

# GESTIÓN DE RIESGO COMPARTIDO EN MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

*¿es posible?*



**DRA. MARÍA DOLORES EDO SOLSONA**

Farmacéutica especialista HUP La Fe

ABRIL 2013

# ÍNDICE

1

¿POR QUÉ AHORA?

3

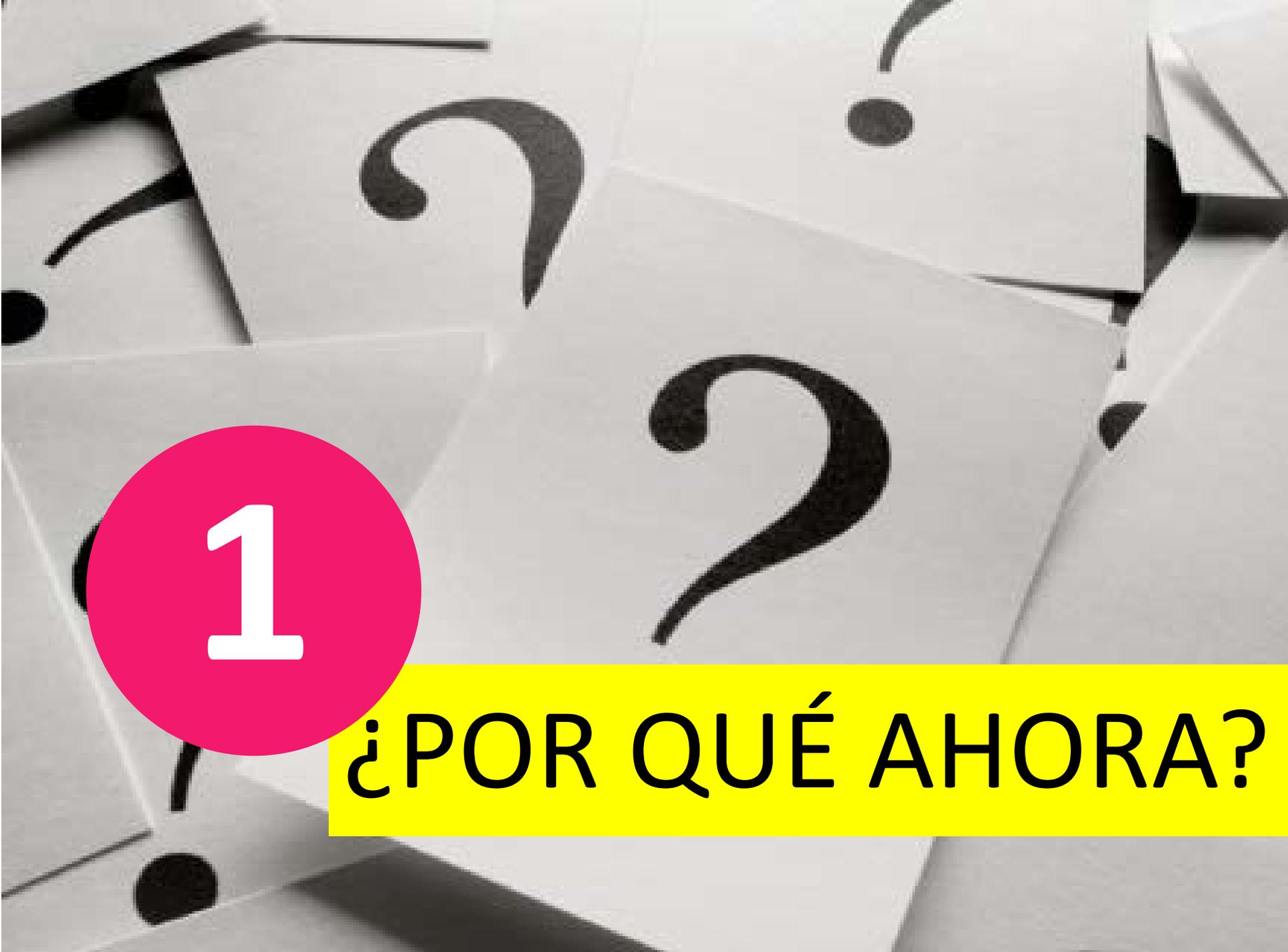
¿EN MEDICAMENTOS  
HUÉRFANOS?

2

CONTRATOS  
RIESGO  
COMPARTIDO

4

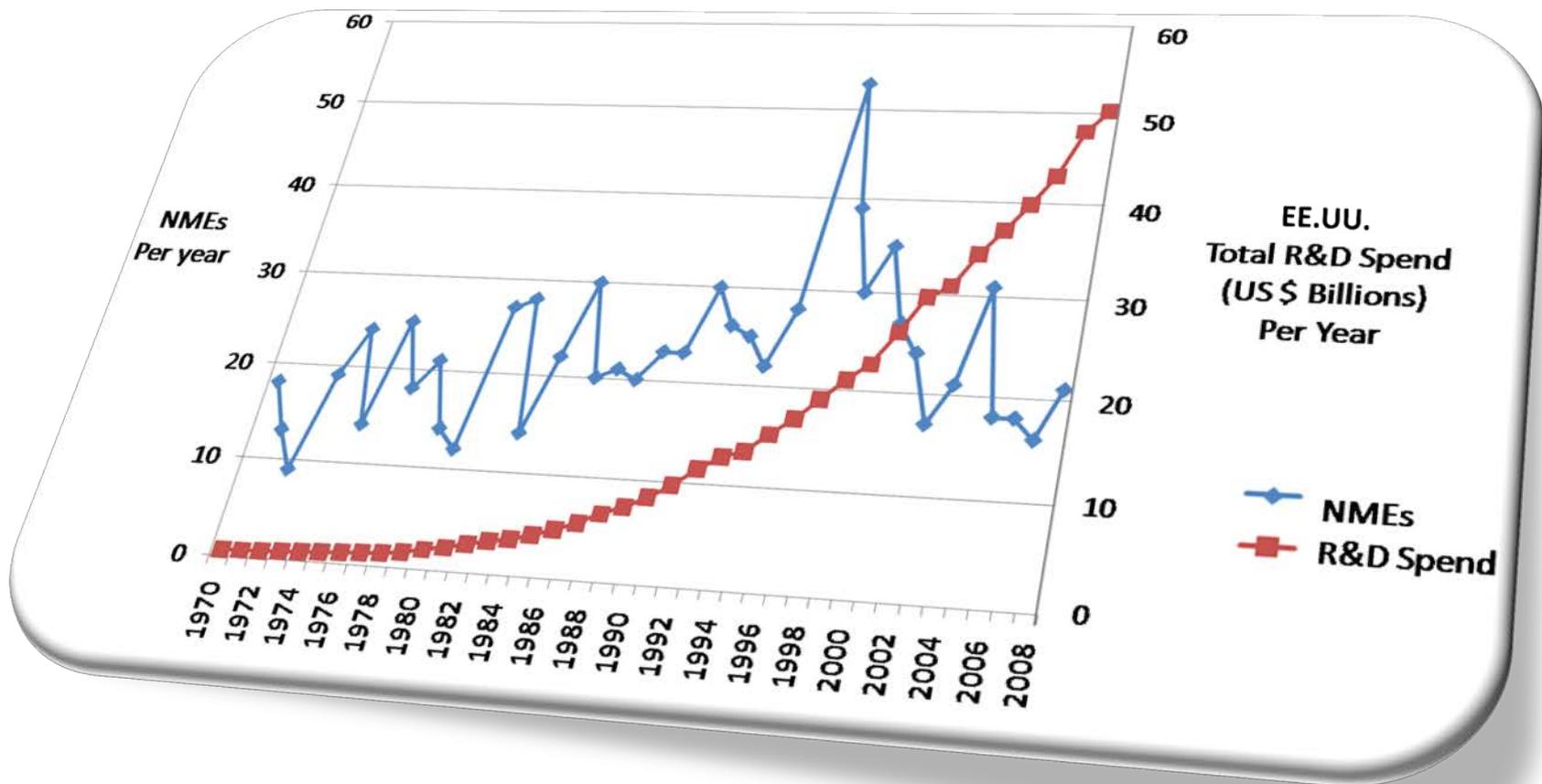
NUESTRA EXPERIENCIA



1

¿POR QUÉ AHORA?

# MÁS inversión I+D MENOS moléculas nuevas



# nuevas moléculas ¿INNOVACIÓN?

Nuevos principios activos  
comercializados en España  
(2001-2010)





# DIFICULTADES ECONÓMICAS EN LOS SISTEMAS DE SALUD

Precio  
máximo  
fijado



Resultados  
financieros y  
clínicos

# Sistemas de financiación basados en resultados



Se trata de **COMPARTIR RIESGOS** ...



# FINANCIADOR

no acepta la incertidumbre respecto  
eficacia y seguridad



# INDUSTRIA

encara reducciones de sus retornos de inversión





2

**CONTRATOS  
RIESGO  
COMPARTIDO**



... nueva herramienta de gestión



**CRITERIOS DE COSTE-EFECTIVIDAD** Para aplicar un acuerdo de riesgo compartido hay que elegir una patología con pocas alternativas terapéuticas, con un perfil de pacientes muy depurado y apoyado en un sistema que permita el seguimiento

## Definir el “éxito terapéutico”, eje de los logros del riesgo compartido

Oncología, área para la que Cataluña estudia nuevos contratos

## Publicación de FARMACIA HOSPITALARIA

Una publicación de **SANITARIA 2000**

Lunes, 30 de mayo de 2011 | Número 6

JORNADA FUIISA SOBRE 'INNOVACIÓN FARMACOLÓGICA EN ONCOLOGÍA'

PONERENCIA 'EL FUTURO DE LA TERAPÉUTICA ANTITUMORAL'  
**Los contratos de riesgo compartido facilitarían la llegada de fármacos**  
El desarrollo de nuevos antitumorales estará muy influido por el conocimiento biológico de las anomalías moleculares

**DIARIO MEDICO.COM**

INICIO | **ÁREA CIENTÍFICA** | **ÁREA PROFESIONAL** | OPINIÓN / PARTICIPACIÓN | MULTIMEDIA

Salud | Profesión | Normativa | Gestión | Entorno | La consulta |

Portada > Área Profesional > Gestión

JAIME ESPÍN, DE LA EASP, DEFIENDE EL MODELO ITALIANO

## Los contratos de riesgo compartido se van definiendo para ganar en eficiencia

Ante las malas situaciones hay que buscar soluciones innovadoras. De ahí han surgido los contratos de riesgo compartido, que empiezan a ser una realidad en la financiación de fármacos y a plantearse en la de dispositivos tecnológicos. Con este mecanismo, la financiación de medicamentos varía en función del éxito que obtienen.

David Rodríguez Carenas | 24/09/2012 00:00

Política Sanitaria

EL GLOBAL 10 al 16 de noviembre de 2008

## Se buscan vías para nivelar sostenibilidad e innovación

- Contratos de riesgo compartido, posible solución para recompensar la innovación
- La corresponsabilidad de los profesionales podría frenar la factura hospitalaria

C.R./L.C. Murcia

Existen pocas dudas sobre la importancia de las actividades de I+D sobre la innovación terapéutica o sobre la necesidad de desarrollar políticas que contribuyan a mantener o incrementar el nivel de I+D pública o privada. Si hay discrepancias en cambio a la hora de definir, por ejemplo qué medidas son las que contribuirían de una manera más racional a conseguir el equilibrio entre innovación y sostenibilidad presupuestaria, a quién le corresponde definirlos o cómo afrontar la corresponsabilidad, política y financiera. O más bien es que se trata de un campo que precisa de medidas más

precios de referencia. Sin embargo, según Alfonso Domínguez-Gil Hurlé, jefe del Servicio de Farmacia del Hospital Clínico Universitario de Salamanca, "se hacen cada vez más necesarias medidas complementarias que contribuyan a mejorar la eficiencia en la utilización de los recursos", entre ellas las campañas sobre educación sanitaria, la gestión global de la enfermedad y el uso de criterios farmacoeconómicos que establezcan el real valor de los medicamentos en la práctica clínica.

Por su parte, Regina Múzquiz, directora de Relaciones Institucionales de Sanofi-Aventis, cree sin embargo que la opción de los estudios farmacoeconómicos

en España este tipo de estudios o la "poca valoración que se ha hecho desde determinados agentes" de las innovaciones incrementales y cómo eso se ha reflejado en las evaluaciones realizadas por distintas agencias españolas.

"Para esta experta, una solución podría venir de los contratos de riesgo compartido, una forma de financiación diferente al tradicional 'todo o nada', que implicaría, según ella, ponderar las ventajas y desventajas que esta opción presenta para los actores. La industria, por un lado, elude con este formato el riesgo de exclusión de la financiación aunque se arrastra



Los expertos debataron en Murcia cómo mejorar los criterios de eficiencia en época de crisis. De izda. a dcha., Alfonso Domínguez-Gil Hurlé, Regina Múzquiz y José Luis Pineda.

La Administración, por su parte, contaría con una herramienta para incentivar un consumo más coste-efectivo de los fármacos y podría controlar el crecimiento del gasto, que sin embargo podría suponer un retraso en el acceso de los pacientes a los fármacos que luego se demuestran efectivos.

por ejemplo, y el hospitalario en general. De hecho, la incorporación de esos nuevos medicamentos y la cronificación de enfermedades, una de las causas por las cuales la factura farmacéutica especializada crece a un ritmo muy

**europapress.es** | SALUD Asistencia

Jueves, 28 de marzo 2013

POLÍTICA SANITARIA | SALUD E INVESTIGACIÓN | FARMACIA ASISTENCIA | ESTÉTICA | NUTRICIÓN | MA

Consulte el estado del Tráfico y del Tiempo para estos días >>

YA SE USAN EN OTROS PAÍSES COMO ITALIA O REINO UNIDO

**Los contratos de riesgo compartido, una alternativa para financiar nuevos medicamentos en el SNS**

Políticas en Salud Pública

## Esquemas innovadores de mejora del acceso al mercado de nuevas tecnologías: los acuerdos de riesgo compartido

Jaime Espín<sup>a</sup>, Juan Oliva<sup>b,c,\*</sup> y José Manuel Rodríguez-Barrios<sup>d</sup>

<sup>a</sup> Escuela Andaluza de Salud Pública, Granada, España

<sup>b</sup> Facultad de Ciencias Jurídicas y Sociales de Toledo, Universidad de Castilla-La Mancha, Toledo, España

<sup>c</sup> CIBER de Epidemiología y Salud Pública (CIBERESP), España

<sup>d</sup> Ortho Clinical Diagnostics (a Johnson and Johnson Company), Madrid, España

[Health Aff \(Millwood\)](#), 2011 Dec;30(12):2329-37.

### **Risk-sharing arrangements that link payment for drugs to health outcomes are proving hard to implement.**

[Neumann PJ](#), [Chambers JD](#), [Simon F](#), [Meckley LM](#).

Center for Evaluation of Value and Risk in Health, Institute for Clinical Research and Health Policy Studies, Tufts Medical Center, Boston, MA, USA.  
[pneumann@tuftsmedicalcenter.org](mailto:pneumann@tuftsmedicalcenter.org)

## Artículos de investigación original

### RIESGO COMPARTIDO: ¿POR QUÉ NO? NUEVOS RETOS Y OPORTUNIDADES PARA EL SISTEMA SANITARIO

*RISK SHARING: WHY NOT?  
NEW CHALLENGES AND OPPORTUNITIES FOR THE HEALTH SYSTEM*

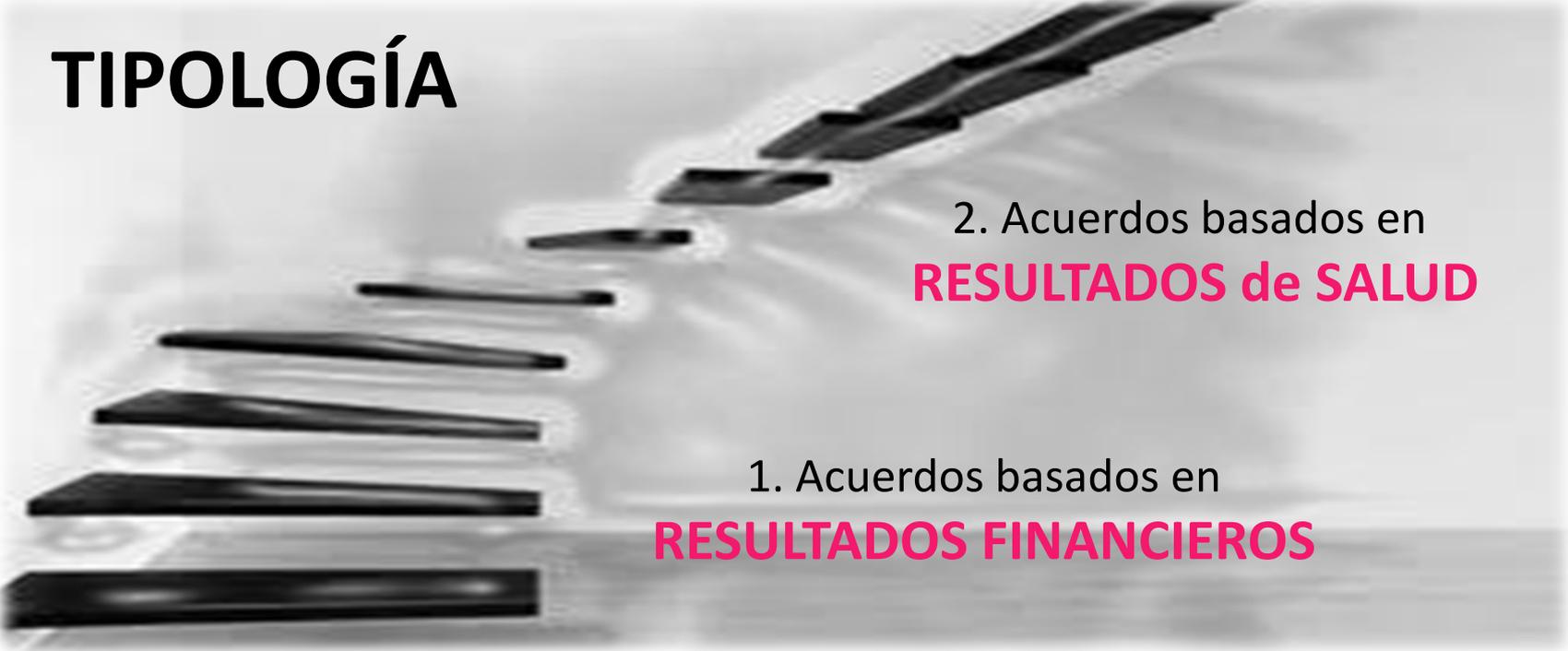
Gilbert Perramon, Antoni<sup>1</sup>; Espinosa Tomé, Cristina<sup>1</sup>; Prat Casanovas, Alba<sup>1</sup>; Magem Luque, David<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Gerència d'Atenció Farmacèutica i Prestacions Complementàries. Àrea de Serveis i Qualitat. Servei Català de la Salut.

# DEFINICIÓN

Acuerdos donde se regulan las incertidumbres y se comparten los riesgos de la financiación de los medicamentos entre la administración sanitaria y la industria farmacéutica

# TIPOLOGÍA



1. Acuerdos basados en  
**RESULTADOS FINANCIEROS**

2. Acuerdos basados en  
**RESULTADOS de SALUD**



# TIPOLOGÍA

## 1. Basados en RESULTADOS FINANCIEROS

### **Precio/volumen**

Se fija un precio para un volumen, y si éste sube, el anterior baja

### **Centrados en la Utilización**

Se paga más en aquella utilización con una mejor expectativa de beneficio o eficacia

### **De Retorno o Devolución (payback)**

Exige al laboratorio devolver parte de los ingresos si sus ventas exceden un objetivo previamente determinado



# TIPOLOGÍA

## 2. Basados en RESULTADOS DE SALUD

### **Individuales con Garantía de Devolución**

Si el paciente no responde, se suspende tratamiento y el laboratorio devuelve el dinero

### **Basados en Coste Efectividad**

Tras evaluar la efectividad del tratamiento se pagan sólo los pacientes más rentables  
(AVAC<36.000£)

### **Basados en Resultados Clínicos**

Si no se consiguen los resultados clínicos el laboratorio paga parte de los gastos incurridos

**VELCADE®**  
**MIELOMA MÚLTIPLE**  
**J&J**  
**Junio 2007**



**REINO UNIDO**  
Ha avanzado mucho  
en los últimos años

**TENDENCIA AL ALZA**  
Países europeos que  
han implantado políticas  
de riesgo compartido (en azul)

**SUECIA**  
Tiene políticas  
muy asentadas.

**ALEMANIA**

**ITALIA**  
Es el país que más  
ha implantado  
estas políticas.

**FRANCIA**

**PORTUGAL**

**SUTENT®/NEXAVAR®**  
**CANCER RENAL AVANZADO**  
**PFIZER/BAYER**  
**Noviembre 2006**



Fuente: elaboración propia.

### **El riesgo compartido en Europa, creciente**

Los expertos consultados por este suplemento reconocen la tendencia europea a incorporar contratos de riesgo compartido, destacando Suecia, Italia y Reino Unido como pioneros en la aplicación de estas políticas innovadoras. También encuentran casos en Portugal, Francia y Alemania.

# El marco legal lo hace posible

## LEY 29/2006

### DE GARANTÍAS Y USO RACIONAL DE LOS MEDICAMENTOS

❖ **Artículo 90**

La Administración central regula la oferta para todo el SNS y establece el precio industrial máximo

❖ **Artículo 88**

Se permite a las CCAA introducir medidas de racionalización



# Experiencias previas

## NIVEL DE CCAA



[inicio](#) | [mapa web](#) | [buscador](#) | [contactar](#)

[ICO Grup](#) | [ICO L'Hospitalet](#) | [ICO Girona](#) | [ICO Badalona](#) | [English](#) | [Català](#)

### INFORMACIÓN SOBRE EL CÁNCER

[USUARIOS Y PÚBLICO](#)

[INFORMACIÓN  
CORPORATIVA](#)

[ÁREA DE EPIDEMIOLOGÍA  
Y PREVENCIÓN](#)

[INVESTIGACIÓN](#)

[FORMACIÓN](#)

[ICO L'HOSPITALET](#)

[ICO BADALONA](#)

[ICO GIRONA](#)

### ICOACTUALIDAD

La publicación Correo Farmacéutico premia el ICO

El ICO ha sido premiado junto con el Servicio Catalán de la Salud y AstraZeneca, dentro de las "Mejores Iniciativas del Correo Farmacéutico" por el Primer Contrato Autonómico de Riesgo Compartido.

El Departamento de Salud, el ICO y AstraZeneca han desarrollado, de forma pionera en España, un programa piloto de acuerdo de riesgo compartido para dar acceso a los pacientes catalanes a un nuevo medicamento.

Se trata de un fármaco que ya ha sido aprobado y que está indicado para un tipo muy específico de cáncer de pulmón, y que ha demostrado una mejora significativa en el tratamiento de esta enfermedad en comparación con los tratamientos disponibles hasta el momento. La novedad radica en que a partir de este acuerdo se realiza una medición individualizada de los resultados gestionando de manera más eficiente los recursos disponibles.

El programa piloto tiene una duración de un año, y en función del resultado obtenido, siguiendo el ejemplo de otros países europeos, se prevé extender progresivamente esta fórmula de acceso a nuevos fármacos a partir de 2012.



**CatSalut**  
Bio\_WORKSHOP\_III

"Risc compartit: de la teoria a la practica"  
Barcelona, 5 de maig de 2009

# Experiencias previas NIVEL HOSPITALARIO

GM - febrero 2011

Suplemento Farmacia Hospitalaria | 11

**GESTIÓN** El Hospital Virgen de las Nieves firma un acuerdo con GSK y fijará el precio de ambrisentan en función de sus resultados

## Volibris, primer contrato de riesgo compartido en España tras dos años de intentos fallidos

- La falta de flexibilidad del centro y de las compañías dificultaron durante dos años la adquisición por esta fórmula de fármacos oncológicos
- En junio se realizará la primera evaluación de resultados, con un *pull* mínimo de 20 pacientes que garantizan ingresos para el laboratorio

EMC  
Madrid

Una veintena de servicios de Farmacia Hospitalaria se han interesado ya por una experiencia pionera en España, la firma del primer contrato de riesgo compartido, suscrito a finales del año pasado por el Hospital Virgen de las Nieves, en Granada, y la compañía farmacéutica GSK. Tras dos años de negociaciones fallidas con distintos laboratorios en diferentes áreas terapéuticas, el servicio de Farmacia Hospitalaria del centro, con Miguel Ángel Calleja a la cabeza, ha conseguido situar a la comunidad andaluza en el primer puesto de una carrera que introduce una nueva vía de financiación de los medicamentos.

El hospital abonará al laborato-



se. "O bien exigíamos mucho desde el centro, o lo hacían los laboratorios", reconoce Calleja, que admite que ha costado mucho esfuerzo pero que, al final, lo que ha permitido que funcione es que no sea un acuerdo categórico. Se miden así los riesgos lineales, no se trata de pagar o no, sino de abonar un mínimo aunque el tratamiento no funcione de la forma esperada, matiza.

En cualquier caso, los contratos de riesgo compartido tendrán que superar muchas barreras todavía. El especialista cree que los laboratorios siguen a la expectativa con este tipo de acuerdos por el temor de que el seguimiento de los resultados de eficacia en los pacientes no sea el adecuado y el miedo a lo desconocido.

Por su parte, los clínicos también

# Últimas novedades

## PRODUCTOS SANITARIOS

**informacion.es** El periódico de la provincia de Alicante  
NOTICIAS **Alicante** HEMEROTECA >

PORTADA SECCIONES DEPORTES ECONOMÍA OPINIÓN 2.0 OCIO

Alicante Elche Vega Baja Benidorm/Marina Baixa Alcoy/Comtat/Foia Elda/Vinalopó L'Alacantí Baix Vinalopó Marina  
informacion.es > Alicante

SANIDAD

### El General aplica un contrato de riesgo compartido para el uso de productos sanitarios

Según el Consell "el que paga --el hospital-- y el que cobra --la industria farmacéutica-- comparten riesgos y beneficios. La aplicabilidad de este tipo de contratos se centra sobre todo en aquellos productos con un alto riesgo de sobreutilización"

17:29 ☆☆☆☆☆   +1  Tweet 0

[Compartir en Tuenti](#)

EP El Hospital General Universitario de Alicante ha adoptado la modalidad de contrato de riesgo compartido para el uso de determinados productos sanitarios. Se trata de un acuerdo que distribuye los riesgos asociados a los resultados de una relación entre las partes implicadas, es decir, el centro sanitario y la industria farmacéutica, ha informado en un comunicado la Generalitat valenciana.

De este modo, el servicio de Farmacia Hospitalaria, dirigido por el doctor Juan Selva, en colaboración con Traumatología y Cirugía Ortopédica, bajo la dirección del doctor Simón Campos, han incorporado esta modalidad contractual con el ácido hialurónico intrarticular, con el objetivo de optimizar el uso de este producto sanitario así como lograr un sistema sostenible.



3

¿EN MEDICAMENTOS  
HUÉRFANOS?

# DEFINICIÓN

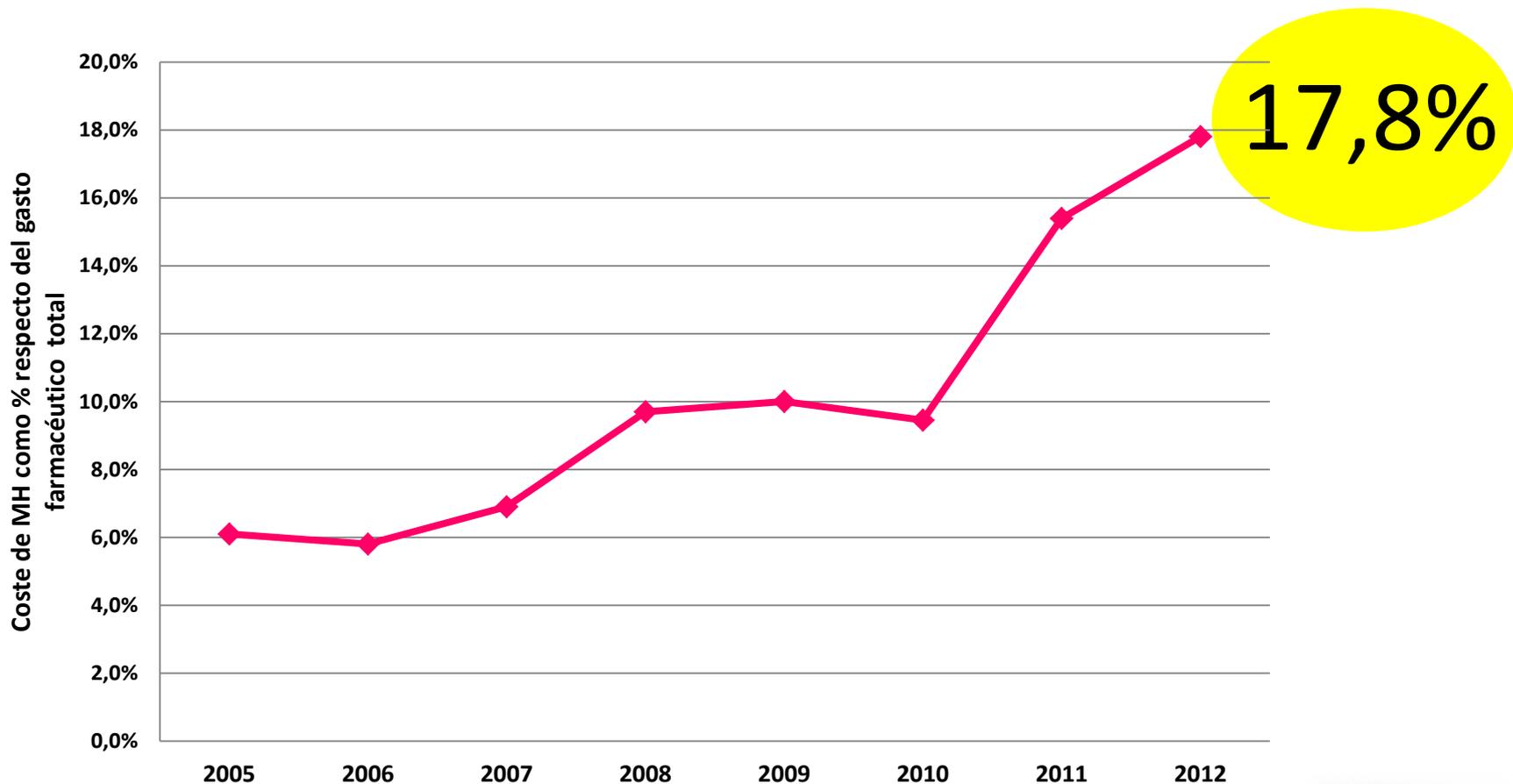
## medicamento huérfano

- ✓ Tratar una enfermedad rara que amenaza la vida del paciente
- ✓ No afecta a más de 5 entre 10.000 personas
- ✓ Carece de tratamiento alternativo o aporta beneficios adicionales
- ✓ Bajo retorno de inversión si no se ofrece incentivo adicional

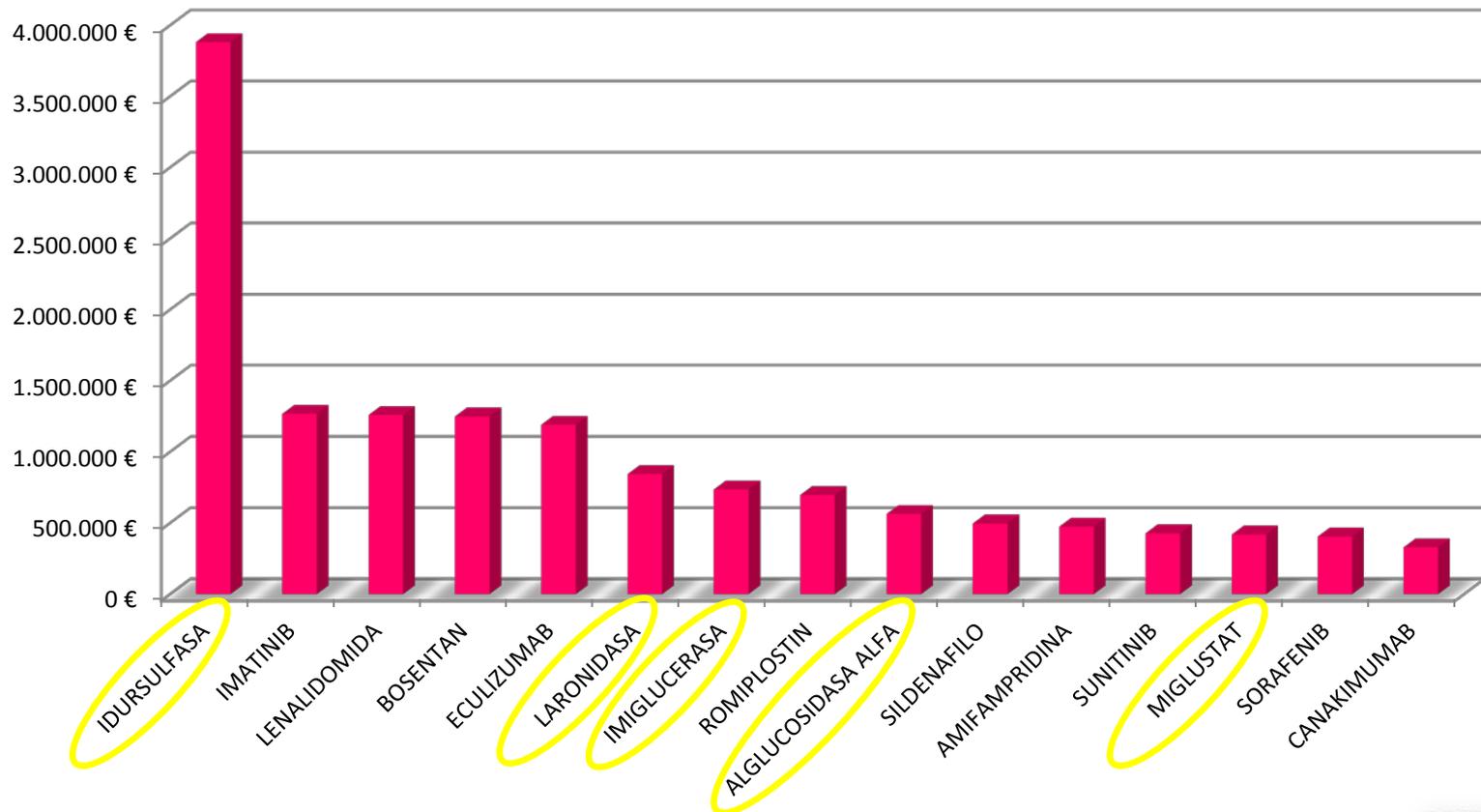
# Alto impacto económico



# Los MEDICAMENTOS HUÉRFANOS en 2012 supusieron un coste de **18.500.000** euros



# MEDICAMENTOS HUÉRFANOS con coste > 300.000 euros en 2012



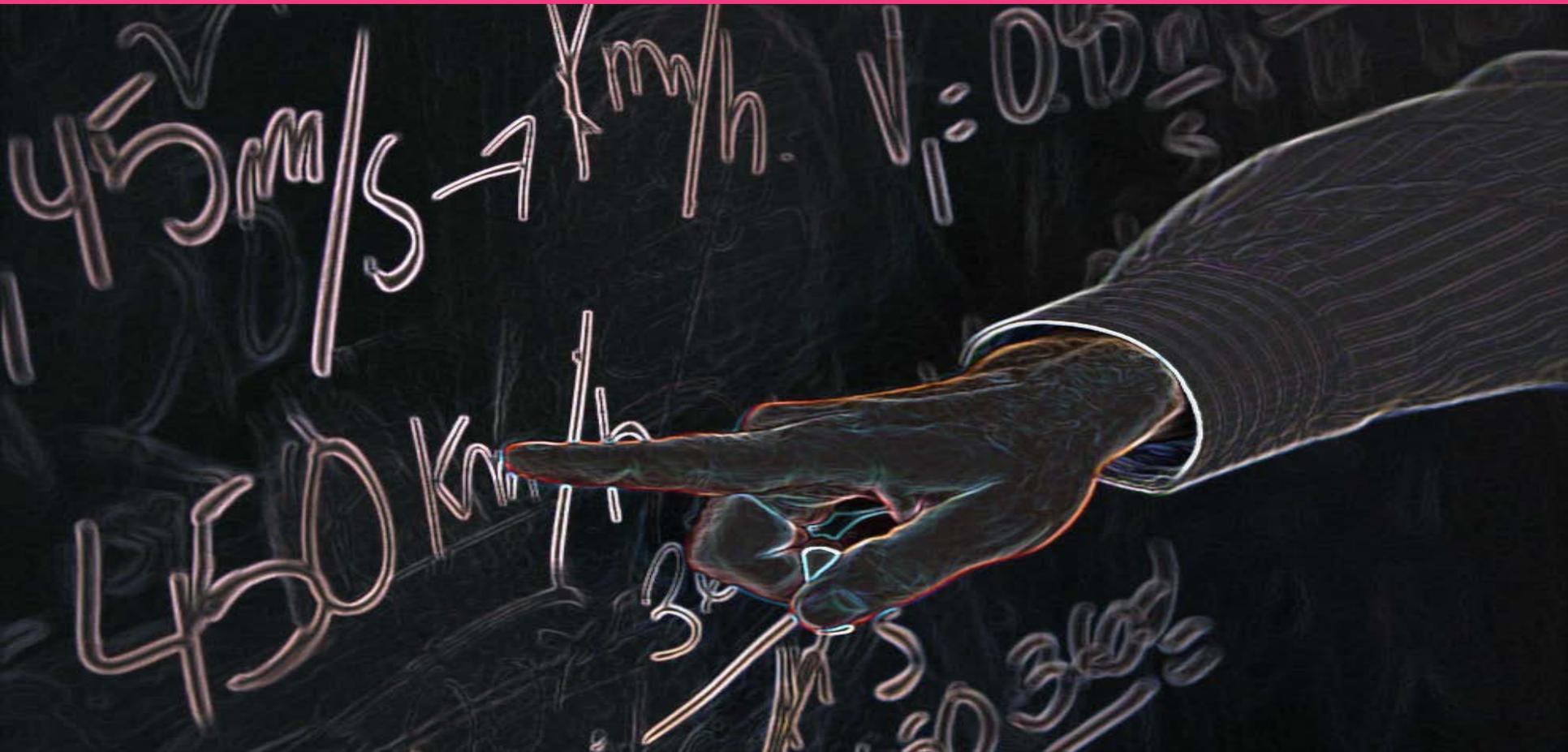
MEDICAMENTO	ENFERMEDAD RARA METABÓLICA	PACIENTES	COSTE 2012
Agalsidasa alfa	Enfermedad de Fabry	1	235.553 €
Alglucosidasa alfa	Enfermedad de Pompe	2*	563.996 €
Idursulfasa	Enfermedad de Hunter	7	3.881.885 €
Imiglucerasa	Enfermedad de Gaucher	4**	735.781 €
Laronidasa	Enfermedad de Hurler	4	843.432 €
Miglustat	Enfermedad de Gaucher, Enfermedad de Niemann Pick	5	419.399 €

\* Un paciente inicia tratamiento en julio 2012. \*\* Dos paciente inician tratamiento en julio 2012

TRATAMIENTOS ENF. LISOSOMALES  
 > 300.000 euros/paciente/año



# Poca evidencia científica



# Alglucerasa (Ceredase<sup>®</sup>) para GAUCHER

Primera TSE disponible que se aprobó (1991 FDA) sobre la base de los resultados de un ensayo clínico abierto sin grupo comparador. Incluyó a 12 pacientes con Gaucher que fueron seguidos durante 9 meses.



# Characteristics of Clinical Trials to Support Approval of Orphan vs Nonorphan Drugs for Cancer

Aaron S. Kesselheim, MD, JD, MPH

Jessica A. Myers, PhD

Jerry Avorn, MD

**Context** The Orphan Drug Act incentivizes medical diseases, offering substantial financial benefits to the manufacturer. It is the most common drug approval in oncology, but safety is not always guaranteed.

## Características Ensayos de MH antitumorales:

- ★ Reclutan pocos pacientes (96 vs 290\*)
- ★ Bajo % aleatorizados (30 vs 80 %\*)
- ★ Bajo % doble ciego (4 vs 33 %\*)
- ★ Pocos utilizan variables de resultado final (8 vs 27%\*)

\*P<0,05 en todas las comparaciones



**MEDICAMENTOS  
HUÉRFANOS**  
Designación huérfana  
Autorización comercialización  
(Enero 2013)

2012
ADCETRIS
BRONCHITOL
DACOGEN
GLYBERA
JAKAVI
KALYDECO
NEXOBRID
REVESTIVE
SIGNIFOR
XALUPRINE
2011
ESBRIET
PLENADREN
TOBI PODHALER
VOTUBIA
VYNDAQEL
2010
ARZERRA
TEPADINA
VPRIV <b>NO</b>

2009
CAYSTON
FIRDAPSE
MEPACT
MOZOBIL
NPLATE
PEYONA
2008
CEPLENE
FIRAZYR
KUVAN
THALIDOMIDE
CELGENE
VIDAZA
VOLIBRIS
2007
ATRIANCE
CYSTADANE
DIACOMIT
ELAPRASE
GLIOLAN

INCRELEX
INOVELON
REVLIMID
SIKLOS
SOLIRIS
TASIGNA
TORISEL
YONDELIS
2006
EVOLTRA
EXJADE
MYOZYME
NAGLAZYME <b>NO</b>
NEXAVAR
SAVENE
SPRYCEL
2005
ORFADIN
PRIALT
REVATIO

2004
LITAK
LYSODREN
PEDEA
WILZIN
XAGRID
2003
ALDURAZYME
BUSILVEX
CARBAGLU
VENTAVIS
2002
SOMAVERT
TRACLEER
ZAVESCA
2001
FABRAZYME
REPLAGAL

AMONNAPS (1999)   
CEREZYME (1997)

70 % MH aprobados por CFT del Hospital La Fe  
80 % MH LISOSOMOPATÍAS APROBADOS

# MH LISOSOMOPATÍAS

- ✓ Alto impacto económico
  - ✓ Incertidumbre de resultados
  - ✓ Pocos pacientes por enfermedad
  - ✓ Periodo de recolección de datos factible
  - ✓ Hospital La Fe Centro de Referencia de enfermedades metabólicas
- 

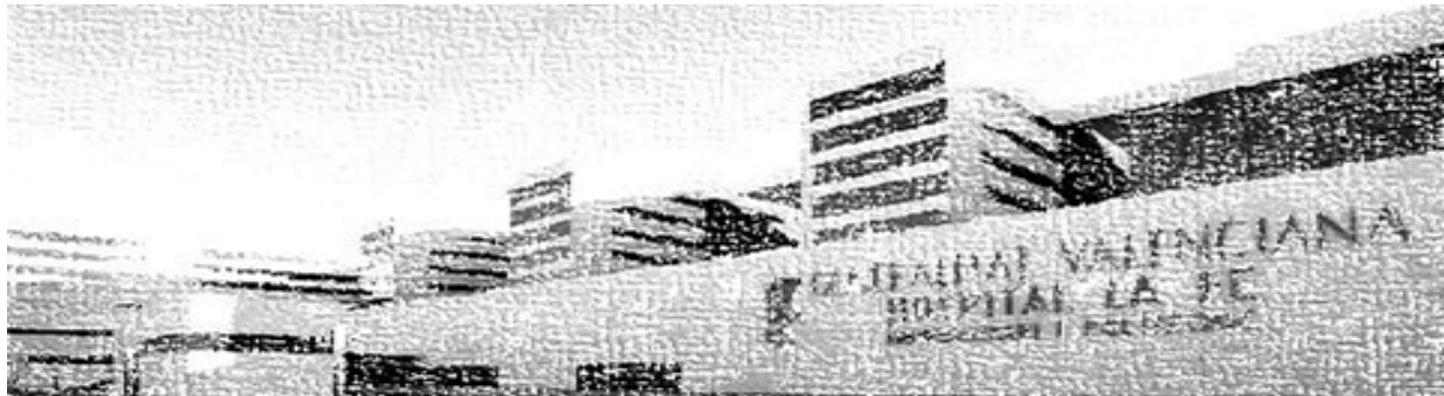


4

**NUESTRA EXPERIENCIA**

# Contratos Riesgo Compartido

Enfermedad de Hurler  
Enfermedad de Pompe  
Enfermedad de Gaucher



# Ventajas encontradas



# Hemos reducido las 3 incertidumbres del financiador



Impacto presupuestario



Efectividad alcanzada



Fiabilidad evaluación económica

Se ha evitado  
**RIESGO DE EXCLUSIÓN**



A black and white photograph showing a hand holding a coin over a light bulb. The coin is positioned as if about to be placed on the bulb. The background is dark, and the light bulb is the central focus. The text is overlaid on the image.

Hemos promovido un consumo  
**MÁS COSTE-EFECTIVO**

seguimiento y  
monitorización  
**MÁS EXHAUSTIVA**



Se han fomentado  
las relaciones

FINANCIADOR-INDUSTRIA



# Obstáculos en el camino



# RETICENCIAS

a nuevas formas de contratación



# Dificultad para definir VARIABLES DE EFICACIA

## Hurler

### VARIABLES ENSAYOS CLÍNICOS

- Cambios en la capacidad vital forzada
- Distancia recorrida en 6 min en prueba de la marcha



Se adoptó una VARIABLE que se acoplase a la realidad del paciente y fuese objetivable



Médico experto en Metabologpatías

Farmacéutico clínico

Farmacéutico de gestión de compras

**ESFUERZO**

implantación, seguimiento y monitorización

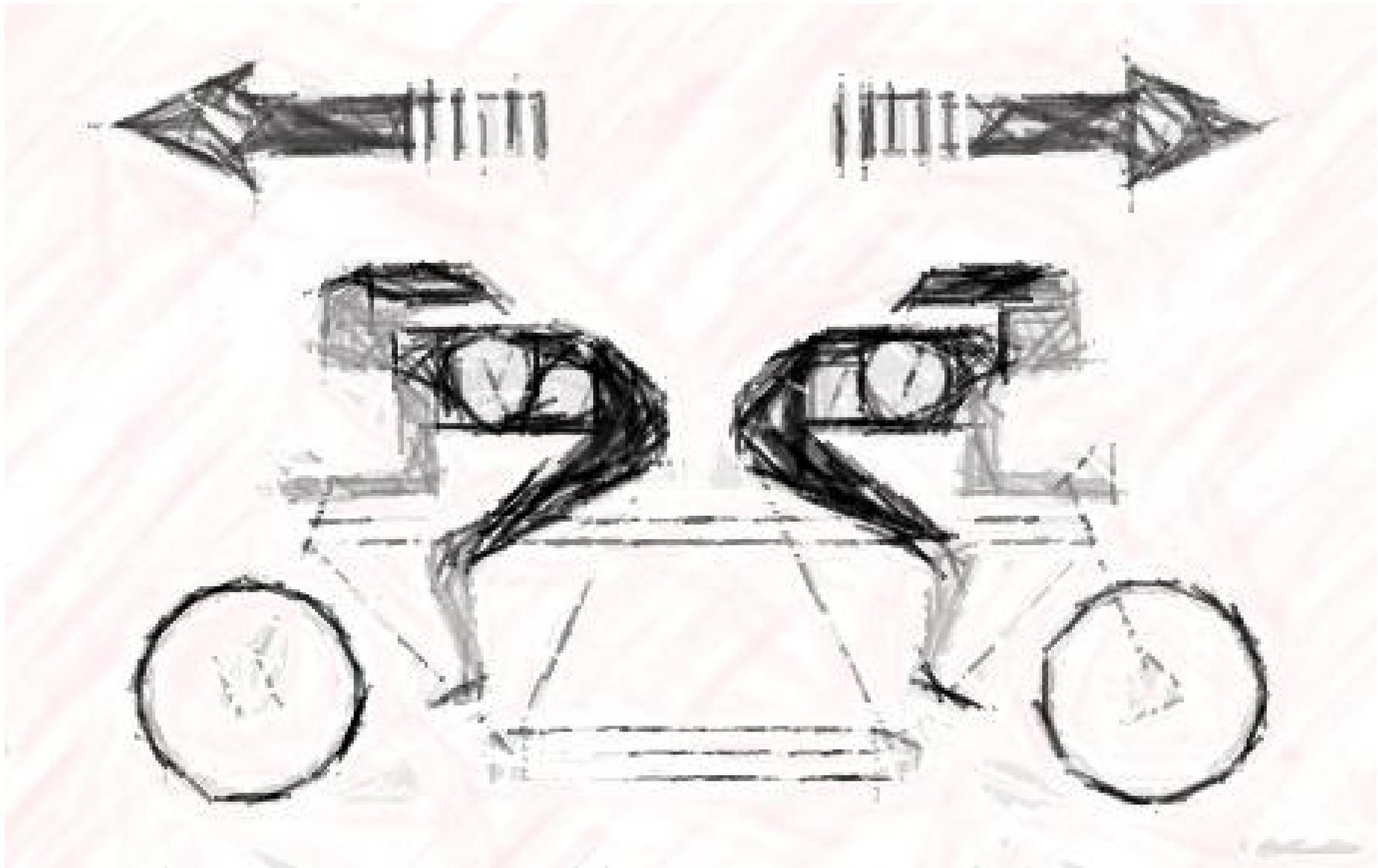
# ADHERENCIA a los tratamientos





CONFIDENCIAL

- xiii)** Que este Acuerdo es y deberá permanecer confidencial entre las partes firmantes y no deber ser publicado ni publicitado a terceros sin el consentimiento expreso de las otras partes. Cualquier violación a este respecto dará lugar a la solicitud de los correspondientes daños y perjuicios a que diera lugar el incumplimiento.



Conflicto de intereses

# Dilatación de las negociaciones

**FEB 2012. PETICIÓN TES PARA PACIENTE POMPE**

**MAR 2012.** Reunión con el laboratorio para proponer CRC

**MAR 2012.** Consensuar con el clínico Criterios eficacia

**ABR 2012.** Primer borrador del CRC

**MAY 2012.** Aprobación CRC por todas la partes

**JUL 2012. PACIENTE INICIA TRATAMIENTO**

# LECCIONES APRENDIDAS



- \* MH candidatos idóneos para CRC
- \* CRC alinean los intereses de financiadores e industria
- \* CRC refuerzan la farmacovigilancia
- \* La mayoría de obstáculos encontrados en el camino podremos vencerlos a medida que acumulemos experiencia en este nuevo instrumento de financiación de medicamentos



# Sobre la mesa ...



*DECRETO LEY 2/2013, de 1 de marzo, del Consell, de Actuaciones Urgentes de Gestión y Eficiencia en Prestación Farmacéutica y Ortoprotésica. [2013/2375]*

6. La Agència Valenciana de Salut promoverá la conformación de Comités Clínicos que faciliten la equidad y accesibilidad a los tratamientos médicos para enfermedades huérfanas y raras, impulsando acuerdos de riesgo compartido con los licenciarios de los productos farmacéuticos, estableciendo un esquema de descuento para diferentes niveles de mejoría clínica observada en la población tratada siempre que se disponga de medidas de resultados aceptables.

# Un largo CAMINO



# Un RETO

ACCESO A LA INNOVACIÓN  
SOSTENIBILIDAD





*Muchas  
gracias*

edo\_marsol@gva.es