Impacto presupuestario de las enfermedades raras

Alicia Herrero -Servicio de Farmacia
Hospital La Paz- Madrid

- ✓ *Según la UE, enfermedades raras son aquellas que ponen en peligro la vida o que la debilitan de forma crónica y afectan a menos de 5 personas por 10.000 habitantes.*

- ✓ *La definición de enfermedad rara varía ampliamente en distintos documentos legales de diferentes países e instituciones. hasta la fecha las definiciones legales sólo utilizan la **prevalencia** como criterio definitorio, a pesar de su gran variabilidad.*

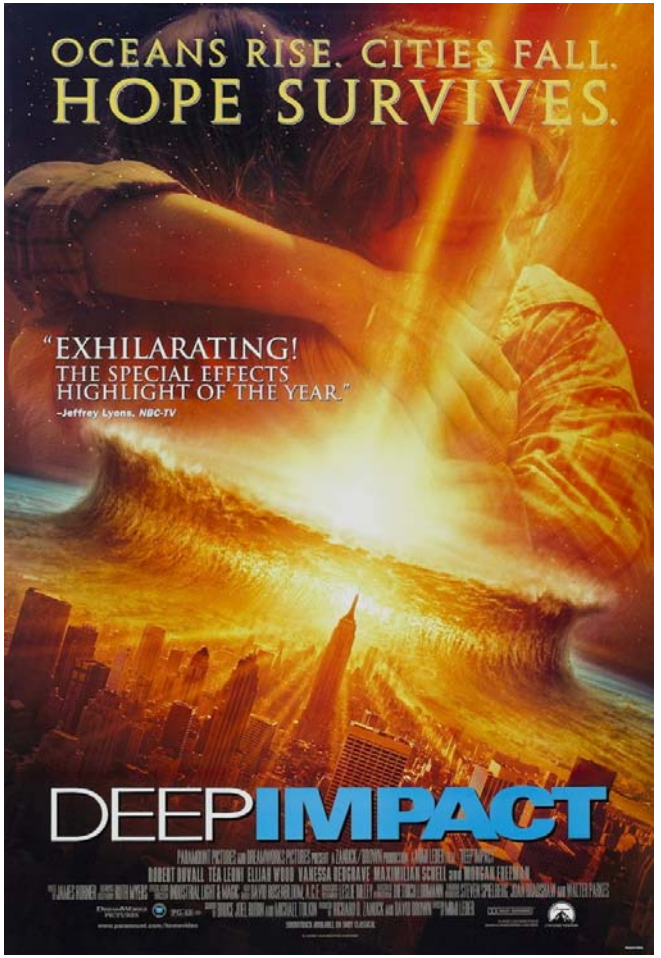
- ✓ *Una prevalencia de 5 por 10.000 aplicada a los 46 millones de habitantes de España supone **23.000 casos en nuestro país.***

- ✓ *El término enfermedades **ultra-raras (o ultra-huérfanas)** se ha acuñado para describir enfermedades mucho más infrecuentes. La UE las define como aquellas cuya prevalencia es menor de 1 por 50.000 habitantes.*

- ✓ *Cuando nos referimos a seguimiento presupuestario se denominan **ENFERMEDADES DE ALTO IMPACTO ECONÓMICO***

Impacto presupuestario:

- ✓ *Impacto anual de 420 mill € anual (2011)*
- ✓ *2,5% gasto farmacéutico total.*
- ✓ *En los presupuestos hospitalarios cifras de hasta el 15%*



¿Qué presupuesto tenemos?

PROYECTO DE PRESUPUESTOS GENERALES DE LA COMUNIDAD DE MADRID 2013

PROYECTO DE PRESUPUESTOS GENERALES DE LA COMUNIDAD DE MADRID 2013

FICHA DE PROGRAMAS

DATOS EN EUROS

SUBFUNCIÓN: ATENCIÓN ESPECIALIZADA

PROGRAMA: 751 HOSPITAL LA PAZ

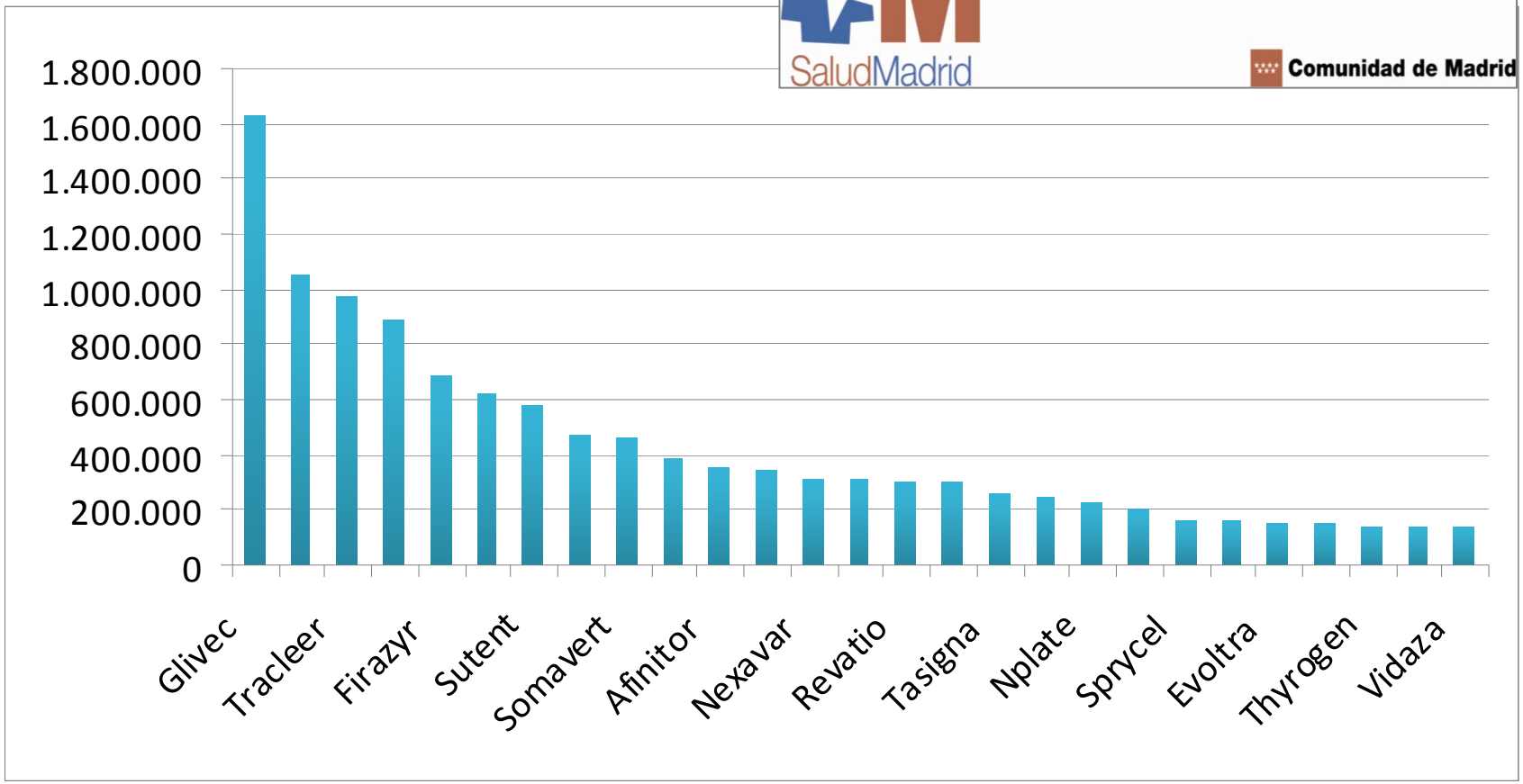
CENTRO: 118 SERVICIO MADRILEÑO DE SALUD

SECCIÓN: 17 SANIDAD

RESPONSABLE DEL PROGRAMA: DIRECTOR GERENTE HOSPITAL LA PAZ

CAPITULO	ARTICULO	CONCEPTO	SUBCPTO	DENOMINACIÓN	CRÉDITO		
					SUBCONCEPTO	CONCEPTO	ARTÍCULO / CAPÍTULO
2	7	1	0	OTROS PRODUCTOS FARMACÉUTICOS	24.647.128		
2	7	1	1	MEDICAMENTOS ANTIRETROVIRALES PARA VIH	11.335.639		
2	7	1	2	DIETOTERAPIA	1.058.410		
2	7	1	3	MEDICAMENTOS INMUNOMODULADORES	13.960.039		
2	7	1	4	FACTORES DE COAGULACIÓN SANGUINEA	25.619.642		
2	7	1	5	OXÍGENO Y GASES MEDICINALES	1.400.000		
2	7	1	6	MEDICAMENTOS ONCOLÓGICOS	14.127.876		
2	7	1	7	OTROS MEDICAMENTOS ANTIINFECCIOSOS	11.343.766		
2	7	1	8	RADIOFÁRMACOS	484.190		
2	7	1		PRODUCTOS FARMACÉUTICOS		103.976.690	

12.211.941 € año 2012
11,6 % del gasto total de medicamentos



CONSEJERÍA DE SANIDAD
Comunidad de Madrid

Año 2012

Principio activo ATC	Importe fact.	% s/total
LENALIDOMIDE	13.159.839,33	18,66%
ECULIZUMAB	7.881.669,12	11,18%
BOSENTANO	7.001.299,02	9,93%
IMATINIB	6.581.474,09	9,33%
AZACITIDINA	3.930.122,48	5,57%
LEVODOPA + CARBIDOPA	3.092.376,28	4,39%
EVEROLIMUS	2.878.342,90	4,08%
ALGLUCOSIDASA ALFA	2.842.886,60	4,03%
SILDENAFILO	2.461.244,36	3,49%
ROMIPLOSTIM	2.395.315,00	3,40%
AGALSIDASA ALFA	1.842.711,72	2,61%
AMBRISENTAN	1.674.536,26	2,37%
resto	14.765.347,74	20,94%
total	**70.507.164,90**	**100,00%**

3,7 GASTO FARMACÉUTICO TOTAL

9,5 GASTO FARM HOSPITALARIO

Nº paciente-año Enfermedades raras de alto impacto
(> 100.000€/paciente-año)

Enfermedad Rara	2012	2011	Incremento Nº	% Incr.
Número de pacientes FABRY	12,2	10,0	2,1	21,31%
Número de pacientes GAUCHER	16	14,5	1,5	10,34%
Número de pacientes POMPE	7	7	0,0	0,00%
Número pacientes con HPN	21	14,5	6,4	43,99%
Número de pacientes por enfermedad Hunter	7,00	6,17	0,8	13,45%
Número de pacientes por enfermedad M. Lamy	1,00	1,00	0,0	0,00%
Número de pacientes con Enfermedad Andrade	3,00		3,0	
Total pacientes-año	**67,1**	**53,2**	**13,9**	**26,03%**

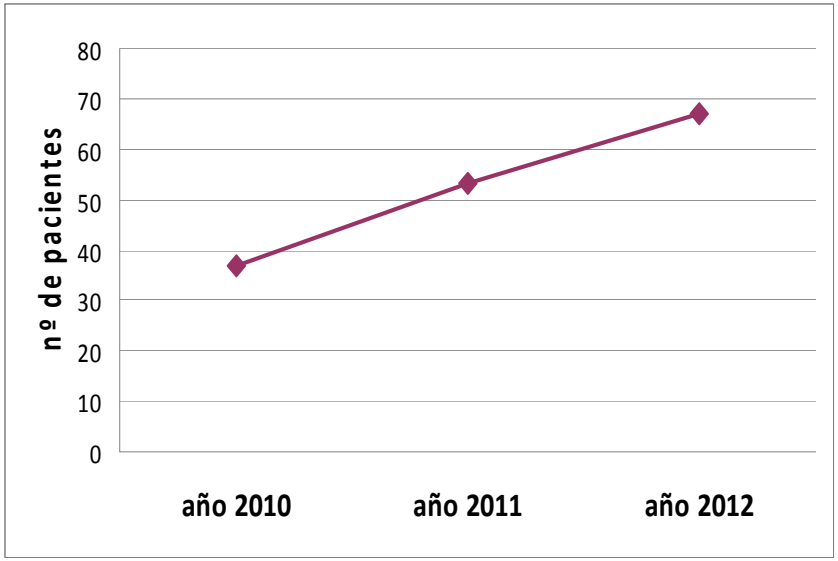
Coste/Enfermedad rara de alto impacto
(> 100.000€/paciente-año)

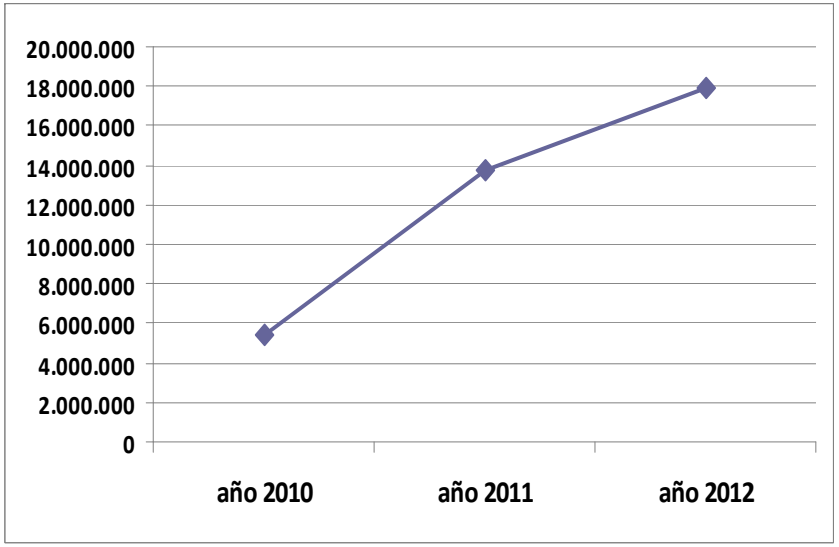
Enfermedad Rara	2012	2011	Incremento Nº	% Incr.
Coste Total tratamiento FABRY	1.961.289 €	1.426.951 €	534.338 €	37,45%
Coste Total tratamiento GAUCHER	2.905.783 €	2.619.206 €	286.577 €	10,94%
Coste Total tratamiento POMPE	2.777.854 €	2.538.497 €	239.357 €	9,43%
Coste Total tratamiento de HPN	7.380.866 €	5.213.005 €	2.167.861 €	41,59%
Coste Total tratamiento Hunter	2.174.498 €	1.795.645 €	378.853 €	21,10%
Coste Total tratamiento M. Lamy	150.168 €	144.300 €	5.868 €	4,07%
Coste total tratamiento de Enf . Andrade	519.288 €		519.288 €	
COSTE TOTAL ER (>100.000 pac-año)	**17.869.746 €**	**13.737.603 €**	**4.132.142 €**	**30,08%**

Coste paciente medio/año: 266.315 €

CONSEJERÍA DE SANIDAD
Comunidad de Madrid

Enfermedades de alto impacto





¿Qué ocurre si se presenta un paciente con una enfermedad rara?

Retos actuales

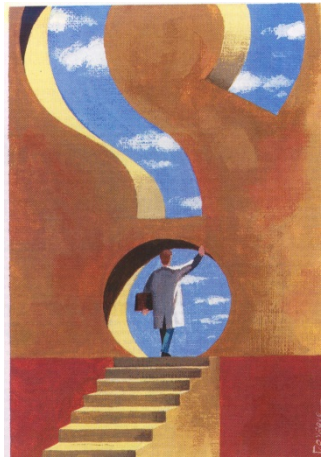
- ✓ *Garantizar el acceso y la equidad*
- ✓ *Responder a las necesidades de los pacientes*
- ✓ *Facilitar la investigación*
- ✓ *La sostenibilidad del sistema, limitación en el gasto público destinado a la financiación de medicamentos*
- ✓ *Coste oportunidad*

Incertidumbres en el tratamiento de ER:

- ✓ *Problema de evidencia clínica, ensayos con pocos pacientes*
- ✓ *Falta de datos apropiados de epidemiología clínica. Revisión de la prevalencia.*
- ✓ *Evolución de estas enfermedades y resultados en salud de los tratamientos disponibles.*
- ✓ *Potencial de retorno o recuperación de la investigación, ¿se conoce?*
- ✓ *Falta de centros de referencia especializados e investigadores en el SNS.*

¿Aspectos a tener en cuenta en un futuro próximo para establecer un correcto impacto presupuestario?

¿Aspectos a tener en cuenta en un futuro próximo para establecer un correcto impacto presupuestario?

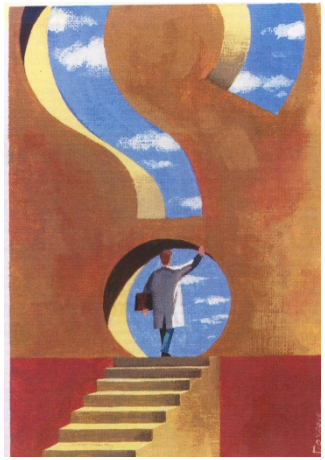


1. *Incremento en el número de enfermedades raras:*

¿están todas la que son? ¿son todas las que están?

- Presión social y política de la enfermedad
- Industria farmacéutica
- Enfermedades comunes que se “fragmentan” en raras
- Técnicas diagnósticas

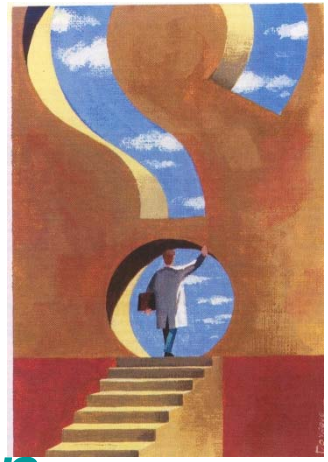
¿Aspectos a tener en cuenta en un futuro próximo para establecer un correcto impacto presupuestario?



2. Incremento en el número de pacientes

- Basado en prevalencia, pero en ocasiones el número de pacientes es superior al establecido
- Medicamentos comunes que pasan a condición de huérfanos
- Técnicas diagnósticas

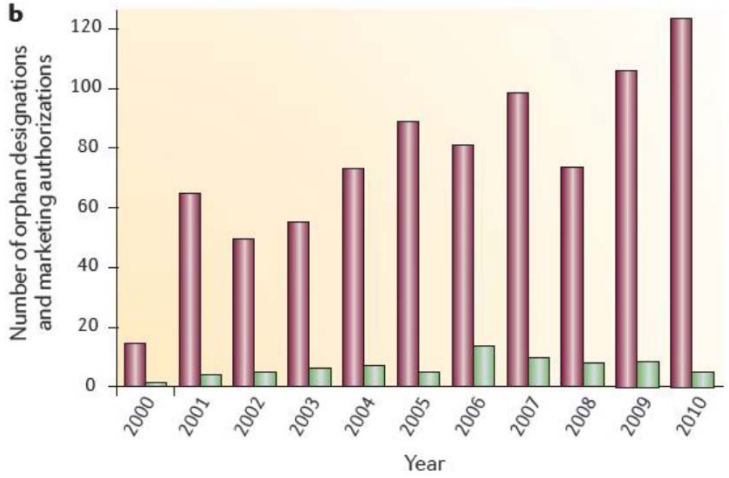
¿Aspectos a tener en cuenta en un futuro próximo para establecer un correcto impacto presupuestario?



3. Incremento del número de fármacos en investigación y próxima comercialización

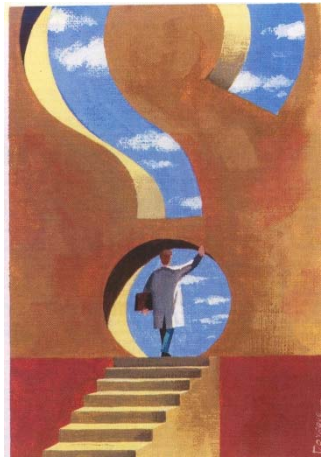
Ventajas en su aprobación:

- Aprobación acelerada, acceso temprano, asistencia y ayuda en protocolos por la EMA, exención de tasas, reducciones fiscales, exclusividad en el mercado, investigación subvencionada por la Comisión Europea.



Coste /AVAC

¿Aspectos a tener en cuenta en un futuro próximo para establecer un correcto impacto presupuestario?



4. Presión política y social: incremento de atención y visibilidad

RARE DISEASE DAY 2013 FEBRUARY

Las ER van al cole

Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud

Estrategia aprobada por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud el 3 de junio de 2009

er ciberer

Propuestas de mejora para manejar el impacto presupuestario

COORDINACION NACIONAL

✓ El ministerio de Sanidad debe marcar pautas comunes para todas las CCAA. Coordinación interterritorial.
✓ Creación de centros de expertos a nivel autonómico y nacional CSUR . Investigación en red. Registros de pacientes.
✓Intercambio de conocimientos en la evaluación de resultados en salud de los tratamientos. Estudios de farmacoepidemiología.
✓La Estrategia Nacional de ER abre una nueva vía de coordinación, pero ¿valora el impacto presupuestario?

Propuestas de mejora para manejar el impacto presupuestario

COORDINACIÓN AUTONÓMICA

- ✓ Decisiones sobre el tratamiento individualizado de los pacientes consensuadas a nivel autonómico y consejerías de salud. Consejos Autonómicos Asesores de tratamientos para enfermedades raras y Tratamientos de alta complejidad. Extensión de acuerdos a nivel nacional. Unificación de protocolos y de las condiciones de uso.
- ✓ Partida presupuestaria concreta en los Presupuestos Generales, relacionada con el tratamiento farmacológico de las enfermedades raras. Fondo de compensación a nivel nacional.
- ✓ La administración autonómica debe comprometerse a apoyar a los centros y unidades de referencia tanto en la en gestión como en **gasto farmacéutico**
- ✓ ¿Qué ocurre con el modelo de financiación capitativa?

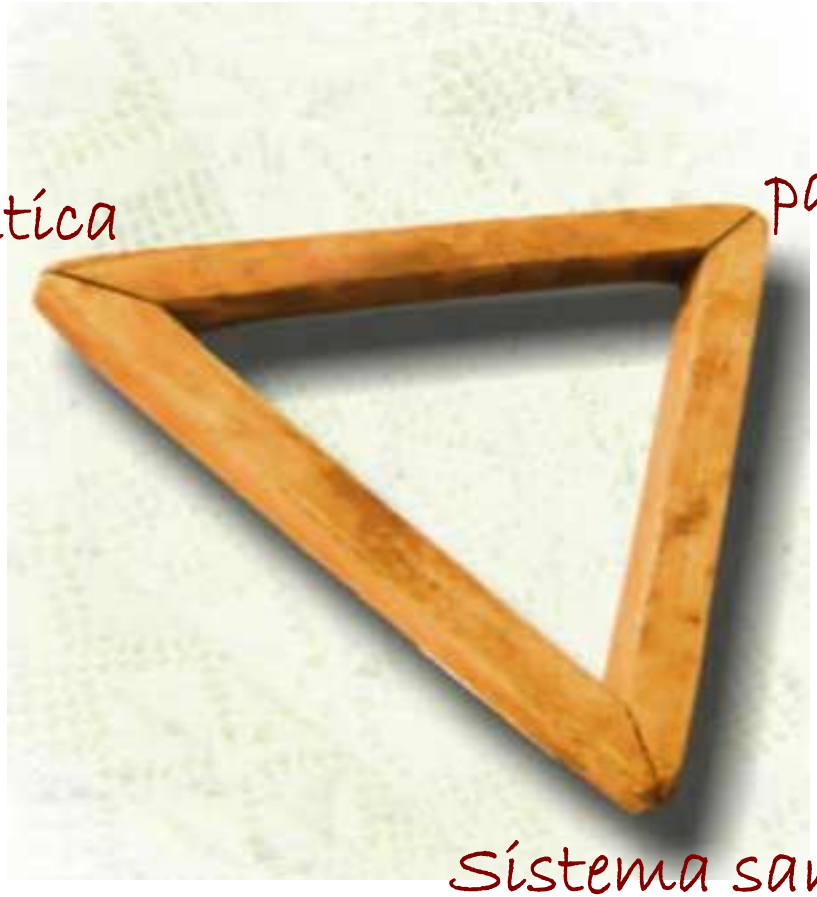
Propuestas de mejora para manejar el impacto presupuestario

COORDINACIÓN CON LA INDUSTRIA FARMACÉUTICA:

- ✓ Establecer un precio condicional y una financiación selectiva de acuerdo al beneficio clínico obtenido.
- ✓ Diálogo entre las empresas farmacéuticas y entidades financiadoras para el establecimiento de acuerdos de pago y riesgo compartido. Acuerdo precio-volumen.
- ✓ Compra centralizada y en algunos casos aplicar el concepto de equivalencia terapéutica.
- ✓ Deducción del 7,5% RD 8/2010 por pérdida designación de huérfano.
- ✓ Reducción del precio por nuevas indicaciones.

Industria farmacéutica

pacientes



Sistema sanitario

¿son iguales? … NO, pero tienen los mismos derechos

Gracias por su atención