EURORDIS
RARE DISEASES EUROPE

Criterios farmacoecónomicos para el accesso de medicamentos

Ruth Puig-Peiró

8 de Junio de 2017

EURORDIS.ORG

Conceptos del taller

INCIDENCIA

EPIDEMIOLOGÍA

PREVALENCIA

IMPACTO SOCIAL

CALIDAD DE VIDA

IMPACTO PRESUPUESTARIO

RCEI

IMPACTO ECONÓMICO

COSTE FÁRMACO

Índice

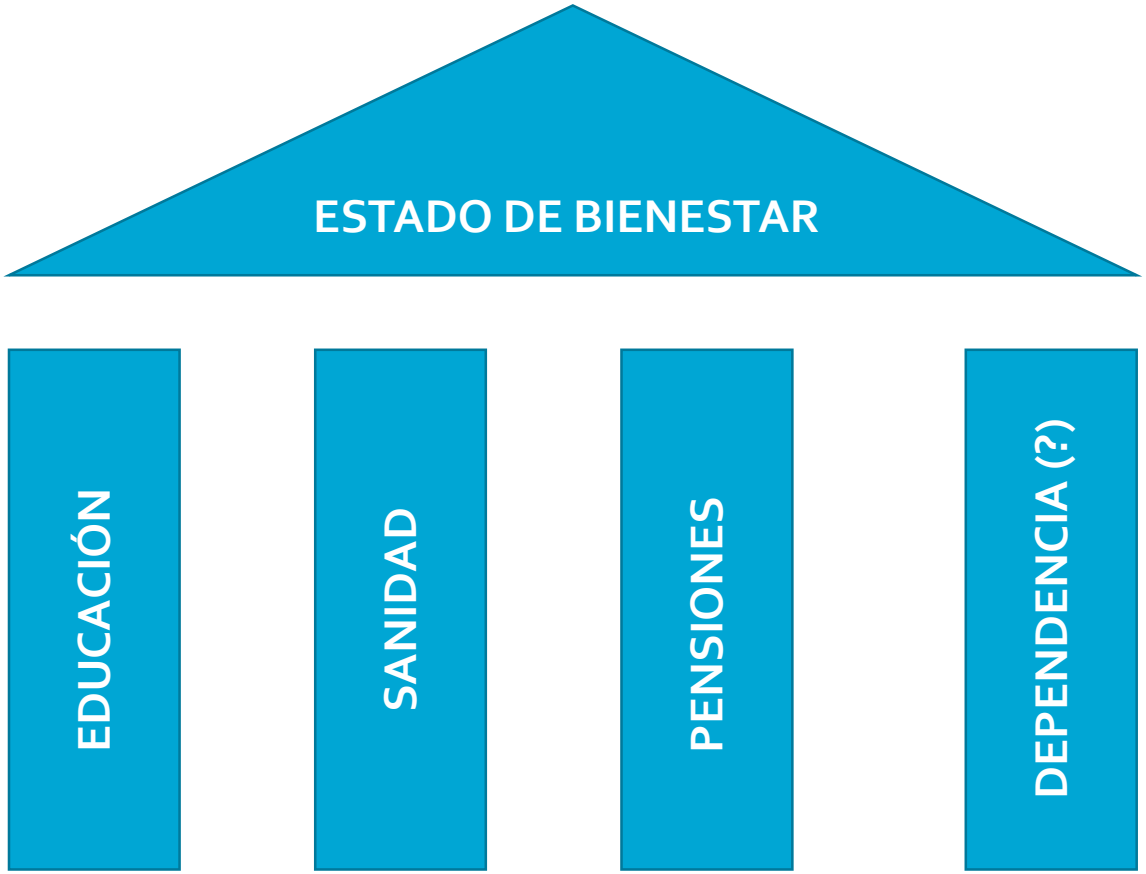
1. Principios de la cobertura y financiación pública de servicios sanitarios
2. Evaluación económica de medicamentos y análisis de impacto presupuestario

Parte 1

Principios de la cobertura y financiación pública de servicios sanitarios

EURORDIS
RARE DISEASES EUROPE

Pilares del Estado de Bienstar



Distribución del gasto público

Cuadro 3. Distribución del Gasto por partidas (%). Año 2014		
	UE 28	**España**
Gasto total	**100,00**	**100,00**
Servicios generales	17,43	17,75
Intereses	5,19	7,64
Defensa	6,43	6,52
Educación	10,17	9,21
Pensiones	24,48	26,07
Desempleo	3,11	5,62
Resto de proteccion social	13,07	7,87
Sanidad	14,94	13,71
Resto Gastos	5,19	5,62

62,47%

Fuente: FEDEA, Documento de trabajo 2016/09 https://goo.gl/3hoAJw

Contexto del gasto público en general

Escasez de recursos

Los recursos son insuficientes (limitados) para financiar todas las intervenciones

Coste de oportunidad

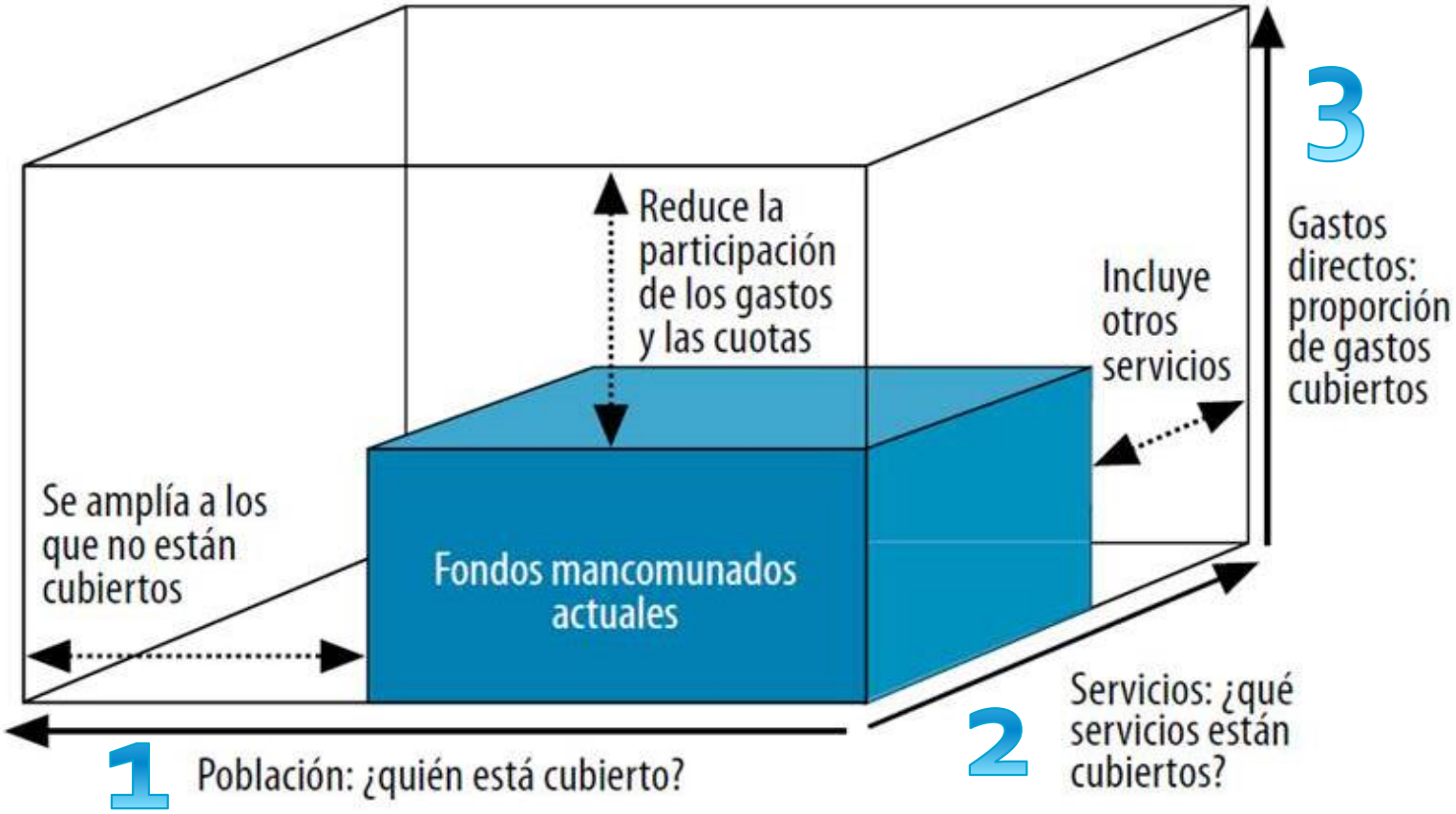
Al asignar los recursos disponibles a una intervención, "sacrificamos" otras oportunidades de utilizar los recursos

Asignación de recursos

Las necesidades son ilimitadas. Por tanto, **debemos elegir** la forma más eficiente de utilizar los recursos

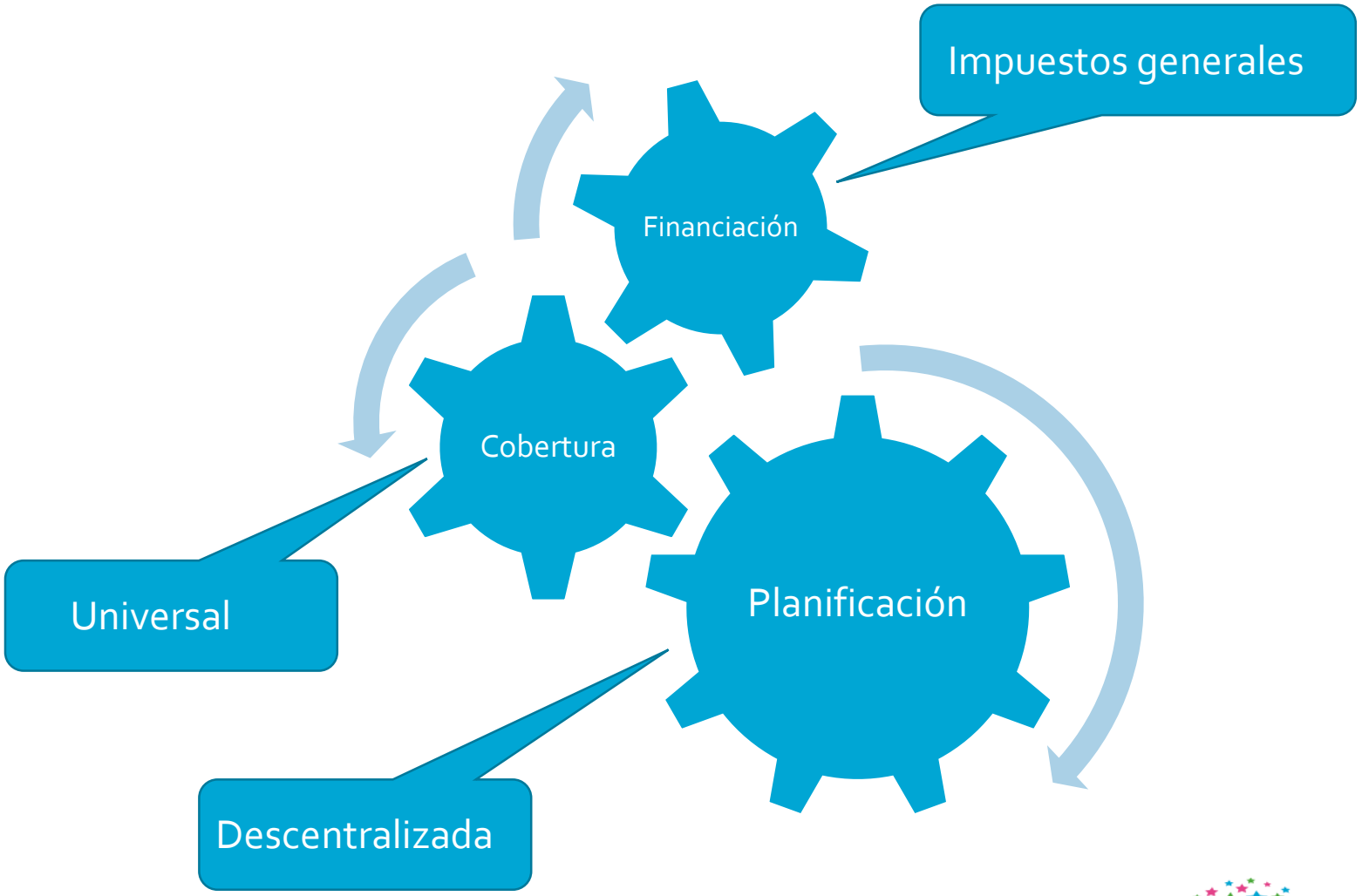
El componente económico cuenta en la toma de decisiones

Las tres dimensiones de la cobertura



Fuente: López-Casasnovas

El sistema nacional de salud (SNS)

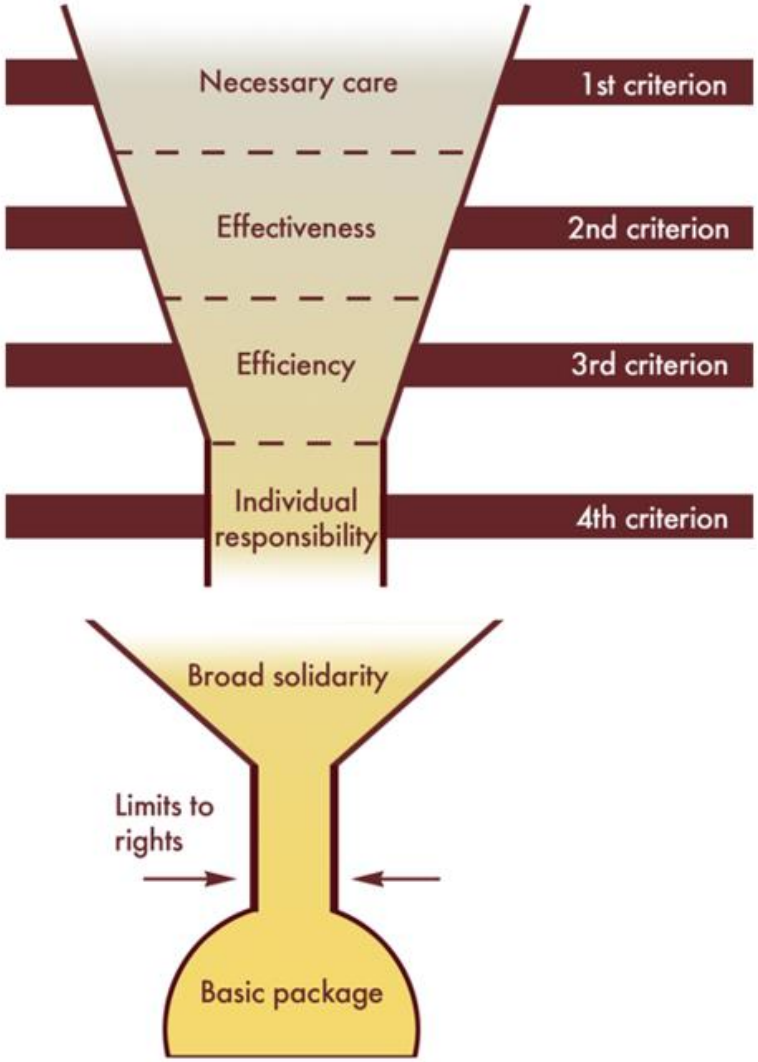


Principios de la financiación pública

1. Todos los aspectos de **salud pública** (concepto de externalidades positivas)
2. Prestaciones asistenciales que:
   - ✓ Demuestran una relación **coste-efectividad** que se considera suficientemente probado
   - ✓ Cubren contingencias en salud que ocurren con **baja probabilidad** pero que generan situaciones y **consecuencias financieras catastróficas** (principio de aseguramiento).

Fuente: López-Casasnovas

Criterios para la financiación pública



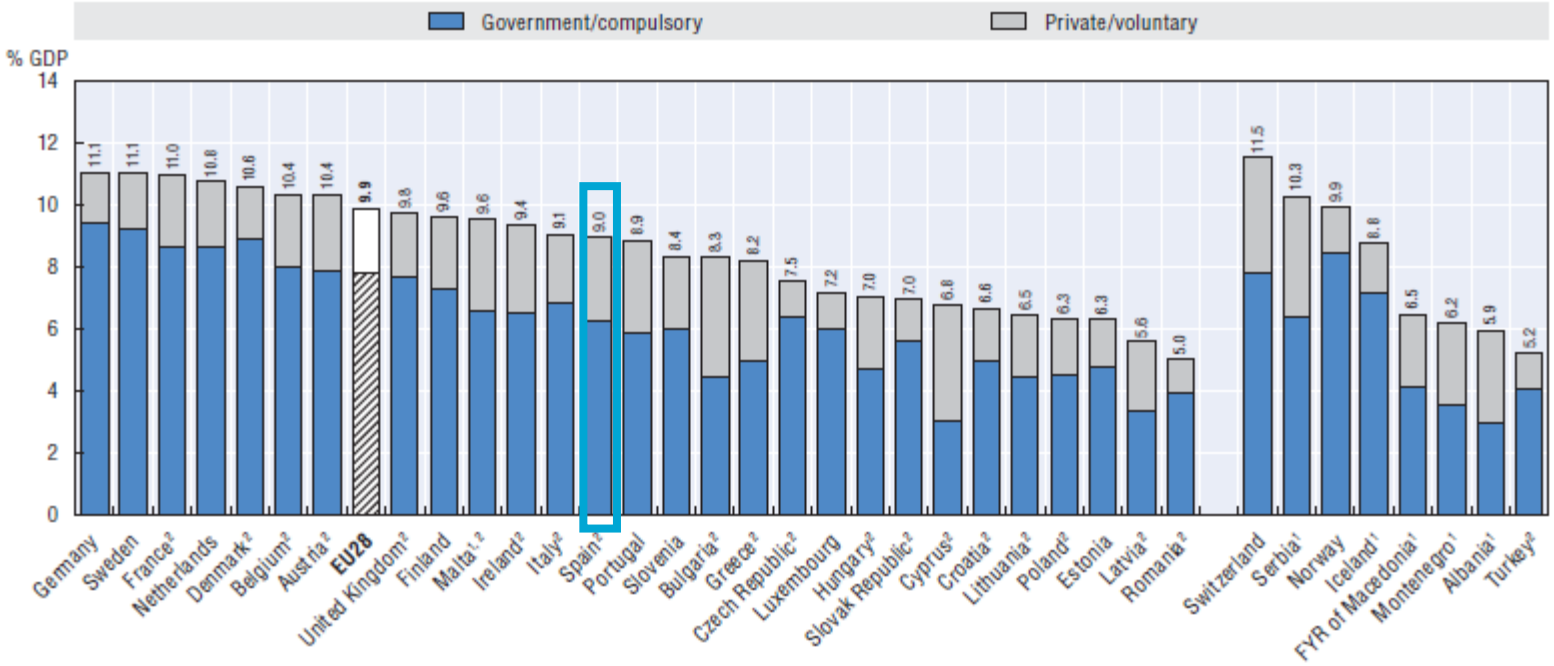
Referencia: Dunnig's Funnel

Salud como inversión, no como gasto

- Sector sanitario es un sector productivo de servicios importante de la economía
- Inversión en capital humano
- También es un instrumento de cohesión social, como lo son el resto de pilares del estado del bienestar.

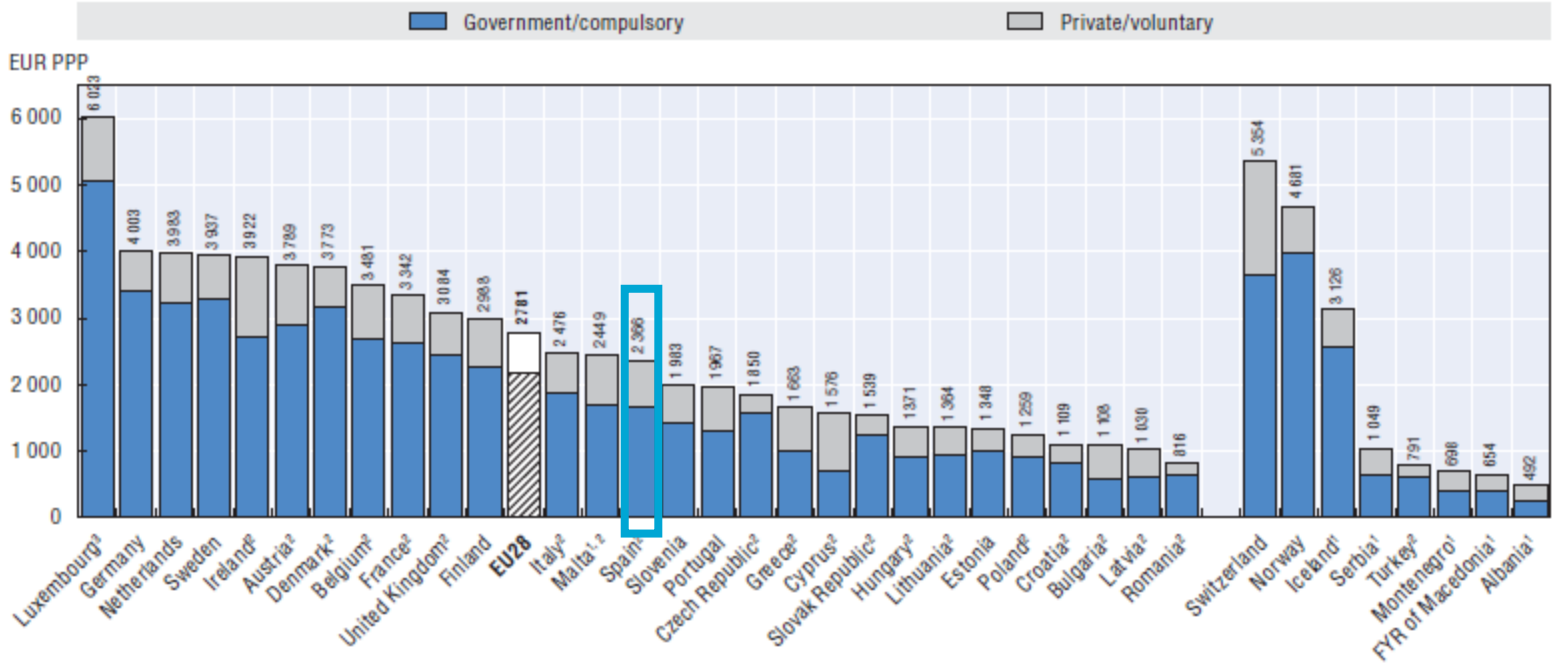
Aunque en las cuentas de los estados continúan imputándolo como gasto…

Gasto en sanidad, % PIB (2015)



Fuente: OCDE, Health at a Glance Europe 2016

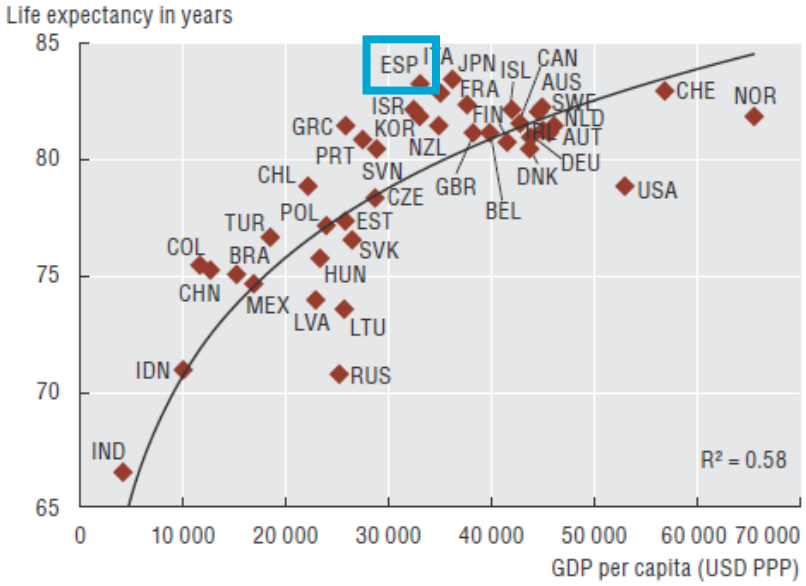
Gasto en sanidad, por cápita (2015)



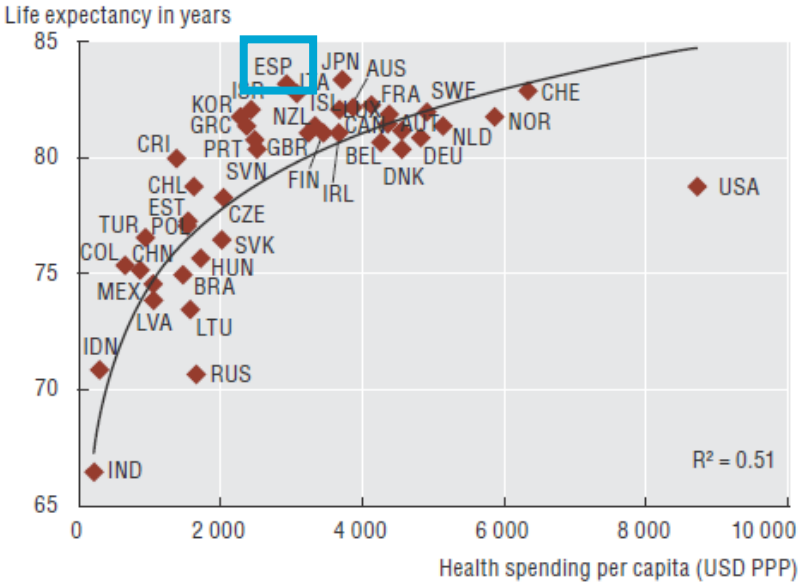
Fuente: OCDE, Health at a Glance Europe 2016

Esperanza de vida, PIB y gasto en sanidad

3.2. Life expectancy at birth and GDP per capita, 2013 (or latest year)



3.3. Life expectancy at birth and health spending per capita, 2013 (or latest year)



Fuente: OCDE, Health at a Glance 2015

Agenda para la financiación selectiva

1	Definir el **rol** de una agencia evaluadora en su vertiente **asesora y/o reguladora**
2	Incluir en el **objetivo** de la agencia no solo la evaluación de la efectividad sino también la **eficiencia**
3	Decidir si cubrir el **ámbito** de los nuevos medicamentos, o si incluye los ya comercializados y así hasta cualquier intervención sanitaria
4	Los **procedimientos de evaluación**: desde el grado de independencia de la agencia evaluadora y la transparencia de los informes hasta la posibilidad de que los afectados intervengan en el proceso
5	**Participación en el proceso** de todos los agentes involucrados (industria, profesionales clínicos, pacientes, etc.)
6	Definir y protocolizar **los métodos de evaluación incremental**
7	**Establecer los criterios de decisión y priorización** de los recursos (disposición máxima a pagar por AVAC indicativa pero flexible
8	La **implementación de las decisiones** mediante sistemas de incentivos en el pago a médicos y hospitales

Fuente: Jaume Puig-Junoy https://goo.gl/Ar5X6g

Principios de la Evaluación Ecónomica (EE)

- Se utiliza como instrumento en la toma de decisiones sobre inversiones públicas para las cuales:
  1. no existe un mercado, o
  2. en los mercados que por sus características requieren intervención del estado (regulación)
- Costes y beneficios **sociales**
- Objetivo final: maximizar el **bienestar social**

Parte 2

Evaluación económica de medicamentos e Impacto presupuestario

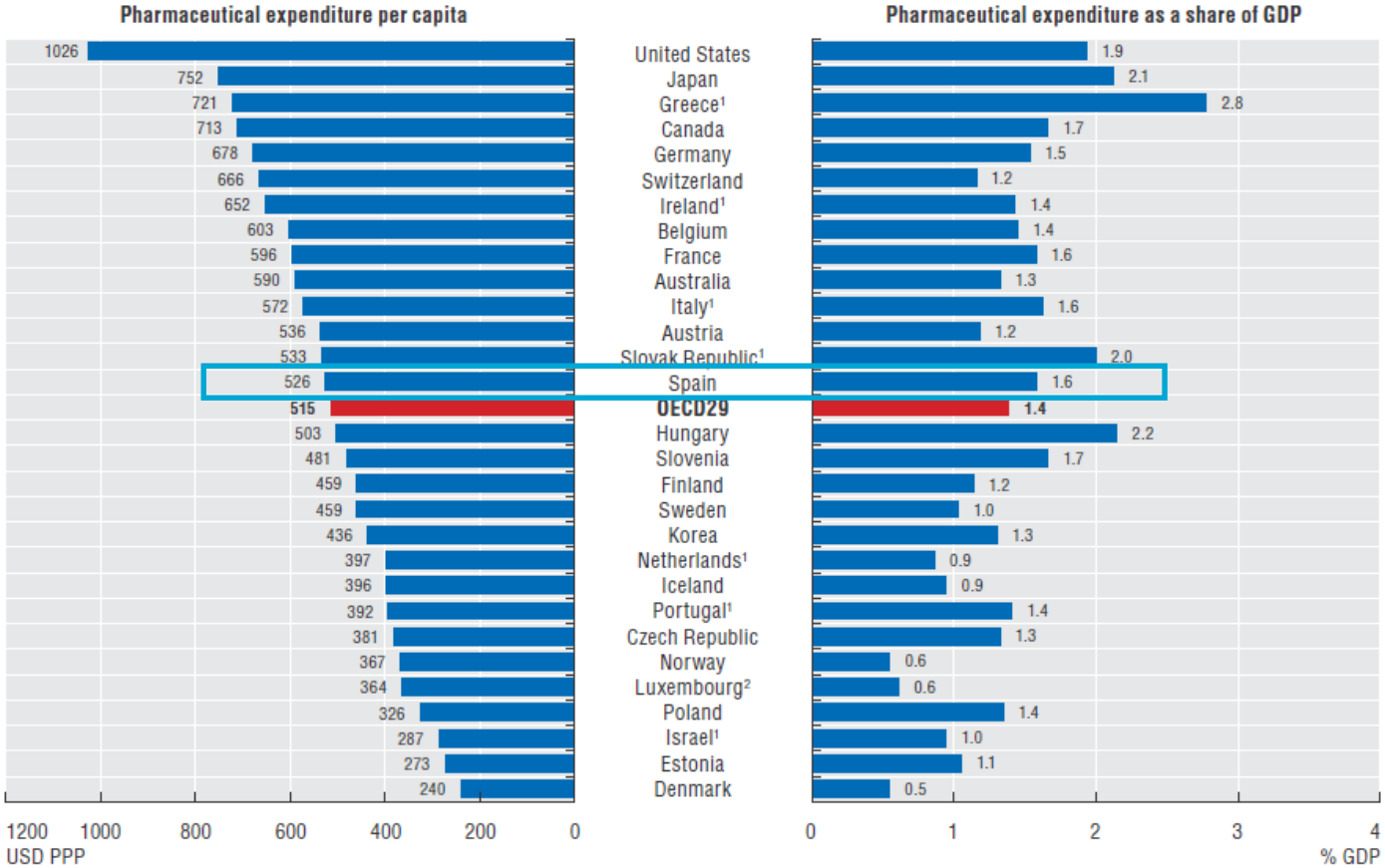
EURORDIS
RARE DISEASES EUROPE

Referencia bibliográfica

- Guía metodológica de evaluación económica aplicada a medicamentos huérfanos. Recomendaciones del grupo de expertos RADEEV. Instituto Max Weber.
- Se puede descargar: https://goo.gl/j86WB3

Gasto farmacéutico

Figure 2.1. **Expenditure on retail pharmaceuticals per capita and as a share of GDP, 2013 (or nearest year)**



1. Includes medical non-durables.
2. Excludes over-the-counter drugs (OTC).

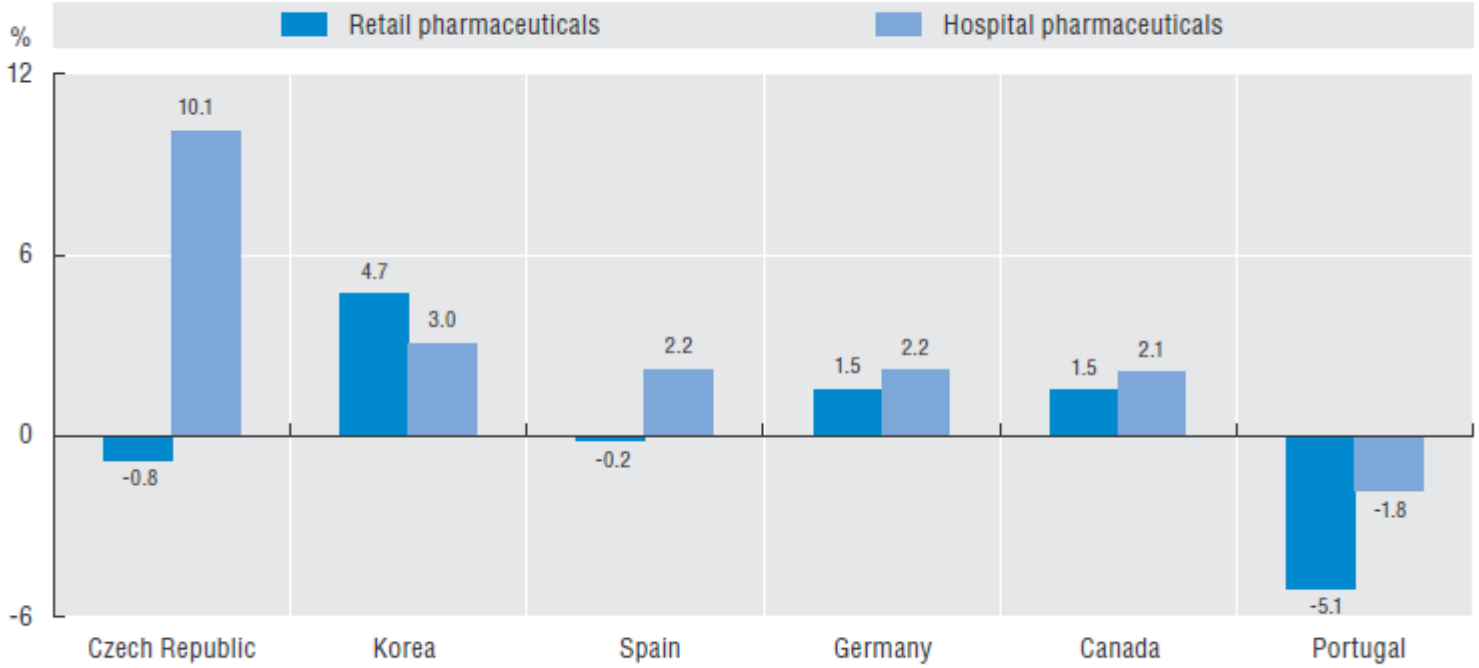
Fuente: OCDE, Health at a Glance 2015

EURORDIS.ORG

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Gasto farmacéutico

Figure 2.4. **Annual average growth in retail and hospital pharmaceutical expenditure, in real terms, 2005 and 2013 (or nearest year)**



Note: OECD estimates for Portugal exclude expenditure on other medical products from reported total and retail spending.

Fuente: OCDE, Health at a Glance 2015

EE en la HTA

HTA (*Health Technology Assessment*):

"A multidisciplinary field of policy analysis studying the:

medical,

economic,

***social**, and*

ethical

implications of the development, diffusion, and use of health technology."

Fuente: http://www.inahta.org/

Pasos en un HTA

1. Selección de temas para su valoración
2. Definir el problema de la decisión o la pregunta del estudio
3. Búsqueda de la evidencia
4. Revisión sistemática de la evidencia
5. Evaluación económica
6. Evaluar las **implicaciones sociales**, legales y **éticas**
7. Formulación de recomendaciones y aplicación de políticas
8. Seguimiento del impacto

EVALUACIÓN

VALORACIÓN

Fuente: University of Sheffield

EURORDIS.ORG

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

HTA y EE a nivel internacional

Statens legemiddelverk
Norwegian Medicines Agency

TLV
TANDVÅRDS- OCH
LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

CADTH

pCODR

Scottish Medicines Consortium

National Centre for Pharmacoeconomics
NCPE Ireland

NICE

eunethta
EUROPEAN NETWORK FOR HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

HAS
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

PBAC

Principales actores públicos en el acceso de medicamentos en España

AEMPS
- Regulación
- IPTs

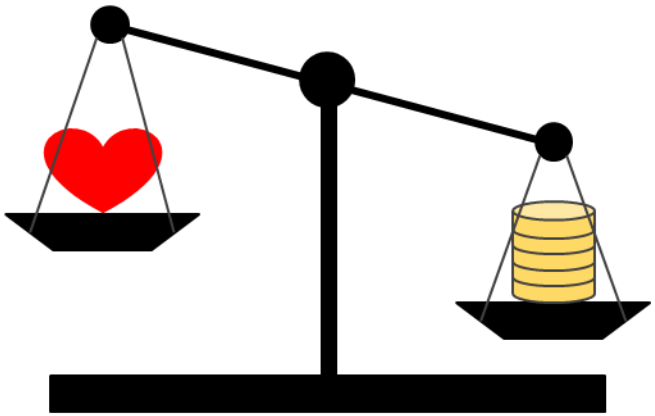
MSSSI
- Precio
- Condiciones de financiación

CCAAs
- Compra
- Gestión del gasto

EE en sanidad

Evaluación económica: cálculo de la **eficiencia** (relación entre resultado en salud y costes) de una intervención sanitaria

Comparación entre dos alternativas con el fin de seleccionar aquella con una relación más favorable



Preguntas que intentamos responder con una EE

1. ¿Qué me aporta de más el nuevo medicamento en términos de beneficio en salud?
   - Valoración de beneficio incremental: beneficio tratamiento A vs beneficio tratamiento B
2. **¿Cuál es el coste adicional de dicho incremento en el beneficio en salud?**
   - Valoración del coste incremental: coste tratamiento A vs coste tratamiento B

Beneficios

1. Variables clínicas:
   a. Finales: supervivencia, mortalidad, años de vida ganados (AVG), etc.
   b. Intermedias: supervivencia libre de progresión, carga viral sostenida, exacerbaciones evitadas, nivel de colesterol, etc.
2. **Variables reportadas por los pacientes (*Patient Reported Outcome Measures, PROs*):**

   Calidad de vida relacionada con la salud (CVRS), adherencia y persistencia, preferencias de los pacientes, satisfacción con el tratamiento.

Datos CVRS reportados por pacientes

Cuestionario genérico de estado de salud – EQ-5D-5L

Under each heading, please tick the ONE box that best describes your health TODAY.

MOBILITY

- I have no problems in walking about ❑
- I have slight problems in walking about ❑
- I have moderate problems in walking about ❑
- I have severe problems in walking about ❑
- I am unable to walk about ❑

SELF-CARE

- I have no problems washing or dressing myself ❑
- I have slight problems washing or dressing myself ❑
- I have moderate problems washing or dressing myself ❑
- I have severe problems washing or dressing myself ❑
- I am unable to wash or dress myself ❑

USUAL ACTIVITIES *(e.g. work, study, housework, family or leisure activities)*

- I have no problems doing my usual activities ❑
- I have slight problems doing my usual activities ❑
- I have moderate problems doing my usual activities ❑
- I have severe problems doing my usual activities ❑
- I am unable to do my usual activities ❑

PAIN / DISCOMFORT

- I have no pain or discomfort ❑
- I have slight pain or discomfort ❑
- I have moderate pain or discomfort ❑
- I have severe pain or discomfort ❑
- I have extreme pain or discomfort ❑

ANXIETY / DEPRESSION

- I am not anxious or depressed ❑
- I am slightly anxious or depressed ❑
- I am moderately anxious or depressed ❑
- I am severely anxious or depressed ❑
- I am extremely anxious or depressed ❑

Sample

Fuente: https://euroqol.org/

Utilidades

- Escala numérica que mide la calidad de vida de los pacientes: las preferencias relativas por un estado de salud según la expectativa de vida, morbilidad o toxicidad asociada con la enfermedad o con el tratamiento.
- A cada estado de salud habrá que asignarle un valor de utilidad determinado.
- El estado de salud perfecto tiene una utilidad de 1, la muerte de 0 y hay estados de salud que se consideran peor que la muerte (valores negativos hasta -1).

Calidad de vida de los pacientes

PATOLOGÍA 1	PATOLOGÍA 2	PATOLOGÍA 3
Reducción capacidad actividades físicas	Calidad gravemente afectada por la enfermedad y efectos adversos de los tratamientos	Reducción capacidad actividades físicas
+ Reducción movilidad y actividades cotidianas		+ Reducción movilidad y actividades cotidianas
+ Ansiedad y estrés (por el pobre pronóstico)		+ Atención domiciliaria
		+ Ansiedad y estrés

Fuente: Taller 5 Acceso a medicamentos: Selección y priorización

Año de Vida Ajustado por Calidad (AVAC)

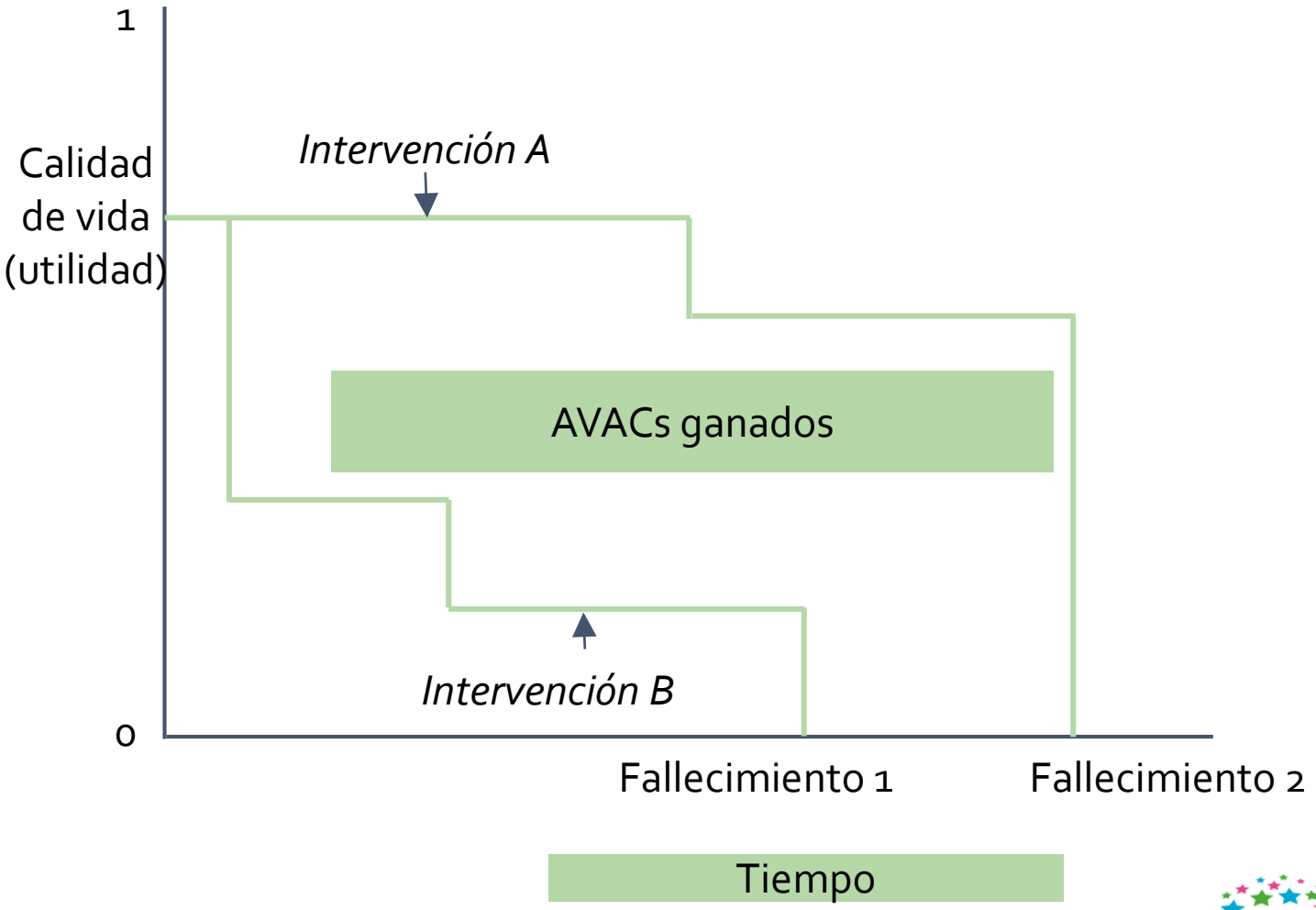
- Medida que ajusta los años de vida ganados (AVG) por la calidad de vida experimentada en dichos años (utilidad). Recoge los *trade-offs* entre calidad y cantidad.
- Es la representación numérica del valor de la salud en un único índice que combina cantidad y calidad de vida.

AVAC = AVG*calidad de vida (utilidad)

- Permite comparar resultados en salud en diferentes intervenciones y patologías.

EURORDIS.ORG
EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Ilustración gráfica AVAC



EURORDIS.ORG
EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Ejemplo numérico AVAC

- Intervención A:
- AVG totales = 19
- 12 años con calidad de vida de 0,8 + 7 años con calidad de vida de 0,7= 14,5 AVACs
- Intervención B:
- AVG totales = 16
- 1 año con una calidad calidad 0,8 + 5 años con calidad 0,5 + 10 años con calidad 0,25 = 5,8 AVACs
- Area bajo la curva = 14,5 – 5,8 = 8,7 AVACs
- La intervención A proporciona 8,7 AVACs de más respecto a la intervención B.

Tipos de EE dependiendo de la medida de los beneficios

Tipo de estudio	Medición/valoración de los costes en ambas alternativas	Identificación de las consecuencias	Medición/valoración de las consecuencias
Análisis de costes	Unidades monetarias	Ninguna	Ninguna
Análisis coste-efectividad	Unidades monetarias	El mismo efecto en ambas alternativas, pero logrado en grados distintos	Unidades naturales/ clínicas, (ej.: años de vida ganados, mm de presión arterial reducidos…)
Análisis coste-utilidad	Unidades monetarias	Efecto único o efectos múltiples, no necesariamente los mismos en ambas alternativas	Unidades de utilidad: Años de vida ajustados por calidad, AVAC
Análisis coste-beneficio	Unidades monetarias	Efecto único o efectos múltiples, no necesariamente comunes a ambas alternativas	Unidades monetarias

Costes y uso de recursos

COSTES DIRECTOS

Recursos directamente resultantes del tratamiento

COSTES SANITARIOS

Hospitalizaciones, pruebas médicas, medicamentos, visitas sanitarias, etc.

COSTES NO SANITARIOS

Desplazamientos, cuidados personales (formales e informales), servicios sociosanitarios.

PÉRDIDAS LABORALES

En las que incurre el paciente/la sociedad como resultado de la enfermedad, por mortaliadad prematura y morbilidad

Perspectiva del SNS

Perspectiva del paciente

Perspectiva del financiador público

Perspectiva de la sociedad

Fuente: https://goo.gl/j86WB3

EURORDIS.ORG

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Impacto social y económico

PATOLOGÍA 1	PATOLOGÍA 2	PATOLOGÍA 3
Coste anual paciente SNS: 15.000 – 65.000 €	Previo al diagnóstico: visitas a urgencias y hospitalizaciones	Coste anual medio por paciente SNS: 29.450€
Inicio: tratamiento + visitas médicas	Después diagnóstico: visitas a urgencias, hospitalizaciones y tratamiento (cirugía, fármacos, etc.)	Coste total de la población afectada: 2.861 – 3.937 millones de €
Avance: urgencias + hospitalizaciones	Cuidados informales (gran carga para la familia)	Cuidados informales
Cuidados (in)formales		Costes indirectos de pérdidas prematuras productividad
Pérdida capacidad laboral		

EURORDIS.ORG
EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Modelos analíticos de decisión: combinar Cs y Bs

VENTAJAS	INCOVENIENTES
Requieren de menos recursos y por tanto son más baratos que los ensayos clínicos.	Son una simplificación de la realidad, que es más compleja.
Los resultados se obtienen con mayor rapidez que los estudios clínicos.	Precisan de supuestos.

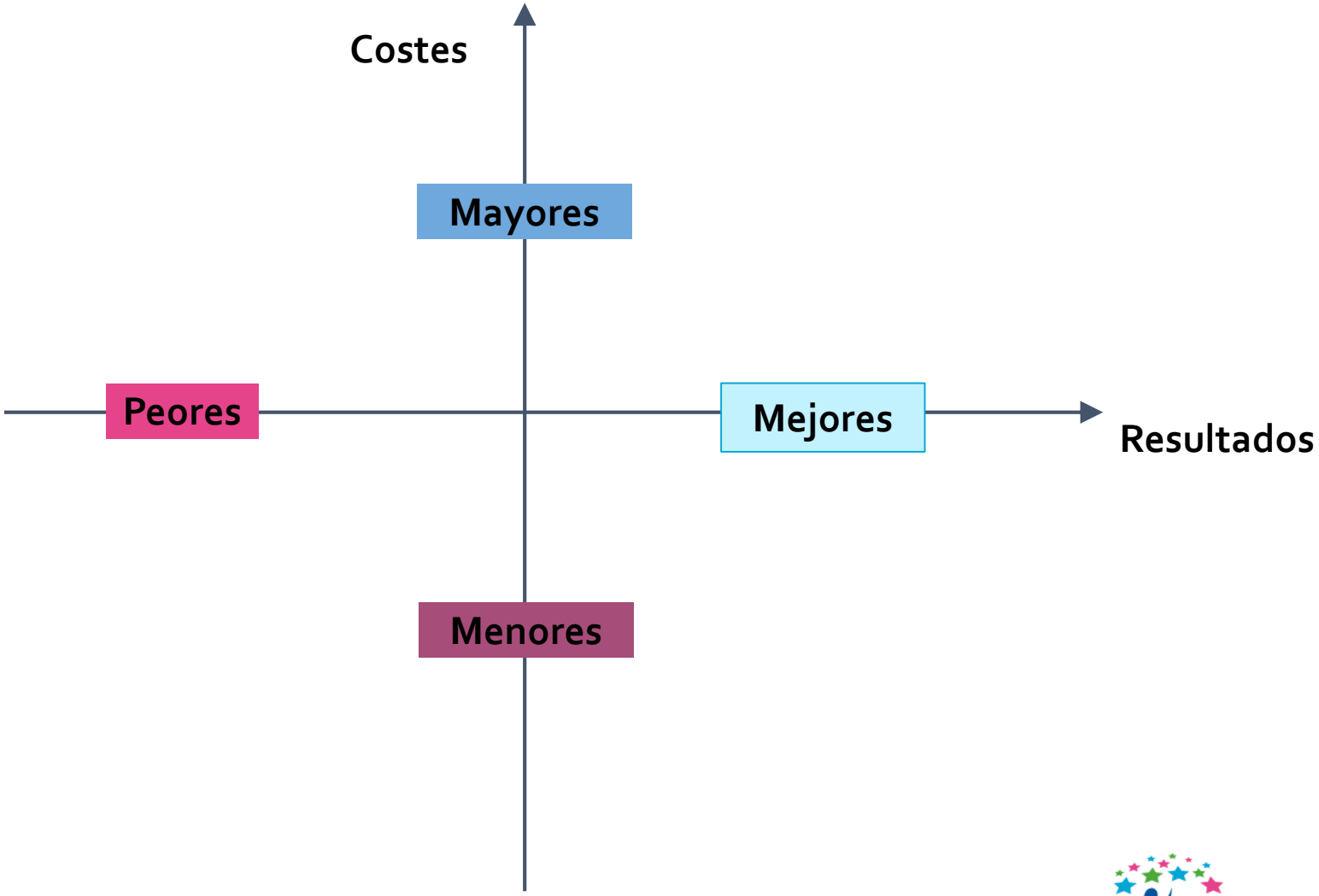
Ratio coste-efectividad incremental

PATOLOGÍA 1	PATOLOGÍA 2	PATOLOGÍA 3
RCEI (RCUI) de 66.000€ por AVAC	RCEI (RCUI) de 52.000€ por AVAC	RCEI (RCUI): su calculo no procede dado que eficacia es similar con las alternativas (minimización de costes)
Eficacia frente placebo se transforma en utilidades para calcular los AVAC ganados	Eficacia (SG) frente quimioterapia actual en 2ª línea se transforma en utilidades para calcular AVACs.	Coste farmacológico adicional del nuevo tratamiento de 300€ por paciente
Costes sanitarios directos: incluyen coste nuevo tratamiento farmacológico de 35.000 €	Costes sanitarios directos: incluyen coste tratamiento actual de 25.000€ y el del nuevo de 37.000€	

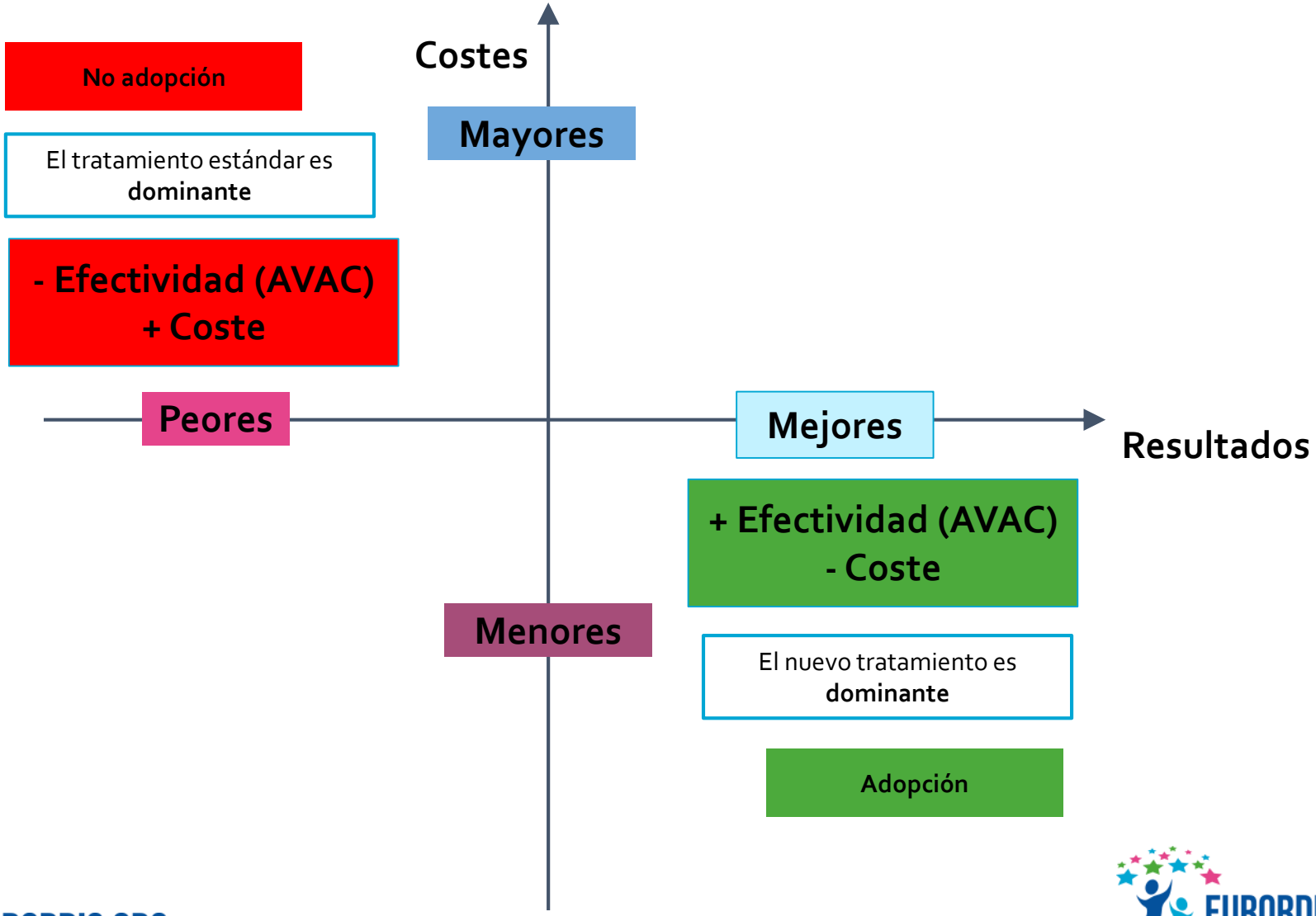
Fuente: Taller 5 Acceso a medicamentos: Selección y priorización

EURORDIS.ORG
EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Plano CE o CU

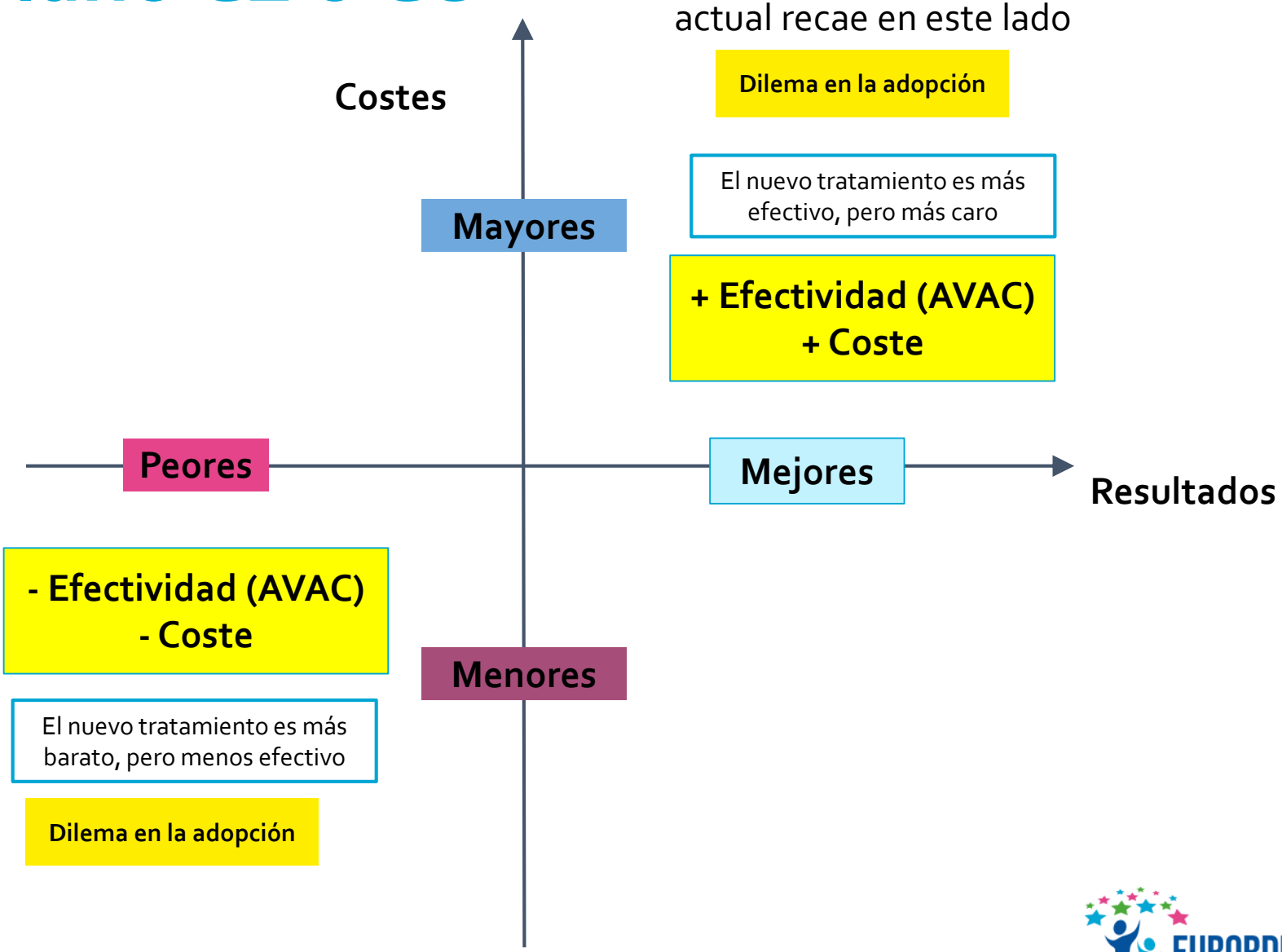


Plano CE o CU


Costes
Mayores
Menores
Resultados
Peores
Mejores
No adopción
El tratamiento estándar es **dominante**
- Efectividad (AVAC)
+ Coste
+ Efectividad (AVAC)
- Coste
El nuevo tratamiento es **dominante**
Adopción

Plano CE o CU

Gran parte de la innovación actual recae en este lado



Ejemplo dilema adopción

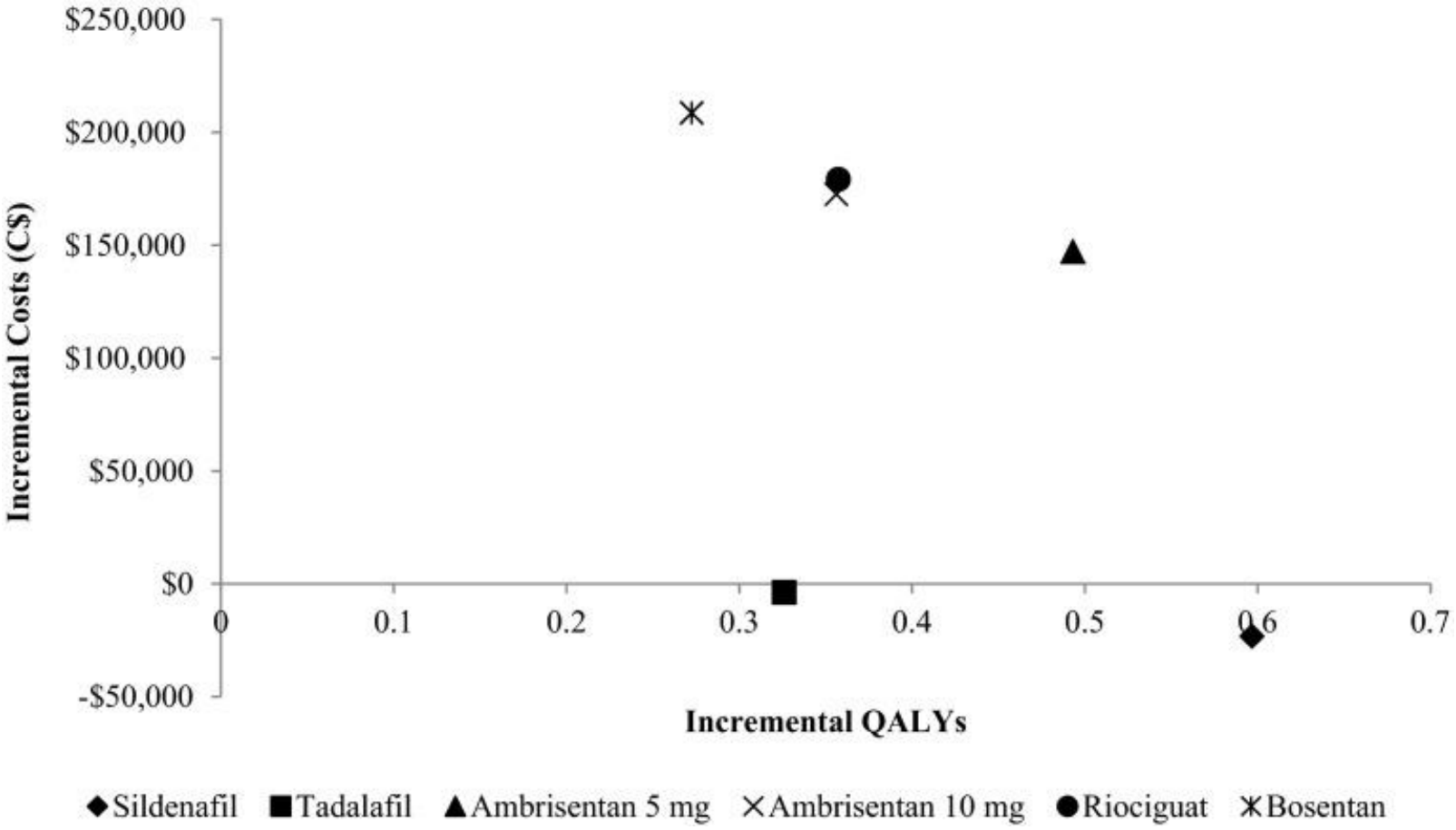


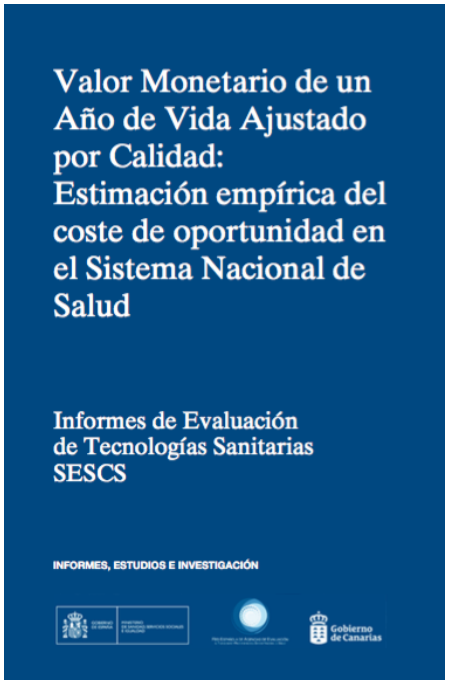
Gráfico Markov:https://goo.gl/1RV7ni

Reglas de decisión

- Umbral de eficiencia o de coste-utilidad/ efectividad:
  - Disposición máxima a pagar por un AVAC o beneficio en términos de efectividad
- Países como Inglaterra lo hacen explícito:
  - ✓ £20.000 -£ 30.000 para mayoría patologías
  - ✓ £50.000 muy empleado en cáncer
  - ✓ **£300.000 para enfermedades raras**

Reglas de decisión

- Estudio en España (2015) estima entre 20.000 € y 25.000 €
- No se utiliza oficialmente por la Administración.
- Históricamente: conversión del umbral inglés de 30.000€

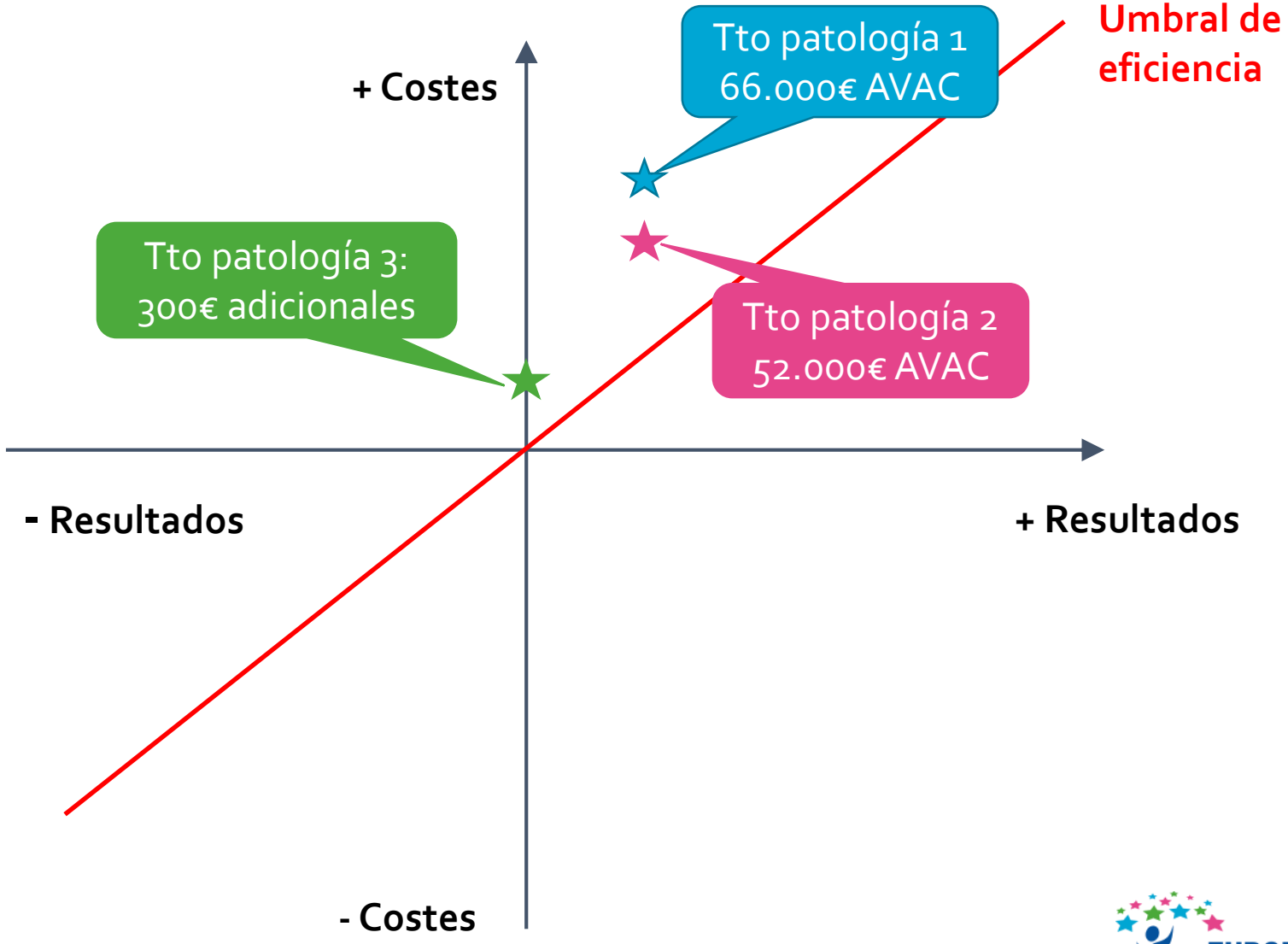


Enlace http://goo.gl/e46fAO

EURORDIS.ORG

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

Ejemplo plano en los 3 casos



Ranking si maximizamos salud de la población (con presupuesto fijo)

1	RCEI (RCUI) de 52.000€ por AVAC	PATOLOGÍA 2
2	RCEI (RCUI) de 66.000€ por AVAC	PATOLOGÍA 1

Fuente: Taller 5 Acceso a medicamentos: Selección y priorización

Otros factores a tener en cuenta

PATOLOGÍA 1	PATOLOGÍA 2	PATOLOGÍA 3
Población adulta, entre 30 y 50 años	Población infantil (<8 años)	Población adulta (alrededor de 40 años) y fumadora en su mayoría
Pronóstico pobre: 6-8 años de EV	Mal pronóstico: máximo un año de vida	Pronóstico no muy malo: unos 13 años de EV
Enfermedad rara	Enfermedad rara	Alta prevalencia: 9,1% de adultos mayores de 40 años

Fuente: Taller 5 Acceso a medicamentos: Selección y priorización

Limitaciones de la EE en enfermedades raras

- Falta de datos y de comparadores activos dificultan el ejercicio numérico y añaden incertidumbre a los resultados y su extrapolación.
- RCEI elevados por:
  - carga de la enfermedad, y
  - elevado precio de los nuevos tratamientos farmacológicos
- Consideraciones éticas y humanísticas más importantes que las económicas (e incluso de las clínicas).

Recomendaciones EE en enfermedades raras

- **Perspectiva social** por la elevada carga de la enfermedad (cuidados formales/informales, pérdidas de productividad, etc.) -> Importante porque la población es muy joven
- Tener en cuenta la **calidad de vida** de los pacientes, AVACs.
- Mayor **flexibilidad** en los datos y supuestos del análisis.
- Comparador "**no intervención" es aceptable**.
- Permitir **RCEI más elevados** y umbral más flexible.

Análisis de Impacto Presupuestario (AIP)

- Análisis **poblacional**, no a nivel de paciente.
- **Financiero**, no tiene en cuenta los efectos/beneficios en salud.
- Tiene en cuenta el **presupuesto del financiador** (sobretodo farmacia)
- Instrumento adicional para la toma de decisiones.

AIP vs EE

	AIP	ACE
Objetivo del análisis	Viabilidad/Sostenibilidad	Eficiencia
Perspectiva	Comprador de servicios Sociedad	Sociedad
Costes	Implicados en el presupuesto del comprador	Todos los costes (costes de oportunidad)
Horizonte temporal	Corto plazo (anual)	Largo plazo (duración de la enfermedad)
Necesidad de recursos adicionales	No hay recursos adicionales. El nuevo "programa" es financiado reduciendo programas menos eficientes o aportando presupuesto adicional	No tiene en cuenta que la financiación que requiere un nuevo "programa" debe proceder de otros capítulos
Utilidad	Planificación presupuestaria	Evaluación

Fuente: Casado y Brosa. Pharma-Market Número 2, Mayo 2006

Elementos de un AIP

ESCENARIO ACTUAL	ESCENARIO NUEVO
N total de pacientes candidatos	N total de pacientes candidatos
Coste y uso tratamientos existentes	Coste y uso tratamientos existentes
Otros costes de la patología	Costes y uso tratamiento nuevo (efecto sustitución)
	Otros costes de la patología

Impacto presupuestario patología 2

ESCENARIO ACTUAL

Prevalencia: 0,3 casos por cada 100.000 habitantes = 139 casos

Coste alternativa farmacológica actual: 25.000€

Coste total pacientes: 139* 25.000€= 3.475.000€

ESCENARIO NUEVO

Prevalencia: igual = 139

Coste alternativa farmacológica actual: no se modifica

Coste nuevo fármaco 37.000€

Efecto sustitución: 50%, 69,5 pacientes

69,5 pacientes a un coste adicional de 12.000 € = 834.000 € de gasto adicional total (IMPACTO PRESPUESTARIO POSITIVO). En el nuevo escenario el gasto total se eleva a 4.309.000,00 €

Impacto presupuestario

PATOLOGÍA 1	PATOLOGÍA 2	PATOLOGÍA 3
IP máximo para el SNS = 32.506.895€ (tratar 100% pacientes candidatos, 929)	IP máximo para el SNS = 834.000€ (tratar 50% pacientes candidatos, 69,5)	IP máximo para el SNS = 115.500.000€ (tratar 50% pacientes diagnosticados, que a su vez son 35% de los pacientes candidatos con la p patología)

Gracias por vuestra atención

Ruth Puig-Peiró

Technical adviser

Ruth.puig@catsalut.cat

EURORDIS.ORG