



Sociedad Española de  
Farmacia Hospitalaria

Jornadas de medicamentos  
huérfanos y enfermedades raras

# **Modelos de Gestión: Perspectivas desde la industria**

Valencia, 12 de Abril de 2013

Fernando Royo

**genzyme**  
A SANOFI COMPANY

**En 2009, el gasto en medicamentos huérfanos de los 5 mayores países de la UE fue inferior al 3% del gasto farmacéutico total**



**2.4%<sup>a</sup>**



**2.5%<sup>a</sup>**



**1.8%<sup>a</sup>**



**2.1%<sup>c</sup>**

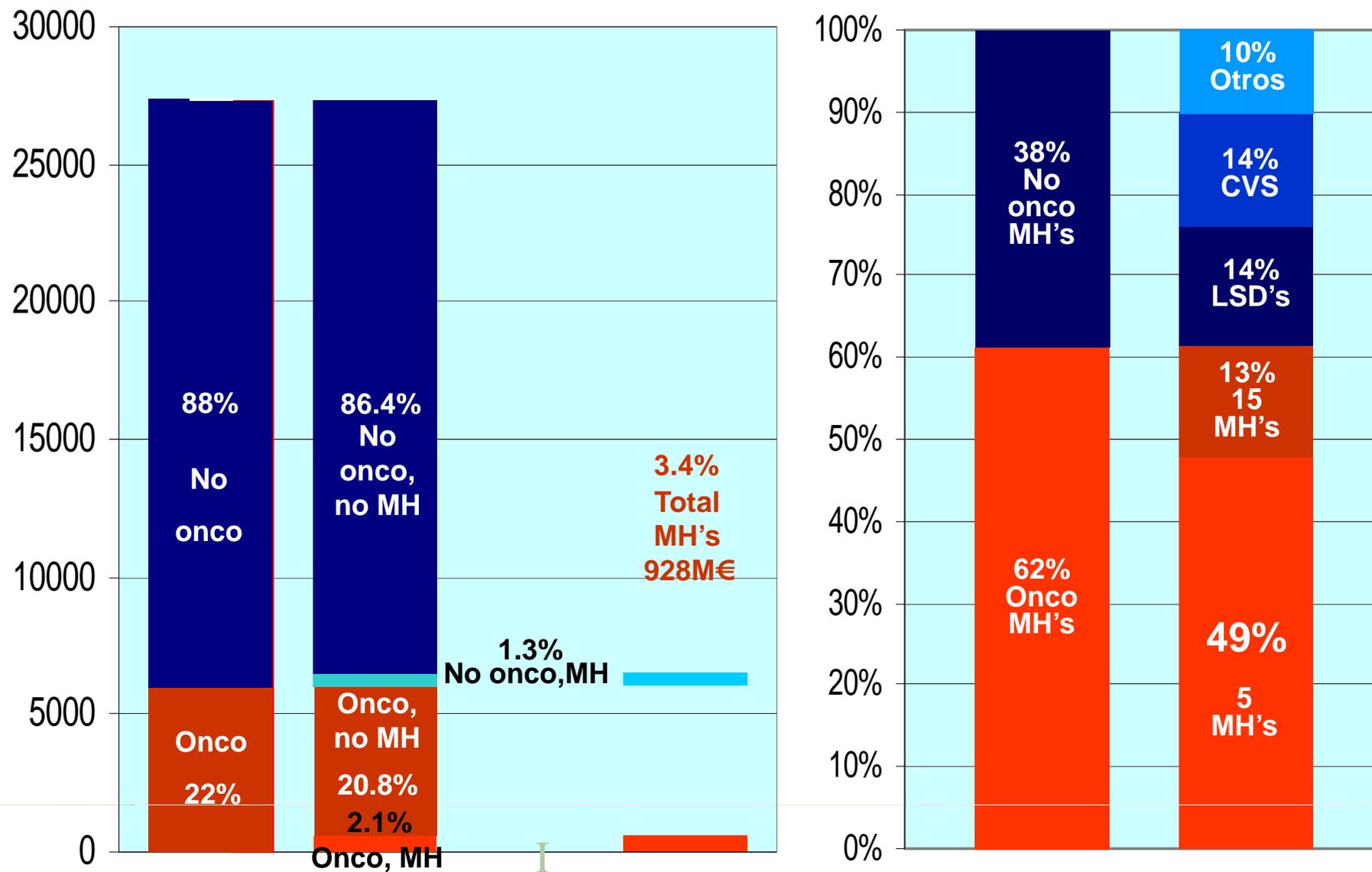


**2.5%<sup>a</sup>**

- a) IMS data
- b) Rapporto OSMED 2010

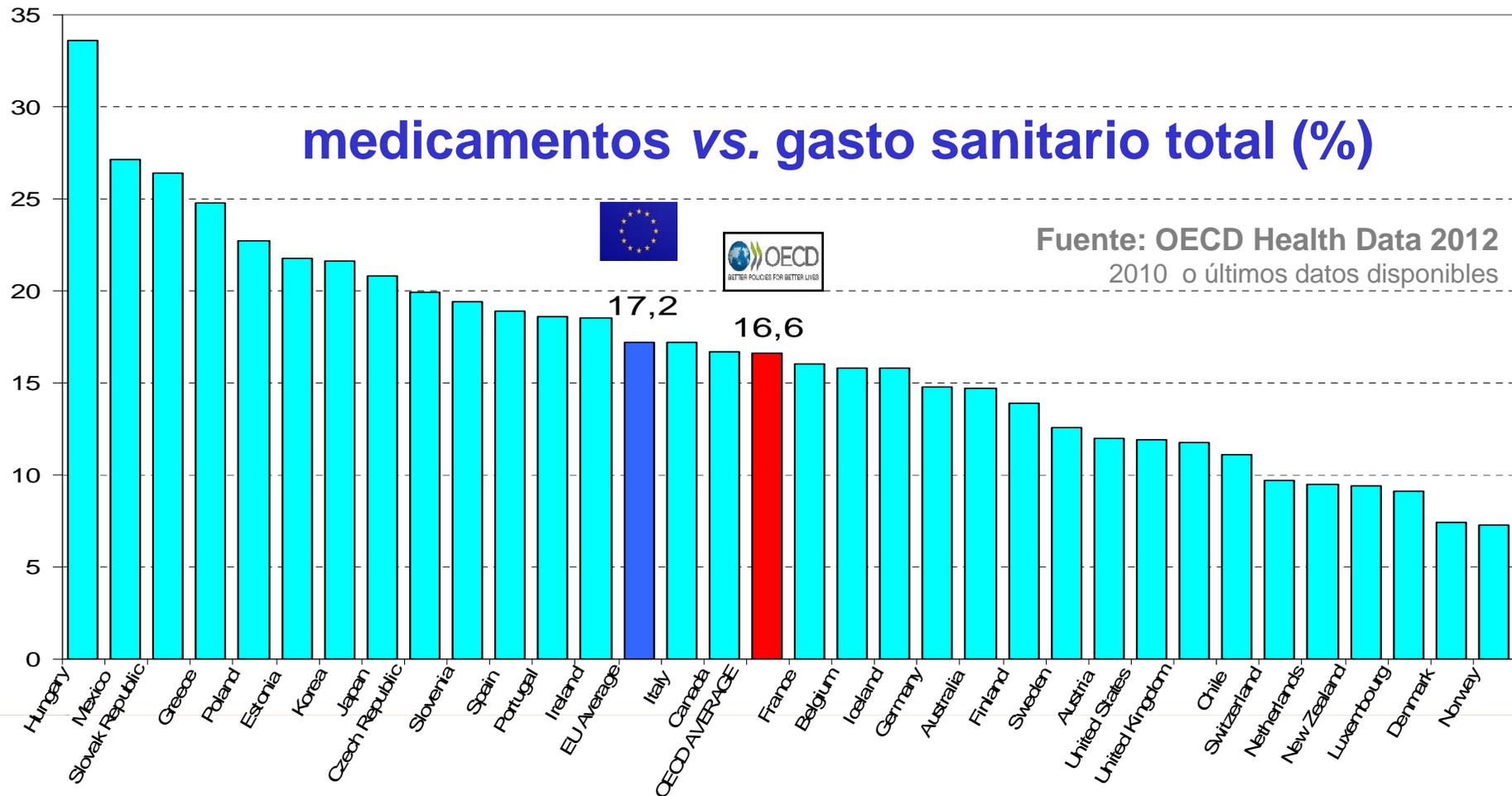
## ... siendo la mayor parte medicamentos oncológicos

Gasto farmacéutico **público** total en Francia 2010<sup>a</sup> = 27,539 M€



a) Afsapps: Ventas de medicamentos aux officines et aux hôpitaux en France : chiffres clés 2010

## Si consideramos el % de gasto farmacéutico respecto al gasto sanitario total:



MH's representan **menos del 0.5%** del gasto sanitario total ( $<3\% \times \approx 17\%$ )

# Orphan drugs and the NHS: should we value rarity?

Christopher McCabe, Karl Claxton, Aki Tsuchiya

The growing number and costs of drugs for rare diseases are straining healthcare budgets. Decisions on funding these treatments need to be made on a sound basis

White Rose  
Initiative in Health  
Technology  
Assessment, Health  
Economics and  
Decision Science,  
School of Health  
and Related  
Research, University  
of Sheffield,  
Sheffield S1 4DA

Christopher  
McCabe  
*professor of health  
economics*  
Aki Tsuchiya  
*lecturer in health  
economics*

White Rose  
Initiative in Health  
Technology  
Assessment, Centre  
for Health  
Economics,  
University of York,  
York YO1 5DD

Karl Claxton  
*senior research fellow*

Correspondence to:  
C McCabe  
c.mccabe@sheffield.  
ac.uk

BMJ 2005;331:1016-9

Cost effectiveness plays an important part in current decisions about the funding of health technologies. Drugs for rare disease (orphan drugs) are often expensive to produce and, by definition, will benefit only small numbers of patients. Several countries have put measures in place to safeguard research and development of orphan drugs, but few get close to meeting the cost effectiveness criteria for funding by healthcare providers. We examine the justifications for special status for rare diseases and ask whether the cost effectiveness of drugs for rare or very rare diseases should be treated differently from that of other drugs and interventions.

## Current practice

The citizen's council of the National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) was recently asked to consider whether the NHS should be prepared to pay premium prices for drugs to treat patients with very rare diseases.<sup>1</sup> It recommended that the NHS should consider paying premium prices based on three criteria: the severity of the disease, evidence of health gain, and whether the disease is life threatening.<sup>1</sup> The decision by the Department of Health to ring fence funding for enzyme replacement therapy for lysosomal disorders, with expected annual costs above £100 000 (\$180 000, €150 000) per patient for life, suggests that central government also currently



PENNY TWEDDIE/SPL

Special status for drugs for rare diseases such as neurofibromatosis may be unsustainable

until 2000. The precise prevalence threshold varies

# El reto “Costo vs. Innovación”

Los esquemas tradicionales de precio y reembolso pueden generar **incertidumbres** para **todas** las partes implicadas:

**Valor:** variabilidad individual > mismo tratamiento, diferentes resultados

**Costo:** peso alto/refractarios/discapacitados > mayor costo para igual o menor valor



# El reto “Costo vs. Innovación”

Los esquemas tradicionales de precio y reembolso pueden generar **incertidumbres** para **todas** las partes implicadas:

**Valor:** variabilidad individual > mismo tratamiento, diferentes resultados

**Costo:** peso alto/refractarios/discapacitados > mayor costo para igual o menor valor

**Indicación:** diferentes indicaciones > diferente coste-efectividad para mismo fármaco

**Administración:** p. ej. IV vs. PO > diferentes presupuestos (hospital vs. primaria)

En resumen, mientras los gestores están preocupados por

**“¿Cuánto beneficio para el paciente obtendré por este dinero?”**

...fabricantes e inversores están preocupados por

**“¿Qué retorno económico obtendré por mi innovación / inversión?”**

# Orphan Drug Prices Under Siege in Austerity-Minded Europe

By Simeon Bennett - Apr 8, 2013 12:01 AM GMT+0200



0 COMMENTS

QUEUE



Treatments for rare diseases are hot properties for drugmakers, who covet the medicines for their exclusive markets, tax breaks and through-the-roof prices. Now that's changing.

This year, the Netherlands demanded cuts in the prices of enzyme-replacement therapies including [Sanofi \(SAN\)](#)'s Myozyme, which costs 700,000 euros (\$909,000). Ireland won a "significant" reduction in the cost of [Vertex Pharmaceuticals Inc. \(VRTX\)](#)'s Kalydeco for cystic fibrosis, and the U.K. rejected a recommendation to expand the use of [Alexion Pharmaceuticals Inc. \(ALXN\)](#)'s drug Soliris, which is prescribed for two blood disorders.

# La innovación debe llegar también a los esquemas de precio y reembolso

Los **esquemas de PyR innovadores** pueden disminuir esas incertidumbres:

**Valor:** compartiendo el riesgo del resultado (reembolso condicional, asunción de costos adicionales por proveedor), reembolso fraccionado y prolongado en base a la **durabilidad de la eficacia terapéutica**

**Costo:** precio fijo (or limitado) por tratamiento/paciente/población, no por unidad farmacéutica, redistribuyendo así el impacto presupuestario de casos excepcionales respecto a peso o prevalencia

**Indicación:** compartiendo el riesgo (y los costos) de una selección óptima de los pacientes

**Administración:** financiación equitativa para todos los niveles asistenciales, considerando también los costos totales (directos e indirectos) de la enfermedad (p.ej. ahorros laborales, o en discapacidad). PyR para “manejo integral” (p.ej. tratamiento domiciliario)

Si los gestores sanitarios presupuestan en términos de tratamiento/enfermedad/paciente/población, y los fabricantes en ventas totales del producto, ¿por qué seguimos todos obcecados con el precio unitario? Busquemos y adoptemos **métodos de cuantificación comunes**

# Esquemas innovadores de precio y reembolso: dificultades por resolver

En realidad, la mayoría de los esquemas innovadores que han ido apareciendo han sido diseñados de forma “reactiva”, no “proactiva / por adelantado”

Aún persisten obstáculos de orden práctico:

**Valor:** la efectividad debe ser valorable de forma objetiva y rápida (p. ej. mediante indicadores primarios o secundarios aceptados y acordados)

**Costo:** el uso debe ser transparente/auditable, garantizando que suministros con un precio fijo o limitado por paciente no son utilizados en otros casos

**Indicación:** la selección de pacientes debe ser adecuada y razonable

**Administración:** las cargas y beneficios económicos deben ser repartidos equitativamente entre todas las partes. Deben preverse métodos de auditoría y arbitraje neutrales e independientes, considerando también las limitaciones impuestas por las Ley de Protección de Datos

# Conclusiones y Recomendaciones (1)

Las medidas de racionalización de gasto sanitario (**no simplemente farmacéutico**) son necesarias para garantizar la sostenibilidad a largo plazo de los sistemas.

Las enfermedades raras constituyen una parte a menudo llamativa, pero económicamente poco relevante respecto al total

Gran parte de las dificultades presupuestarias se deben a una inadecuada, rígida y pre-establecida asignación de recursos. Debido a su irregular y, a menudo, impredecible distribución, las enfermedades raras deben ser objeto de financiación separada desde un nivel superior

La evaluación de tecnologías sanitarias (HTA) se generalizará, formando parte –esperemos que de forma “armonizada”- de los procedimientos de precio y reembolso. Sin embargo, la metodología habitualmente empleada no es apropiada para medicamentos huérfanos, pues no incluye mecanismos para valorar la “rareza” ni los beneficios indirectos y sociales (familias, impacto en I+D de enfermedades más prevalentes)

# Conclusiones y Recomendaciones (2)

Los esquemas de precio y reembolso tradicionales, orientados al precio unitario, están causando incertidumbres a todos los actores, constituyendo a menudo una barrera para la innovación y equidad sanitarias

Ciertos esquemas innovadores de precio y reembolso han demostrado su capacidad de disminuir algunas de estas incertidumbres, proporcionando:

- ✓ Acceso más equitativo de los pacientes a los tratamientos
- ✓ Mejor y más precisa planificación de los presupuestos públicos
- ✓ Retornos de la inversión más predecibles para los fabricantes / inversores
- ✓ Un camino económicamente sostenible para la innovación sanitaria

***“Socialmente, lo más absurdo e insostenible es gastar fortunas en desarrollar un tratamiento innovador para, incluso en los pocos casos en que tenemos éxito, acabar no usándolo porque es demasiado caro”  
(Thomas Lönngren, ex-Director Ejecutivo, EMA)***

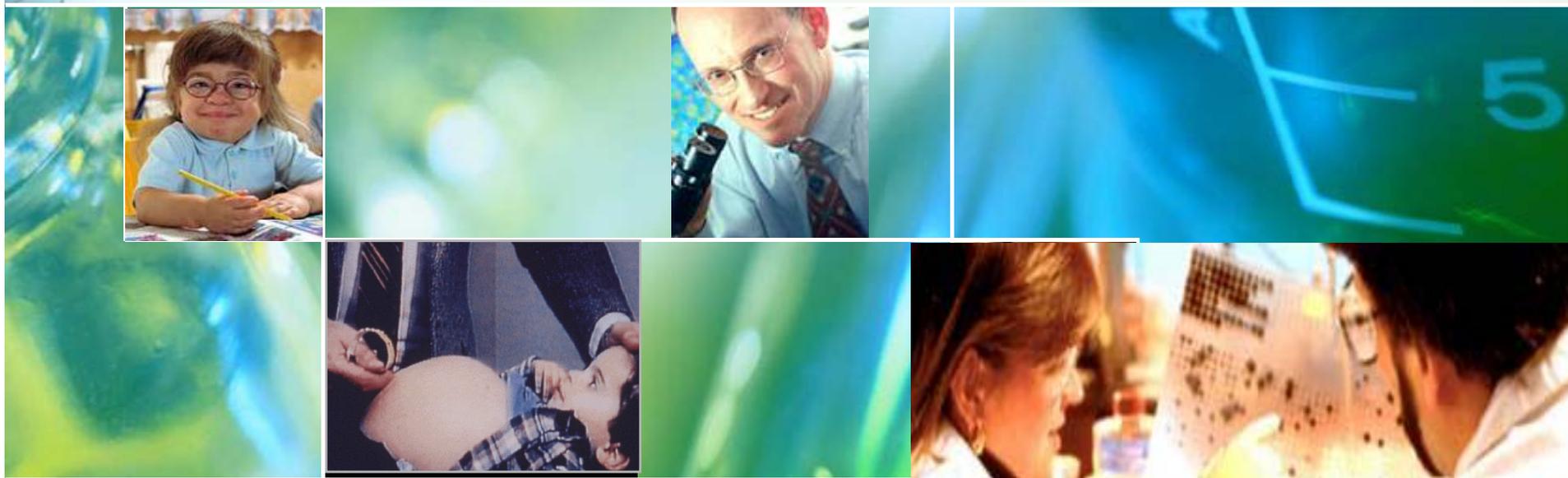
# Conclusiones y Recomendaciones (3)

## Elementos clave para el éxito:

- Todas las partes (no sólo autoridades/gestores sanitarios y proveedores, sino también autoridades regulatorias, legisladores, sociedades científicas, personal sanitario y pacientes) debemos colaborar en la búsqueda de modelos **centrados en el paciente y de creación neta de valor**
- Un clima de respeto y confianza mútuos, evitando prejuicios y actitudes de confrontación
- Abordaje y participación precoces, proactivas en vez de reactivas
- Cualquier esquema de precio y reembolso debe ser justo y transparente, pero sus detalles deben mantenerse razonablemente confidenciales para evitar efectos indeseables en mercados donde aún no son viables, o los parámetros macroeconómicos (PIB, PPP) son sustancialmente diferentes
- Los inversores y mercados financieros deben adoptar una visión más a largo plazo, en búsqueda de la “maximización del valor” y su sostenibilidad, frente a la cortoplacista y orientada a la maximización del beneficio

**En resumen, la sostenibilidad del progreso y la innovación dependerá de nuestra capacidad de responder al rápido avance de la ciencia con nuevos esquemas económicos, regulatorios y administrativos**

**MUCHAS GRACIAS  
POR SU ATENCIÓN**



**genzyme**  
A SANOFI COMPANY