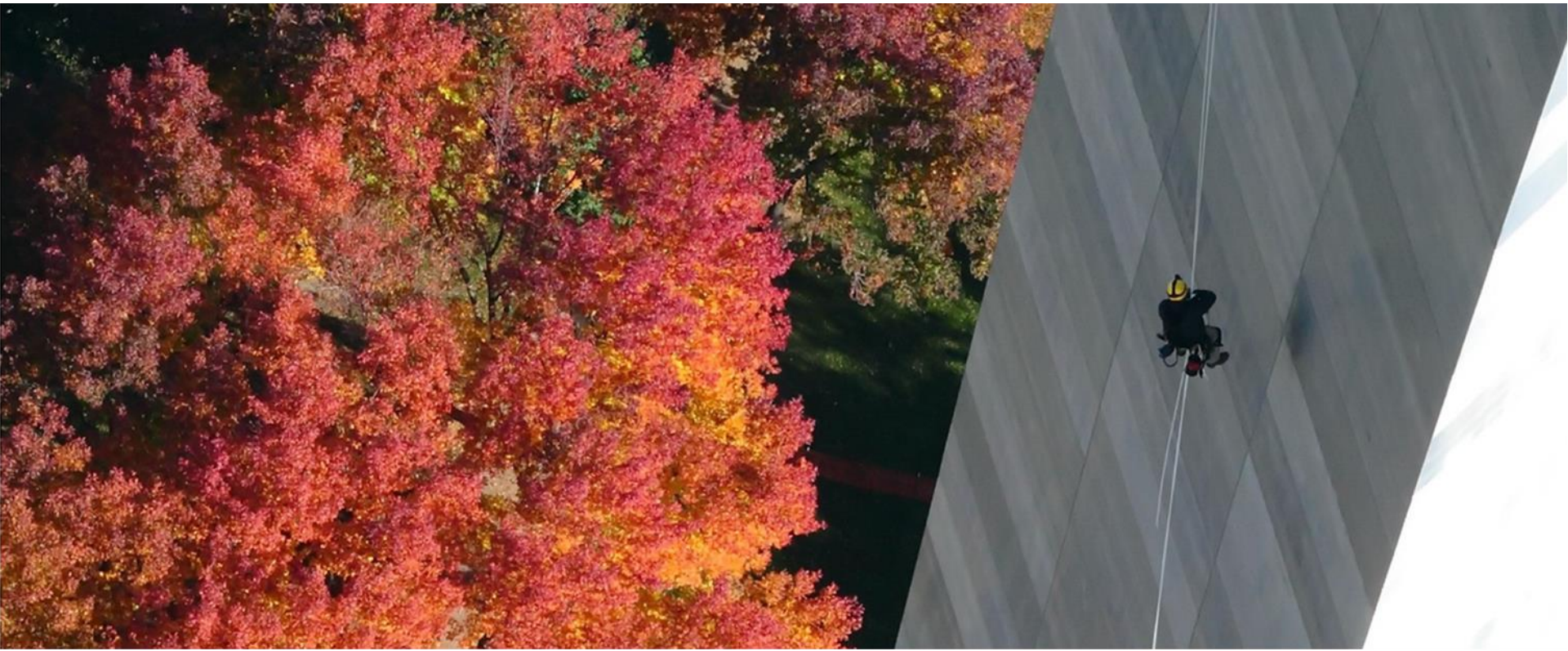


# Efectividad y **afectividad**

CLAVES PARA UN ACCESO MÁS HUMANO DE MMHH

Mariló Edo Solsona

Farmacéutica especialista. Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia



dificultades en el acceso ... una realidad

## España solo comercializa el 50% de los fármacos huérfanos de Europa

MAR 26 FEBRERO 2019. 12.50H

Se comercializan en España 61 de los 118 medicamentos huérfanos de Europa

Según denuncia la la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (Aelmhu).



Lunes, 08 Enero 2018 00:24

## EURORDIS exige garantizar a los pacientes un acceso pleno y rápido a las terapias de enfermedades raras

EURORDIS y sus más de 700 organizaciones de pacientes miembros han publicado un nuevo documento de posición exigiendo un cambio urgente para garantizar a los pacientes un acceso pleno y rápido a las terapias de enfermedades raras en Europa.

## Medicamentos huérfanos: la odisea de tratarse cuando tienes una enfermedad rara

MARÍA ÁLVAREZ DEL VAYO PATRICIO ATHIE-CHAUVET 30 OCT. 2017 | 11:18



Cristina (nombre ficticio) vive en una provincia del noroeste de España. Durante siete años, se ha levantado a las 6 de la mañana un lunes sí y un lunes no y ha conducido 400 kilómetros hasta Madrid. Lloviese, nevase o hiciese un sol de justicia. En realidad, **Cristina no vive donde está empadronada**. Según el padrón municipal, vive en la capital, donde está el hospital que le administra el único medicamento que existe para tratar su enfermedad. Pasa en el Hospital 12 de Octubre cinco horas, cada dos semanas, recibiendo un fármaco que suple en su cuerpo la proteína que no se produce en su organismo y que causa un debilitamiento progresivo de sus músculos. Después, vuelve a conducir 400 kilómetros hasta su verdadera casa.



## Comparing access to orphan medicinal products in Europe.

Zamora B<sup>1</sup>, Maiqnen F<sup>2</sup>, O'Neill P<sup>2</sup>, Mestre-Ferrandiz J<sup>2</sup>, Garau M<sup>2</sup>.

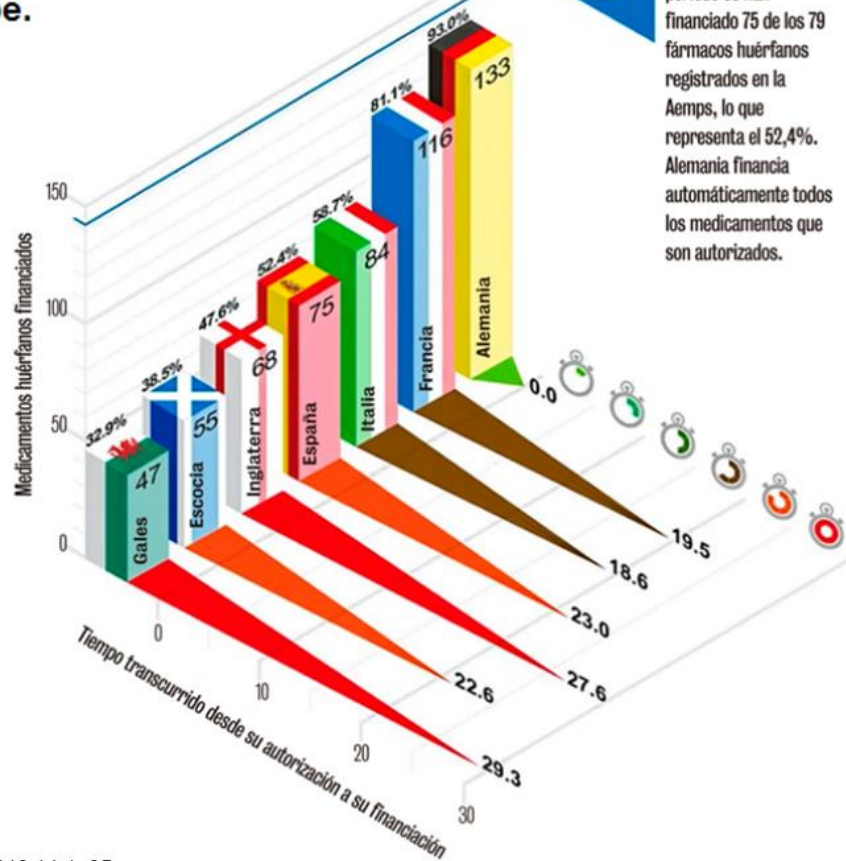
PERIODO 2000-MAYO 2016

143 MMHH autorizados por la EMA  
52,4% financiados en España  
23 meses hasta financiación

### CÓMO SE REEMBOLSA



En España en dicho periodo se han financiado 75 de los 79 fármacos huérfanos registrados en la Aemps, lo que representa el 52,4%. Alemania financia automáticamente todos los medicamentos que son autorizados.



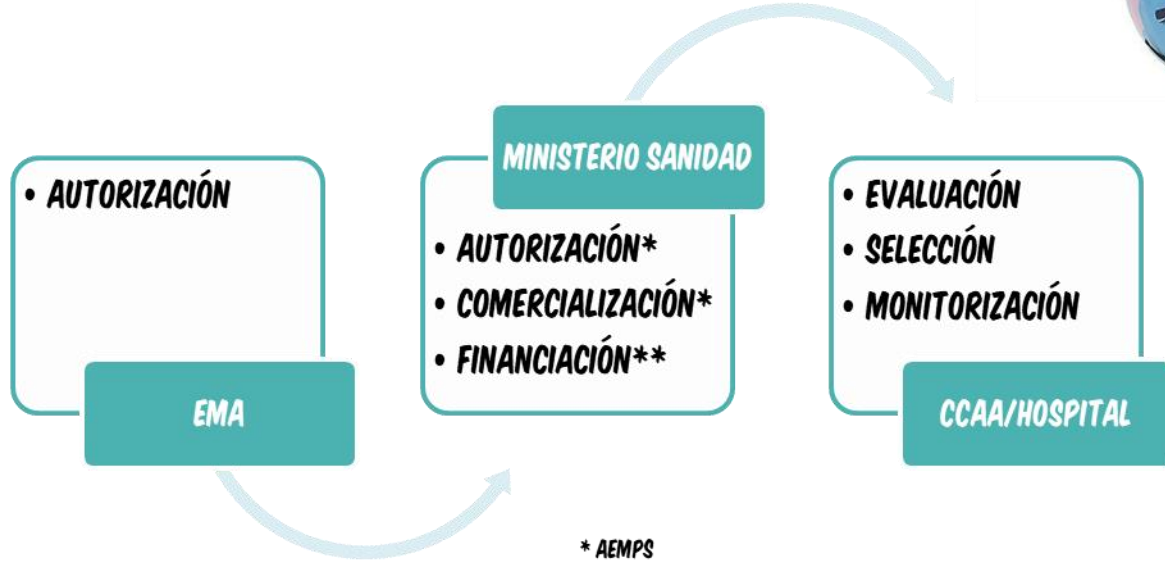




CAUSA 1

Muchos pasos  
sigue un fármaco hasta llegar al paciente

# ¿Cómo se accede a los fármacos en España?



\* AEMPS

\*\* DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

CAUSA 2

# Características medicamentos huérfanos



1. Elevada incertidumbre
2. Elevado coste



¿Solución?



## Disminuir la incertidumbre para facilitar el acceso a los medicamentos huérfanos

Aumentar la información sobre los medicamentos huérfanos y agilizar los procesos de la industria son algunas de las reivindicaciones de expertos y pacientes reunidos en el IX Congreso Internacional de Enfermedades Raras, celebrado en Sevilla.



Julían Isla y María Jesús Lamas, miembro del Comité de Medicamentos Huérfanos y directora de la Agencia Española de Medicamentos SNS y Farmacia, y Jesús Agullar, presidente del Consejo General de COF (moderador).

### Lea más sobre el congreso de EERR

[-Las enfermedades raras, en cifras: piden adoptar el modelo de trasplantes para ganar equidad](#)

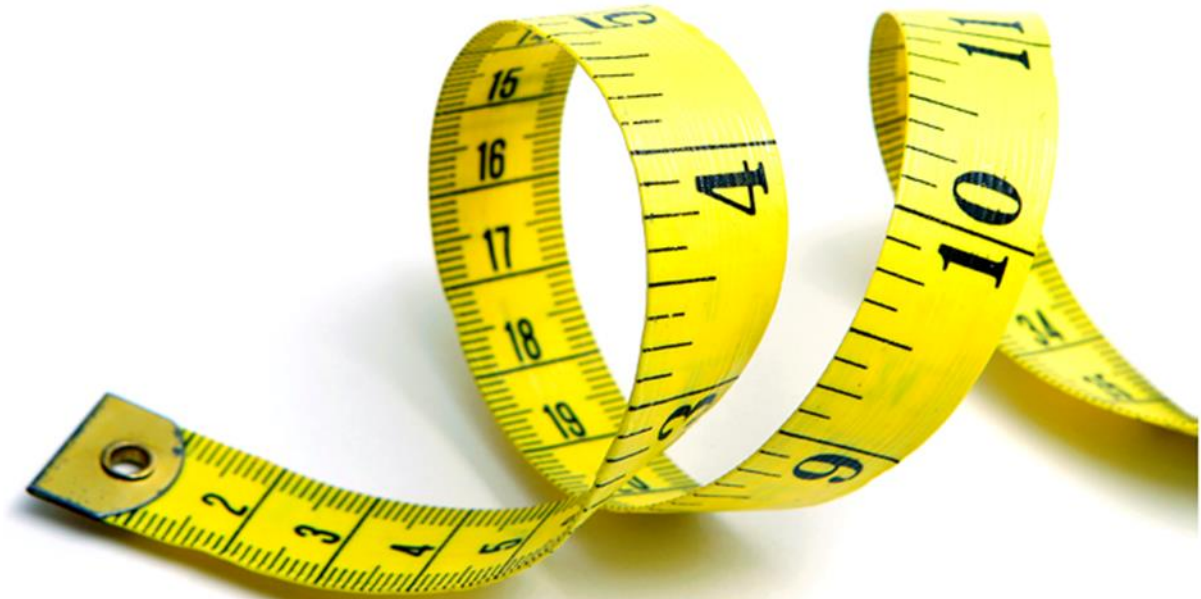
[-Enfermedades raras: uno de cada seis ensayos en España es con fármacos huérfanos, según Farmaindustria](#)

Sobre el primer aspecto, señaló que “los tamaños de las muestras en estos casos son muy pequeños”, lo que implica una “alta probabilidad de que la muestra no sea representativa”, a lo que se añade que **“la duración de los estudios es muy corta”**, pues el 43 por ciento de los ensayos dura menos de un año.

Según reveló Lacruz, el **gasto en medicamentos huérfanos** incluidos en la prestación farmacéutica del SNS en el año 2017 fue de 653.824.612 euros, lo que representa un **4,49 por ciento respecto al total del gasto**. “El statu quo no es una opción” ante esta realidad, afirmó.

De ahí que los objetivos propuestos sean **“disminuir la incertidumbre mediante la medición de resultados en salud lo antes posible** y una vez finalizado el ensayo clínico” y “el alineamiento clínico con las decisiones de la Comisión Interministerial de Precios y Medicamentos (CIPM)”; así como “la corresponsabilidad de la industria farmacéutica en la mejora del diseño del ensayo clínico, el pago por resultados en salud y la información rigurosa y veraz a la ciudadanía”.

Medir resultados en salud



# efectividad

Primera Clave



eficacia  $\neq$  efectividad





## Datos de Vida Real

Aquellos datos usados para tomar decisiones sobre medicamentos o práctica médica que no provienen de los ensayos aleatorizados (ECA), sino de la práctica clínica habitual







# Ejemplos de DVR

ENFERMEDADES RARAS

1. Registro de HPN
2. Plataforma SISTAME



# 05

## REGISTRO NACIONAL E INTERNACIONAL DE HPN (PNH REGISTRY)

- A PACIENTES A INCLUIR
- B RECOGIDA DE LOS DATOS

>> GUÍA CLÍNICA HPN

CONSENSO ESPAÑOL PARA DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO

### A PACIENTES A INCLUIR

- a Pacientes con clona deficitaria en GPI.
- b Pacientes con HPN en cualquiera de sus variantes sin tratamiento.
- c Pacientes con HPN recibiendo eculizumab.

### B RECOGIDA DE LOS DATOS

En cuadernos electrónicos a través de la web (<https://www.webcrf.net/pnhregistry>).

Los cuestionarios se completarán a la inclusión y cada 6 meses.

En España, la empresa encargada de su implementación es ICON ([PNHregistry@iconplc.com](mailto:PNHregistry@iconplc.com)), teléfono gratuito (0) 80042662000.

## What is the PNH (Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria) Registry?

The PNH Registry is a worldwide collection of data aiming at improving and sharing the understanding of PNH for a better management of patients with PNH.

For HCP/Physicians



Registry sponsored by Alexion Pharmaceuticals, Inc.

<https://www.pnhregistry.com/Default.aspx>

> The PNH Registry is currently being implemented in the following countries:

Argentina	Australia	Austria	Belgium	Canada
Colombia	Czech Republic	Denmark	Finland	France
Germany	Greece	Hong Kong	Ireland	Israel
Japan	Luxembourg	Malaysia	Mexico	Netherlands
New Zealand	Norway	Portugal	Russia	Saudi Arabia
Singapore	Slovenia	South Korea	Spain	Sweden
Switzerland	Taiwan	Thailand	Turkey	United Kingdom
United States				

## Objectives

- > Establish a robust, international database of patients with PNH
- > Provide real-life data characterising long-term clinical and patient-reported outcomes associated with the different PNH treatments
- > Assess the safety and effectiveness of PNH management options
- > Enhance the understanding of the natural history of PNH



GOBIERNO  
DE ESPAÑA

MINISTERIO  
DE SANIDAD, CONSUMO  
Y BIENESTAR SOCIAL



Seguimiento del tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal  
**SISTAME**

## Bienvenidos al portal del Ministerio para la comunicación de la información del tratamiento para la Atrofia Muscular Espinal

El acceso a este sistema está RESTRINGIDO a los usuarios autorizados.  
De acuerdo con la legislación vigente, cualquier actividad en el mismo puede ser registrada.  
Si consiente en seguir usándolo, Usted acepta estas condiciones de uso.

▶ Aceptar

▶ Cancelar

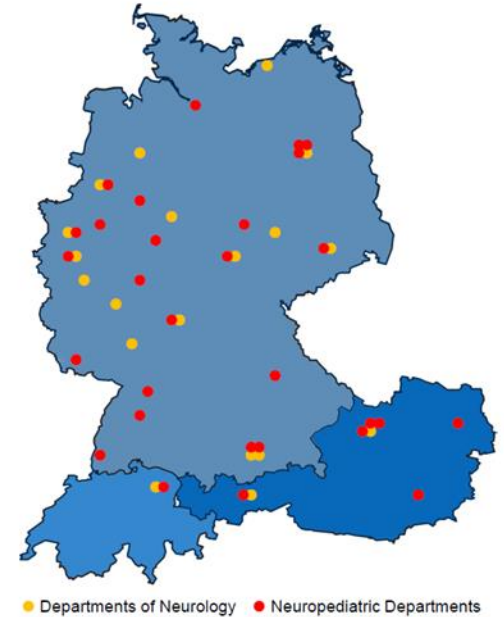
**LaFe**  
Hospital  
Universitari  
i Politècnic

A fecha 11/10/19  
38 pacientes



## Plataforma de recogida de DVR de pacientes con AME

- Implantada en Alemania, Suiza y Austria (50 hospitales).
- Recoge datos de todos los pacientes con AME.
- Utiliza herramientas de evaluación estandarizadas, validadas y alineadas con el consenso internacional de registros AME.



**OBJETIVO:** Conocer la historia natural de la enfermedad y la efectividad terapéutica.

# Proyecto Valtermed: medir el valor terapéutico real de los fármacos de alto impacto

Redacción

5 febrero, 2019

**DIARIO MEDICO**

El Ministerio de Sanidad está trabajando en **Valtermed**, un **sistema de información** para “disponer de información óptima para la adecuada toma de decisiones en la gestión macro, meso y micro de la prestación farmacéutica, en las distintas etapas del ciclo del medicamento”.



Patricia Lacruz.

La iniciativa está “en fase de diseño funcional” y **ya se ha formado un grupo de trabajo** desde la Comisión permanente de Farmacia. Así lo ha confirmado el propio ministerio, según publica *Correo Farmacéutico*.

La directora general de Farmacia del ministerio, **Patricia Lacruz**, ha avanzado que Valtermed será una herramienta para medir el valor terapéutico en la práctica clínica real de los medicamentos de alto impacto sanitario.

La propia Lacruz avanzó en redes sociales parte del desarrollo a corto plazo del proyecto, del que Sanidad no ha dado mucha información. Se sabe que ya se están desarrollando “requerimientos funcionales y técnicos” y que cada medicamento tendrá un protocolo de medición de resultados en el seno de la Comisión Permanente de Farmacia.



# RETOS

- ♠ Limitaciones metodológicas
- ♠ Gap tecnológico
- ♠ Confidencialidad
- ♠ Reticencia de profesionales
- ♠ CAMBIO CULTURAL

# afectividad

Segunda Clave





## TAREA 1

Hacer partícipe al paciente de las dificultades de acceso



# Formación e información

1. Procedimientos de adquisición
2. Eficacia en los EC
3. Precios de los MMHH



Boticaria García



eDruida

FARMACOTERAPIA PARA PACIENTES Y CIUDADANOS



Saber de Farma

Escuela de Druidas

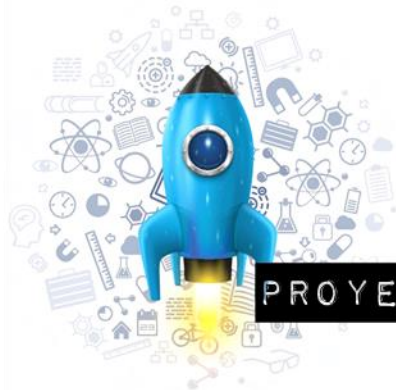
Enfermedades

Herramientas 2.0

¡Pregúntanos!

Sobre nosotros

<https://www.edruida.com/>



PROYECTO EDRUIDA&EERR



Observatorio de acceso en construcción

## TAREA 2

# Formulación magistral

**64** CONGRESO NACIONAL DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA DE FARMACIA HOSPITALARIA  
SEVILLA 17/19 OCT 2019

**DE LA EFECTIVIDAD A LA AFECTIVIDAD EN LAS ENFERMEDADES RARAS (EERR)**

Respuesta desde la farmacotecnia hospitalaria a los vacíos terapéuticos en EERR

Cristina Mondelo García  
FEA Farmacia Hospitalaria. Investigadora Río Hortega.  
Hospital Clínico Universitario Santiago de Compostela

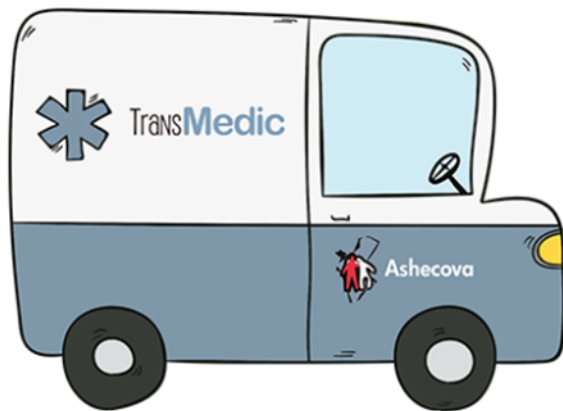




## TAREA 3

Innovar en procedimientos/circuitos  
para favorecer un acceso más humano a los MMHH

# TRANSPORTE DE MEDICACIÓN A DOMICILIO = HOME DELIVERY =



## Objetivos

Los objetivos que se persiguen son múltiples y de gran importancia:

- Reducir la dependencia hospitalaria del paciente con hemofilia.
- Facilitar la organización y continuidad de las actividades de la vida diaria.
- Incrementar la adherencia al tratamiento.
- Favorecer el acceso al tratamiento.
- Aumentar la coordinación entre los diferentes profesionales implicados en el tratamiento de la hemofilia.
- Descongestión del servicio de farmacia hospitalaria.

## Del hospital al domicilio

Relación de hospitales que destacan por su servicio de **home delivery** o envío de medicación a domicilio y pacientes a los que se dirigen.

- **La Princesa (Madrid)**. *Pilotaje*, financiado por un laboratorio. Empezarán con 10 pacientes, e irá a más.
- **Virgen Macarena (Sevilla)**. *Pilotaje* que incluye servicio de telefarmacia, ofertado a todos los pacientes externos (artritis sorriásica, VIH, esclerosis múltiple, leucemia mieloide...) que son adherentes, con enfermedad controlada, y con problemas de movilidad física y/o geográfica.
- **Cruces (Vizcaya)**. Con pacientes de leucemia mieloide crónica.
- **Universitario y Politécnico La Fe (Valencia)**. Desde 2013, con pacientes de hemofilia y una atención on line. Estudian aplicarlo a pacientes con enfermedades raras.
- **Can Misses (Ibiza)**. Enfermos crónicos a los que el hospital envía la medicación a sus centros de salud.
- **Valle de Hebrón (Barcelona)**. Finalizó hace dos años su servicio iniciado en 2012 por "problemas informáticos con el programa de soporte". Centrado en pacientes con déficit de hormona de crecimiento y pacientes con insuficiencia renal pre-díalisis que necesitan EPO. Creen que el servicio fue correcto y ahora valoran opciones.
- **La Coruña**. Empezó en 2014 con pacientes de VIH y consulta telefónica. Han constatado ahorro de costes.
- **Virgen de las Nieves (Granada)**. Planteado para pacientes con fibrosis pulmonar idiopática y artritis reumatoide, no lo iniciaron por problemas para reclutar pacientes. Estudian retomarlo, con patologías por definir.

# Algunos ejemplos

# Programa de dispensación domiciliaria hemofilia



- 1 Dispensación delegada
- 2 Validación farmacéutica y preparación por adelantado de la dispensación
- 3 Comunicación on-line UFPE-ASHECOVA
- 4 ASHECOVA recoge y lleva la medicación al domicilio (trazabilidad y cadena de frío)

Received: 12 March 2018 | Accepted: 14 May 2018  
DOI: 10.1111/jcpt.12718



ORIGINAL ARTICLE

WILEY *Journal of Clinical Pharmacy and Therapeutics*

## Pilot evaluation of home delivery programme in haemophilia

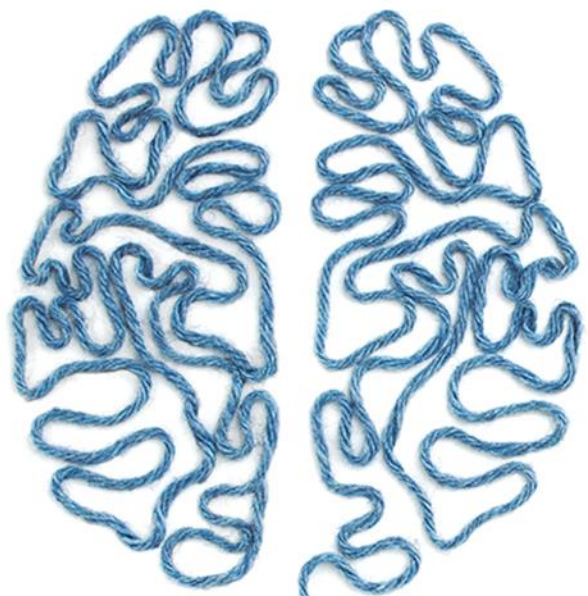
J. E. Megías-Vericat PharmD<sup>1</sup> | E. Monte-Boquet PhD, PharmD<sup>1</sup> |  
M. Martín-Cerezuela PharmD<sup>1</sup> | M. J. Cuéllar-Monreal PharmD<sup>1</sup> |  
M. V. Tarazona-Casany PharmD<sup>1</sup> | P. Pérez-Huertas PharmD<sup>1</sup> | S. Bonanad PhD, MD<sup>2</sup> |  
J. L. Poveda-Andrés PhD, PharmD<sup>1</sup>

LaFe  
Hospital  
Universitari  
i  
Politécnic



Desde diciembre de 2011:  
49 pacientes  
2.464 repartos  
6.484 dispensaciones

Ahorrado por paciente/año:  
11,4 visitas de dispensación  
1.189,1 km  
945,3 minutos  
373,5 euros



efectividad



afectividad





Queremos

CONOCER LA REALIDAD

1. Aplicar esquemas de pago por resultado
2. Desinvertir en aquellas alternativas que no sean efectivas



Contribuir a la sostenibilidad



Curar  
&  
Cuidar



Muchas gracias

Mariló Edo Solsona

Farmacéutica especialista HUP La Fe de Valencia

edo\_marsol@gva.es  Edo\_Marsol