NUEVOS MODELOS DE FINANCIACIÓN PÚBLICA EN MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

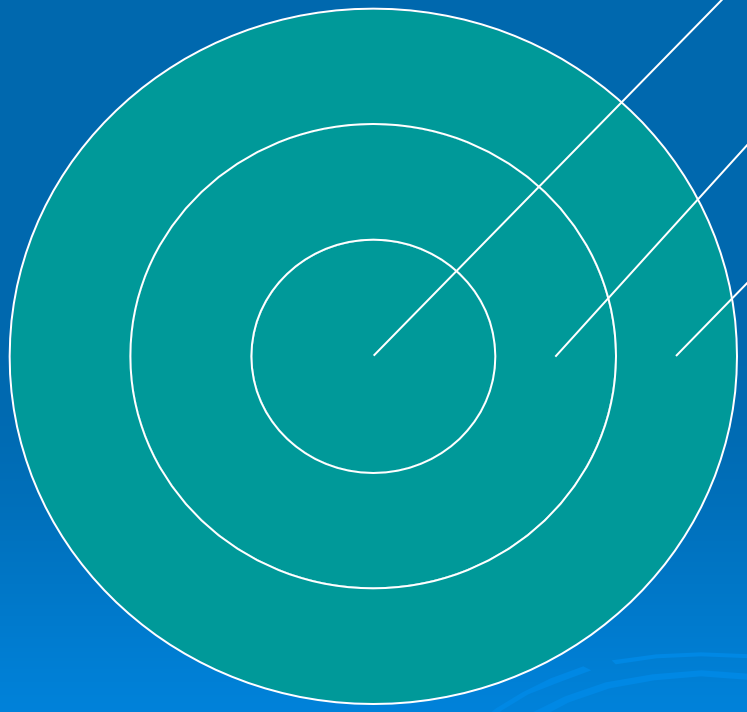
Jornadas de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras.
SEFH, Valencia, 12 de abril de 2013

Mercedes Martínez Vallejo
Dirección General de Cartera Básica de Servicios y Farmacia
Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad

Tabla de contenido

- Modelo financiación pública actual medicamentos huérfanos
  - Modelo común descentralizado
  - Criterios financiación comunes
  - Estadística, distribución por grupos
- Fijación de precio de medicamentos huérfanos. Condicionantes
- Problemas en relación con estos medicamentos
- Nuevos modelos o acciones a tomar en la financiación pública de medicamentos huérfanos
  - Nacional
  - Supranacional

Financiación de medicamentos huérfanos. Modelo actual común



Autorización comercialización
Proceso decisión Ministerio

Fijación de precio CIPM
Resolución financiación

Puesta a disposición de Servicios
De Salud de CCAA

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios comunes

- Ley 29/2006
  - Art. 89 (modif. Por RDL 9/2011). **Procedimiento para la financiación pública**:
    - **a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados**
    - **b) Necesidades específicas de ciertos colectivos**
    - **c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad**
    - **d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud**
    - **e) Existencia de medicamentos u otras alternativas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento**
    - **f) Grado de innovación del medicamento**

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios comunes

- Ley 29/2006
  - Art. 89 bis (introducido por RDL 16/2012). Criterios fundamentales de inclusión en la prestación farmacéutica
    - Análisis coste-efectividad e Impacto presupuestario
    - Componente de innovación: avance terapéutico
    - Para igual resultado en salud→ contribución de las empresas al PIB (sostenibilidad)
    - Mecanismos de retorno: descuentos lineales, revisión de precio, para medicamentos innovadores

Financiación de medicamentos huérfanos y fijación de precio

- Ley 29/2006
  - Artículo 90 (modif. Por RDL 16/2012). Fijación de precios
    - Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos: precio de financiación, para el SNS
      - 2 representantes de las CC.AA., según RD 200/2012, de 23 de enero, estructura orgánica básica del Mº Sanidad
    - Precio notificado: para comercializar fuera del SNS
  - Artículo 91. Revisión del precio de oficio

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios de evaluación comunes

- a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados:
  - Patología de elevada morbi-mortalidad, potencialmente mortal
  - Patología grave, incapacitante y crónica
  - Secuelas invalidantes

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios de evaluación comunes

- b) Necesidades específicas de ciertos colectivos:
  - Incluídas en normativa específica: reglamento
  - Necesidad médica no cubierta
  - Colectivos afectados por enfermedades raras: asociaciones de pacientes
  - Pediatría
  - Peticiones de otros colectivos a través de:
    - Asociaciones profesionales
    - Asociaciones empresariales
    - Grupos sociales o políticos

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios de evaluación comunes

- c) Valor terapéutico y social del medicamento:
  - Cubre una laguna terapéutica
    - Evaluación de resultados: variables de los estudios clínicos u otra evidencia.
  - Aumenta la relación Beneficio/Riesgo respecto a la alternativa/s
    - Aumenta eficacia y/o disminuye efectos adversos
      - Variables finales (supervivencia global, ajustada por calidad) o intermedias
      - Comparación directa o indirecta
  - Beneficio clínico incremental y relación coste-efectividad

Financiación de medicamentos huérfanos. Criterios de evaluación comunes.

- d) Racionalización del gasto público e Impacto Presupuestario en el Sistema Nacional de Salud

  Análisis del impacto presupuestario

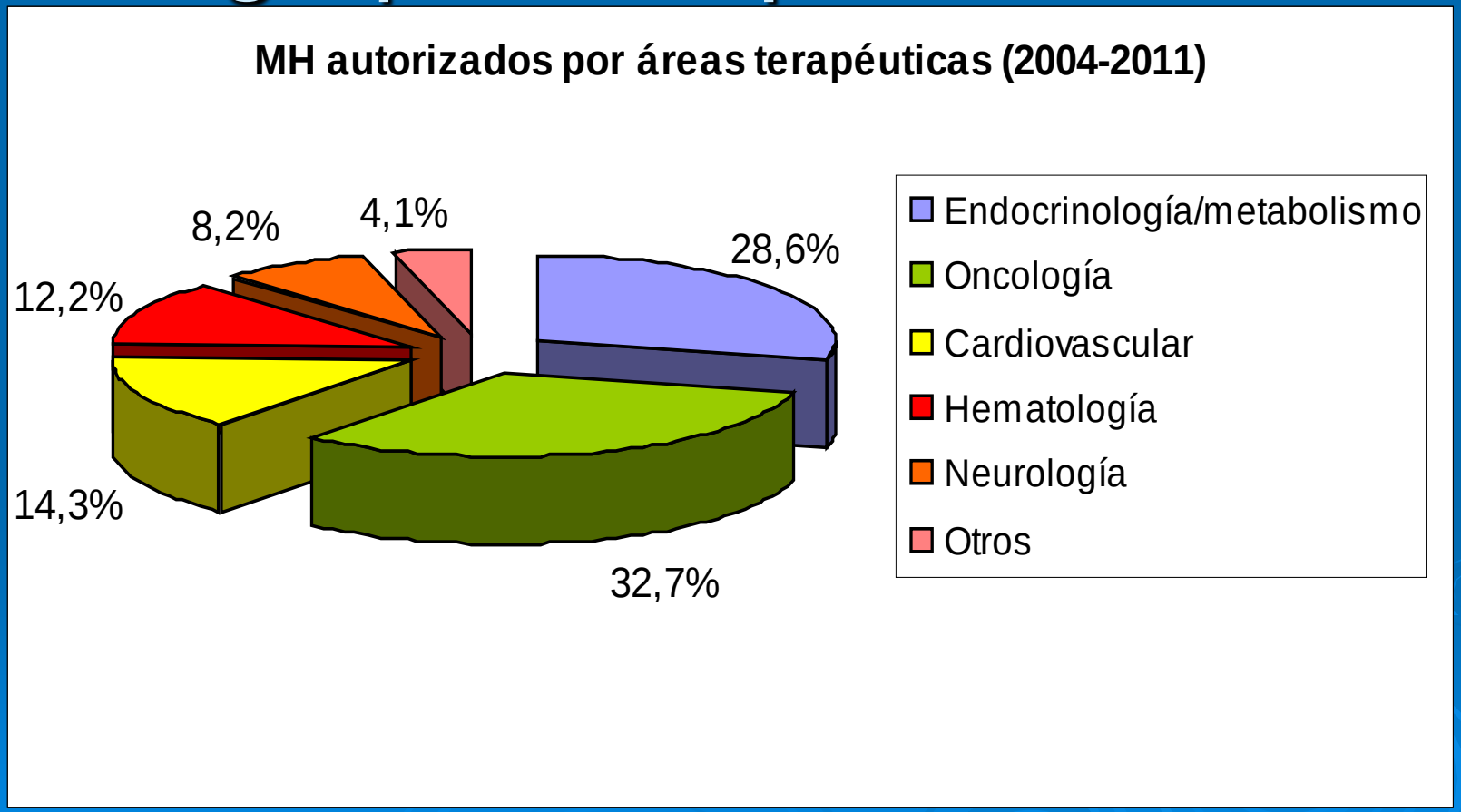
  - Estimación de número de pacientes a tratar: a partir de datos epidemiológicos y/o registros

  - Datos económicos y de mercado relacionados con el posible desplazamiento (impacto o ahorro) de otra alternativa, en su caso

Financiación de medicamentos huérfanos. Estadística

- 62 medicamentos huérfanos aprobados por EMA en 2012
- 45 financiados en España (73%)
- Resto denegados o en fase de evaluación o no presentados en España

Financiación de medicamentos huérfanos. Distribución por grupos terapéuticos



Criterios de fijación de precio medicamentos innovadores

- Con carácter general:
- Precio referencia interno (alternativa, similar comparador)
- Precio europeo

  - Ajustes en función de mejoras terapéuticas aportadas, grado de innovación, contribución empresarial

Fijación de precio de medicamentos huérfanos. Condicionantes

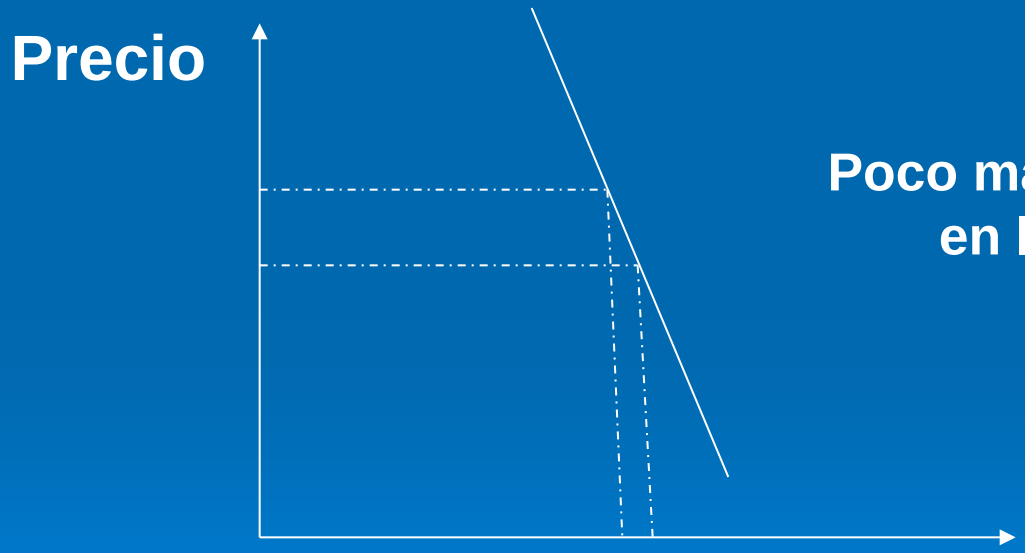
- Precio normalmente alto para recuperar la inversión en pocos tratamientos
- Coste tratamiento elevado y gran impacto presupuestario en centros o comunidades con pocos recursos
- Beneficio clínico incremental limitado
- Evidencia actual limitada (incidencia de "Autorizaciones condicionales")
- Coste-efectividad elevado

Fijación de precio de medicamentos huérfanos. Condicionantes

- Precio de referencia externo (europeo): no hay similar comparador
- Uso previo del medicamento en situaciones especiales (RD 1015/2009)
  - Capítulo II: Uso compasivo de medicamentos en investigación
  - Capítulo IV: Medicamentos no autorizados en España
- Nuevas denominaciones comerciales de principios activos ya conocidos: sobreprecio en la nueva indicación huérfana

Fijación de precio de medicamentos huérfanos. Condicionantes.

- Inelasticidad de la curva precio-demanda



Fijación de precio de medicamentos huérfanos. Condicionantes.

- Mercado competitivo imperfecto
  - Poco margen de maniobra comprador en la fijación/negociación de precio

Demanda / Oferta	Un comprador	Pocos compradores	Muchos compradores
Un vendedor	Monopolio bilateral	Monopolio parcial	Monopolio
Pocos vendedores	Monopsonio parcial	Oligopolio bilateral	Oligopolio
Muchos vendedores	Monopsonio	Oligopsonio	Competencia perfecta

Problemas en relación con estos medicamentos

- 1. Gasto y relación coste-efectividad

- Medicamentos de alto coste por paciente con beneficios “mínimos” o inciertos: Elevada relación coste/efectividad
- Gran impacto en centros o comunidades con pocos recursos → Dificultad de acceso

Gasto en medicamentos huérfanos

- Impacto anual: 420 Mill euros (2010)
  - 2,5% gasto farmacéutico total
  - 0,5% gasto sanitario
  - 71 millones € ultrahuérfanos (1/50.000) (0,43% gasto farmacéutico)

(Cifras de AELMHU y SNS)

- Impacto importante en presupuestos hospitalarios (hasta 17%)

Problemas en relación con estos medicamentos

- 2. Lagunas regulatorias en el proceso de designación-financiación de medicamentos huérfanos:

  - Potencial de retorno o recuperación de la inversión
  - El beneficio económico generado (rentabilidad) supera realmente los costes en investigación, producción y administración

Incentivos Reglamento (CE) nº 141/2000

- Procedimiento de autorización directo (centralizado)
- Asistencia en la elaboración de protocolo (*Scientific Advice)*
- Exención pago tasas a EMA
- Exclusividad comercial diez años (posibilidad de reducirse a seis), art. 8
- Otros incentivos: medidas de estímulo para promover la I+D y la disponibilidad y ayuda a las PYMES

Problemas en relación con estos medicamentos

- Estos problemas ya han sido planteados en otros foros:
  - Nacionales:
    - Aula de medicamentos huérfanos, Bilbao 2010
    - Enfermedades raras: cómo enfocar los retos pendientes. Reunión de zona SMFH, Hospital La Princesa, Madrid 2013
  - Internacionales:
    - Red de autoridades nacionales competentes en precio y financiación (Comisión Europea y EMA-COMP): Estocolmo 2009, Madrid 2010

Nuevos modelos o acciones a tomar en la financiación pública de medicamentos huérfanos

- A nivel nacional, son indispensables una serie de valores :
  - Cooperación con la industria farmacéutica, transparencia
  - Coordinación interterritorial
  - Solidaridad

Acciones que se pueden tomar

- Reducir precio-coste nuevos huérfanos
  - Mecanismo opcional precio financiación SNS inferior a precio notificado
- Reducir precio-coste por nuevas indicaciones
  - % similar o cercano al impacto por la NI
- Aplicar descuento obligatorio 7,5% o 15% si más de 10 años de comercialización (art. 8 y 9 RDL 8/2010)

Acciones que se pueden tomar

- Reducir periodo de exclusividad comercial a 6 años (en aplicación art. 8.2 Reglamento):
  - Permite competencia si expiración de la patente
- Estimular el desarrollo y producción de Biosimilares
  - Coste inferior competitivo
  - Necesarias políticas de fomento a su utilización
- Protocolizar terapéuticamente
  - Informe de posicionamiento terapéutico

Acciones que se pueden tomar

- Aportaciones de las compañías farmacéuticas (resoluciones condicionadas)
  - Aportación económica de los usos fuera de indicación
  - Contribución económica a la investigación en España, Plan Profarma, etc
  - Mantenimiento y financiación de registros de pacientes:
    - Vigilancia de la salud pública
    - Vigilancia epidemiológica
    - Conocer efectividad clínica de los tratamientos
    - Conocer la carga económica

Acciones que se pueden tomar

- Procedimientos de adquisición general y fondos de compensación
  - Evitaría disparidades en precios (precio más homogéneo)
  - Haría el sistema más predecible y solidario
- Acuerdos de riesgo compartido:
  - Objetivables en ciertos casos

Nuevos modelos o acciones a tomar en la financiación pública de medicamentos huérfanos

- Es indispensable a nivel supranacional:
  - Compromiso
  - Transparencia
  - Apoyo
  - Competencia
  - Solidaridad

Nivel supranacional

- **Autoridades nacionales competentes en financiación y precios de los medicamentos (y proveedores de servicios sanitarios)**

Industria farmacéutica

Con todo ello queremos conseguir

- Responder a las necesidades de las personas afectadas: diagnóstico, prevención, tratamiento
- 2. Garantizar el acceso a los medicamentos huérfanos
- 3. Garantizar la sostenibilidad del sistema