

GESTIÓ DE L'ACCÉS ALS MEDICAMENTS

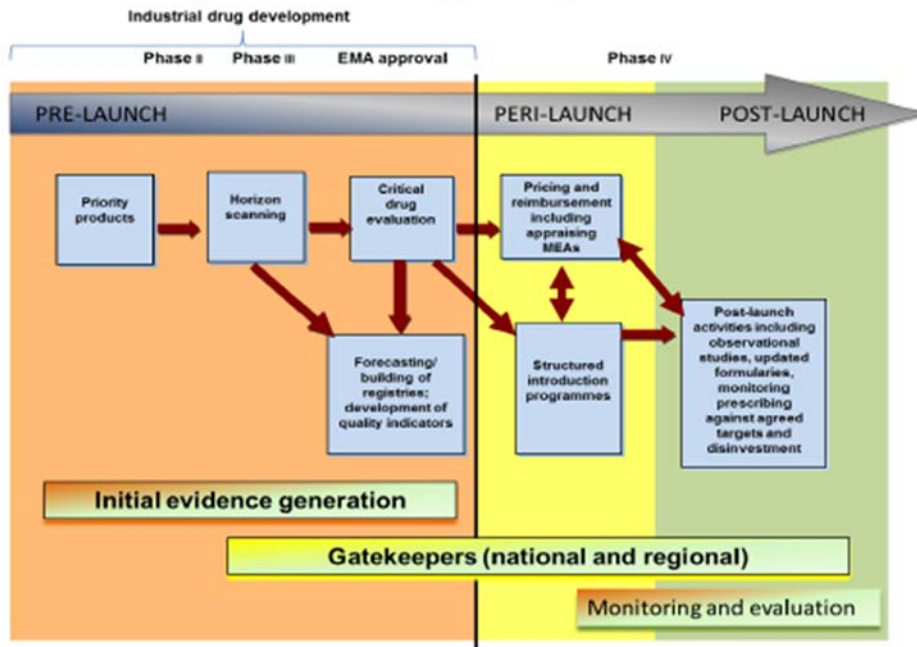
Dr. Joaquim Delgadillo

Gerent de Prestacions Farmacèutiques i Accés al Medicament

14 de novembre de 2017

Cicle de vida d'un medicament

Fig. 1. Activities to manage the entry of new medicines

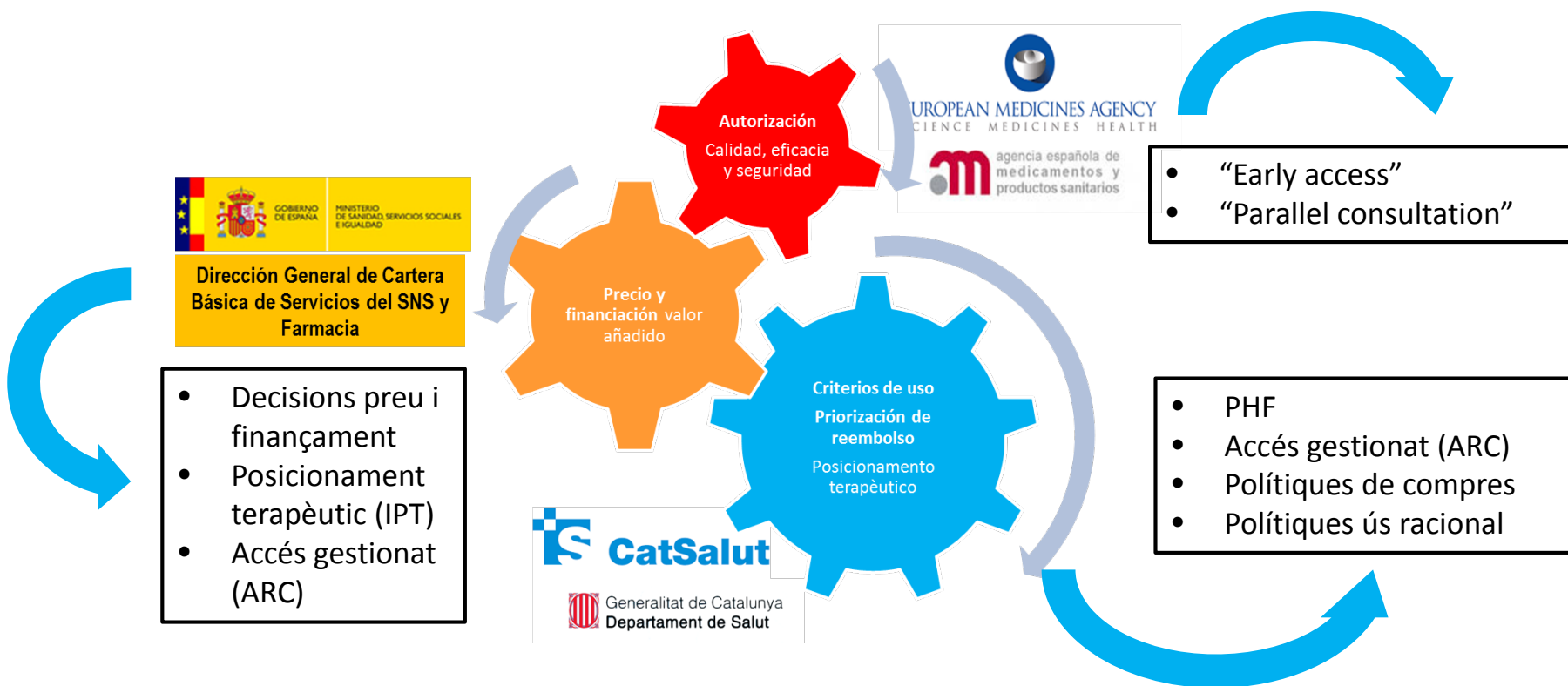


WHO Regional Office for Europe. Access to new medicines in Europe: technical review of policy initiatives and opportunities for collaboration and research. March 2015

Intervencions accés

- 1. Autorització de comercialització:**
 - Avaluació del benefici/risc
 - Condicions d'ús autoritzades - fitxa tècnica
- 2. Decisions de preu i condicions de finançament:**
 - Avaluació cost - efectivitat
 - Impacte pressupostari
 - Valor terapèutic
 - Condicions d'ús finançades
- 3. Polítiques d'ús racional del medicament:**
 - GPC, pautes d'harmonització, GFT
 - Seguiment resultats, indicadors de qualitat de la prescripció
 - Condicions d'ús racional

Qui decideix quins medicaments es comercialitzen a Catalunya, a quin preu i com es financen?



1. Autorització de comercialització

“Early access”

- Eines regulatòries EMA per facilitar l'accés precoç a nous medicaments que cobreixen necessitats mèdiques no cobertes i malalties greus
- **ACCELERATED ASSESSMENT:**
 - Reducció del temps d'avaluació ≤ 150 dies (vs. 210)
- **CONDITIONAL MARKETING AUTHORISATION**
 - Compromís generació dades post-autorització període temps acordat
- **ÚS COMPASSIU (Opinió CHMP)**
 - Harmonització condicions ús medicaments en investigació per pacients que no poden participar en assaigs clínics

“Early access” – riscos?

Accés precoç/ràpid a nous medicaments amb evidència marginal
i/o limitada beneficis rellevants en supervivència/QoL



Cost del tractaments molt elevats



Sistemes regulatoris poden posar a risc la sostenibilitat dels SNS

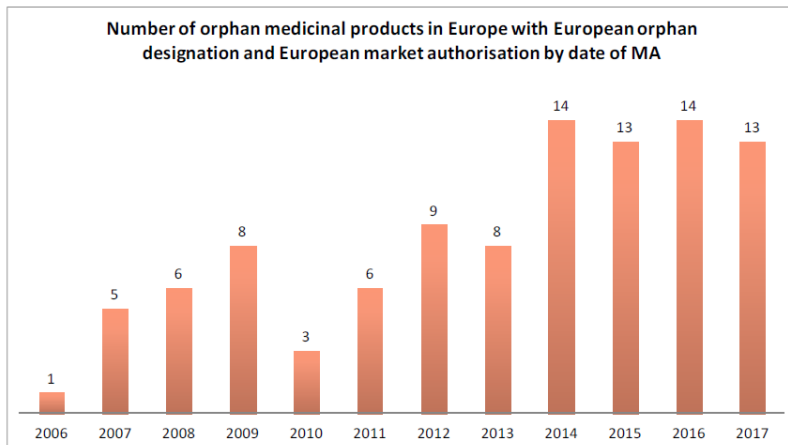
“Early access”

Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13

Courtney Davis,¹ Huseyin Naci,² Evrim Gurpinar,² Elita Poplavska,³ Ashlyn Pinto,² Ajay Aggarwal^{4,5}

Cite this as: *BMJ* 2017;359:j4530
<http://dx.doi.org/10.1136/bmj.j4530>

Accepted: 28 September 2017



Orphanet Report Series - Lists of medicinal products for rare diseases in Europe. October 2017 http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf

Conclusions

This systematic evaluation of oncology approvals by the EMA in 2009-13 shows that most drugs entered the market without evidence of benefit on survival or quality of life. At a minimum of 3.3 years after market entry, there was still no conclusive evidence that these drugs either extended or improved life for most cancer indications. When there were survival gains over existing treatment options or placebo, they were often marginal.

Table 14. Eight orphan drugs with average annual costs of US\$ 295 000 or more

Orphan drug	Indication	Average annual cost per patient (US\$)
Teduglutide (Gattex)	Short bowel syndrome	295 000
Imiglucerase (Cerezyme)	Type 1 Gaucher disease	300 000
Ivacaftor (Kalydeco)	Cystic fibrosis	325 000
Galsulfase (Naglazyme)	Mucopolysaccharidosis VI	441 000
Idursulfase (Elaprase)	Mucopolysaccharidosis I and II	475 000
Eculizumab (Soliris)	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria	486 000
C1 esterase inhibitor (Cinryse)	Hereditary angioedema prophylaxis	487 000
Alglucosidase alfa (Myozyme)	Pompe disease	575 000

Source: Cohen & Felix (3).

“Parallel Scientific Advice” → “Parallel Consultation”

- PSA 2010: Projecte pilot d’assessoria científica en paral·lel EMA i agències avaluació tecnologies sanitàries (HTA) per a generar dades d’evidència adequades pels dos agents per a determinar el balanç benefici-risc (EMA) i el valor dels nous medicaments (HTA)
- PC 2017: Substitueix el procediment previ, millor interacció i major coordinació EMA - HTA (coordinació EUnetHTA), millores logístiques i procedimentals pels sol·licitants.



2. Preu i finançament

Legislació preu i finançament

- Ley 10/2013:
 - IPT's com a eina d'avaluació de l'efectivitat i benefici clínic com a base de decisió preu i finançament
- RDL 1/2015:
 - Finançament de medicaments sota criteris de cost-efectivitat
- Nou RDL de preus i finançament 2017?
 - Models de finançament lligats a resultats i models financers (ARC)

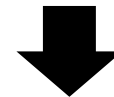
CIPM - Aspectes econòmics en les decisions de preu i finançament

Relacionats amb preu

- Càlcul cost-efectivitat incremental
- Expectatives de vendes del laboratori
- Contribució al PIB (només per criteri finançament) i balança comercial
- Valoració del grau d'innovació
- Preu i condicions de finançament a altres EEMM
- Informació sobre activitats I+D+i

Relacionats finançament

- Preu - volum
- Sostre de despesa
- Descomptes
- Sostre de despesa individual ("capping")
- Cost 0 (inici tractament)



Risc compartit

Acords de Risc Compartit – una varietat de noms...

- Managed Entry Agreements (MEA)
- Outcomes Based Schemes
- Risk-Sharing Agreements
- Coverage with Evidence Development (CED)
- Access with Evidence Development
- Patient Access Schemes (PAS)
- Pay-for-Performance (P4P)

... per un concepte "clàssic"

All Headaches Instantly Cured
or Money Refunded.

LEGAL GUARANTEE.

6 D. EMERSON'S BROMO-SELTZER, the most successful American Remedy, is an effervescent Powder, taken in water. If three doses do not Cure any Headache, no matter how caused, send the Bottle to us, saying where obtained, **AND WE WILL AT ONCE REFUND THE PRICE.** TRIAL BOTTLE, post free, 6d. Larger Sizes 1s. and 2s. Sold by many Chemists or obtained to order by almost all.

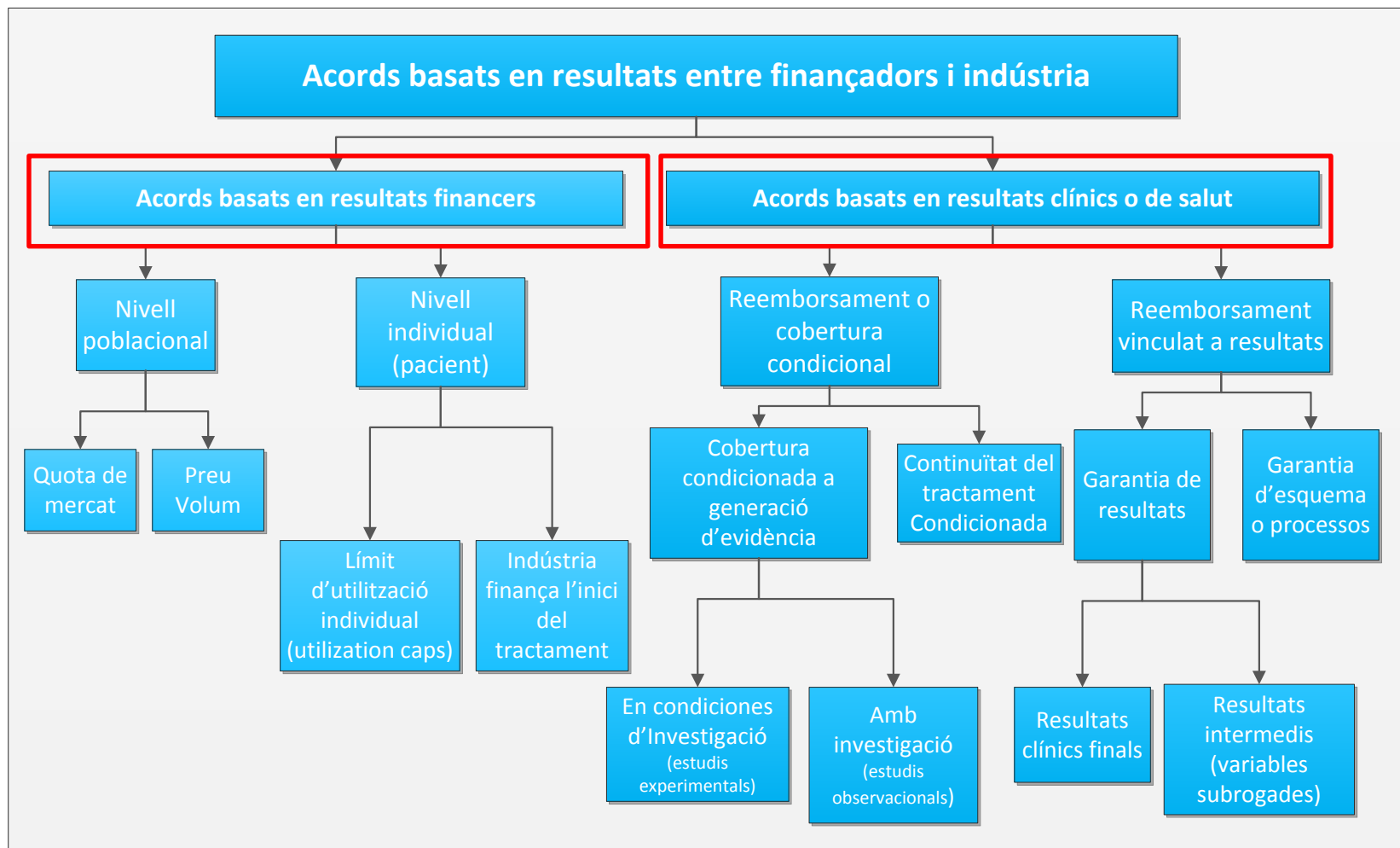
EMERSON DRUG CO., LTD.,
46, HOLBORN VIADUCT, LONDON, E.C.

Insist on Full Name—

EMERSON'S BROMO-SELTZER

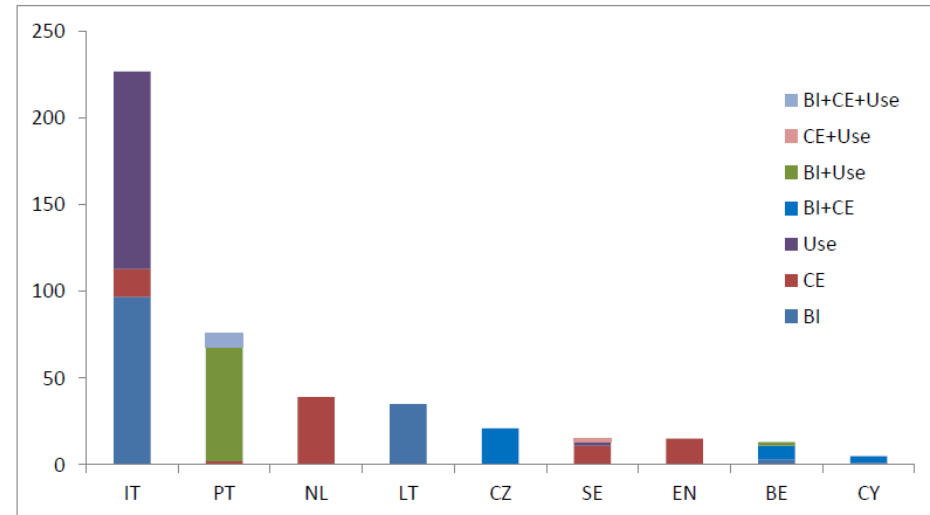
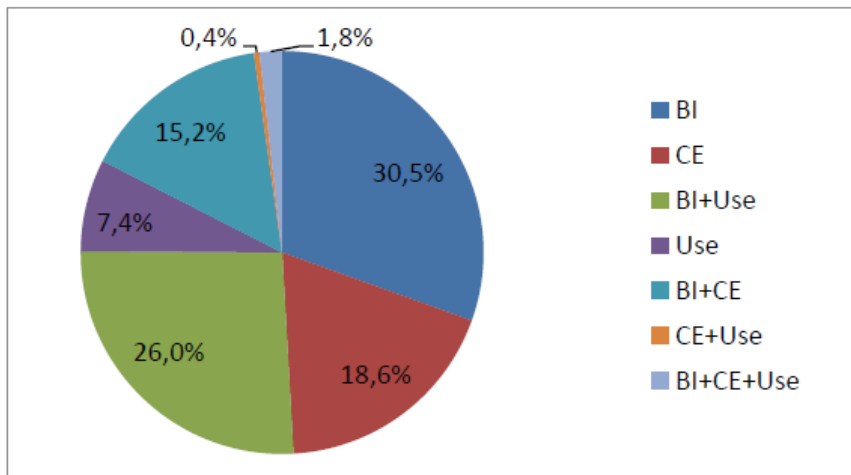


Terminologia ARC



Els ARC com a eina per a gestionar l'accés a la innovació

Figure 6.3: Objectives Member States are trying to achieve through MEAs overall and at country level



Grups terapèutics (ATC)

- L agentes antineoplásicos e inmunomoduladores: 37,3%
- A tracto alimentario y metabolismo: 14,7%
- N sistema nervioso: 10%.

Impacte dels ARC per a gestionar l'accés a la innovació

- Malgrat l'elevat nombre d'acords de risc compartit implementats, hi ha molt poca evidència del seu impacte en aconseguir els seus objectius^{1,2}
- 29 ARC a Itàlia implementats fins octubre 2012 (11 financers, 18 basats en resultats): retorns de 31.3 M € (5% total de la despesa)³
- 79 ARC a Itàlia implementats fins els 2015 (27 financers i 52 basats en resultats): sense dades rellevants de l'impacte en salut després de 10 anys d'experiència⁴
- Catalunya: 1er EPR (gefitinib – càncer de pulmó): retorns de 36.000 € (4.15% total de despesa)⁵

1. Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: the European experience. EMINet, Brussels, Belgium. 2013.

2. Gerkens S et al. How to improve the Belgian process for Managed Entry Agreements? An analysis of the Belgian and international experience. Health Services Research (HSR) Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE). 2017. KCE Reports 288

3. Garattini L, Curto A, van de Vooren K. Italian risk-sharing agreements on drugs: are they worthwhile? European Journal of Health Economics. 2015;16(1):1-3.

4. Garattini L, Curto A. Performance-Based Agreements in Italy: 'Trendy Outcomes' or Mere Illusions? Pharmacoeconomics. 2016;34(10):967-9.

5. Clopés a et al. Financial consequences of payment-by-results scheme in Catalonia: gefitinib in advanced EGFR-mutation positive non-small-cell lung cancer. J Med Econ 2016.

3. Accés a la innovació - CatSalut

Pla de Salut 2016 -2020

Línia 5: Política Farmacèutica i del medicament Projecte 5.1. Accés a la innovació farmacològica

Accés a la innovació farmacològica

A través del Programa d'Harmonització Farmacoterapèutica del CatSalut es garanteix la **utilització equitativa i eficient dels nous medicaments, la qualitat i seguretat en la prescripció i l'optimització de recursos.**

Principals objectius

- Garantir l'**equitat en l'accés** als tractaments a tot Catalunya
- **Dictàmens comuns** per a tot Catalunya
- **Mateixos criteris d'ús** per un mateix medicament per a tots els pacients

Programa d'harmonització farmacoterapèutica

El Programa d'harmonització farmacoterapèutica (PHF) garanteix l'equitat en l'accés als medicaments hospitalaris i medicaments en recepta en l'àmbit del SISCAT, la millora en els nivells d'eficiència i efectivitat i en el nivell d'utilitat terapèutica, d'acord amb els principis d'ús racional, tenint en compte el marc de disponibilitat i la necessària optimització dels recursos.

El Programa és d'aplicació als medicaments hospitalaris dispensats per serveis de farmàcia hospitalaris i medicaments en recepta mèdica dispensats en les oficines de farmàcia.

Contacte: Medicaments hospitalaris: harmonitzacioMHDA@catsalut.cat; Medicaments en recepta: harmonitzacioAPC@catsalut.cat

Marc organitzatiu i funcional <ul style="list-style-type: none">• Comissió Farmacoterapèutica per al SISCAT (CFT-SISCAT)• Consell Assessor de la Medicació hospitalària (CAMH)• Consell Assessor de la Medicació de l'Atenció Primària i Comunitària i Atenció Especialitzada (CAMAPCE)	Informes d'avaluació i acords dels medicaments harmonitzats	Pautes d'harmonització farmacoterapèutica
Programació de fàrmacs per avaluar	Participants en el Programa harmonització	Normativa i altres documents

Organització PHF



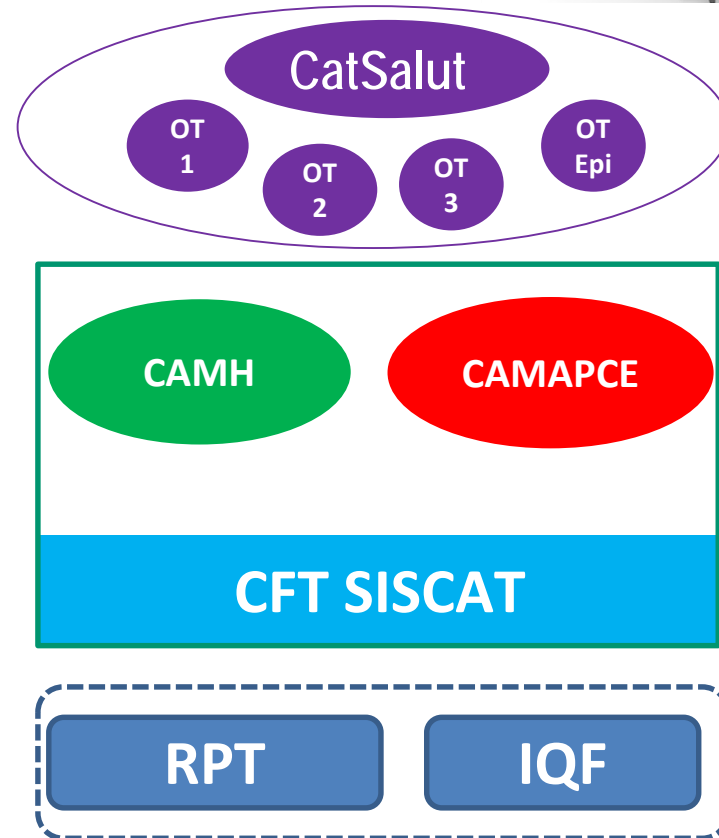
Consells assessors (CA)

- **Medicació hospitalària (CAMH)**
- **Medicació d'atenció primària, comunitària i especialitzada (CAMAPCE)**

Comissió Farmacoterapèutica (CFT)

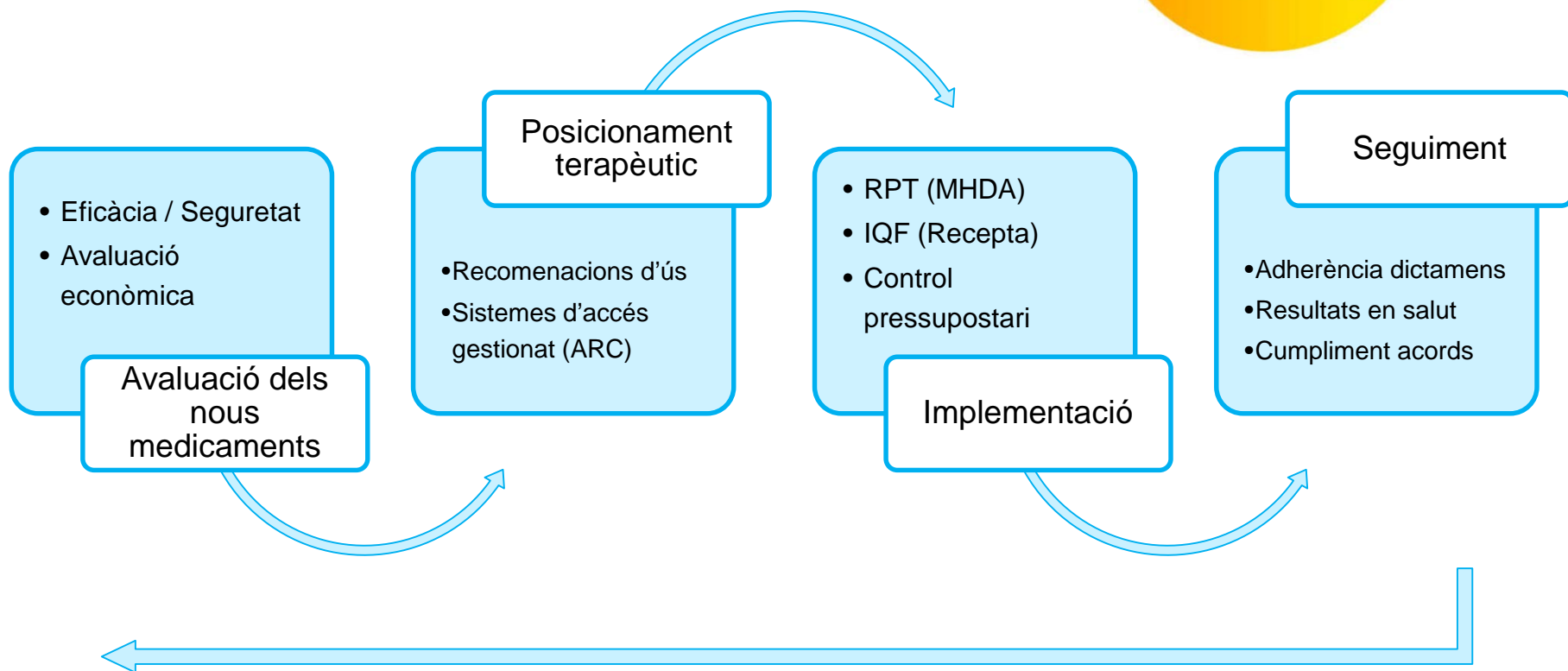
- **CFT del SISCAT**

Avaluació de compliment i resultats en salut



Sistemes d'accés gestionat i compra coordinada

Metodologia del PHF



Posicionament terapèutic

INFORME
D'AVALUACIÓ
COMPARADA
I DICTAMEN
PHFAPC*

N. 7/2017

Atozet®/Orvatez®

Ezetimiba/atorvastatina

Indicacions avaluades:

- Tractament complementari a la dieta en pacients amb hipercolesterolèmia primària (familiar heterozigòtica i no familiar) o hiperlipidèmia mixta quan l'ús d'una combinació es considera adequat: pacients no controlats adequadament amb una estatina sola o pacients ja tractats amb una estatina i ezetimiba en comprimits separats.
- Tractament complementari a la dieta en pacients amb hipercolesterolèmia familiar homozigòtica.
- Per reduir el risc d'esdeveniments cardiovasculars en pacients amb cardiopatia coronària i antecedents de síndrome coronària aguda, tractats o no prèviament amb una estatina.

CONCLUSIÓ I DICTAMEN

La combinació d'ezetimiba i atorvastatina a dosis fixes no disposa de dades de reducció de la morbiditat i mortalitat cardiovascular. Atès que aquest és l'objectiu del tractament de les dislipèmies, es recomana utilitzar els hipolipemians d'eficàcia clínica establerta.

La presentació d'ezetimiba/atorvastatina 80 mg es considera una alternativa adequada per a:

- Pacients tractats amb els dos fàrmacs per separat per simplificar el tractament, ja que a més la combinació té un cost menor.
- Pacients amb nivells elevats de cLDL, tot i estar rebent tractament amb atorvastatina 80 mg.

Les altres dues presentacions no es consideren d'elecció, atès que es recomana prioritzar l'estratègia d'augmentar la dosi de l'estatina.

DICTAMEN

A	El seu ús és adequat en atenció primària i comunitària.
B	El seu ús és adequat en situacions concretes.
C	Existeixen alternatives terapèutiques més adequades.
D	Alternativa terapèutica amb informació comparativa no conclouent.

La Comissió Farmacoterapèutica de la Medicació Hospitalària de Dispensació Ambulatoria recomana en l'àmbit del CatSalut uns **criteris clínics d'ús** per a evolocumab, com a complement d'un estil de vida saludable (dieta, control de pes, exercici físic adequat i abandonament d'hàbits tòxics), prioritzant als següents pacients:

- pacients amb hipercolesterolèmia familiar homozigòtica (HFHo), o
- pacients adults amb hipercolesterolèmia primària (familiar heterozigòtica [HFHe], o no familiar) o dislipidèmia mixta.
 - En els que s'hagi dut a terme una actuació intensiva i global sobre els factors modificables de risc CV, i
 - S'hagi observat una correcta adherència* al tractament hipolipemiant actual, i
 - Que hagin estat en tractament amb una teràpia hipolipemiant òptima** durant un temps suficient (mínim de 8 setmanes), i
 - Que presentin concentracions de cLDL**** per sobre dels límits especificats a la taula següent⁴.

 **CatSalut**

Servei Català
de la Salut

Dictamen de la Comissió Farmacoterapèutica de la Medicació Hospitalària de Dispensació Ambulatoria sobre evolocumab en el tractament de pacients adults amb hipercolesterolèmia primària (familiar heterozigòtica i no familiar) o dislipidèmia mixta i en el tractament de pacients adults amb hipercolesterolèmia familiar homozigòtica.

 **CatSalut**

Servei Català
de la Salut

 Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

Pautes d'harmonització terapèutica

PAUTES
D'HARMONITZACIÓ
FARMACOTERAPÈUTICA
PHFAPC*

N. 1/2017

**Pautes per a
l'harmonització del
tractament
farmacològic de la
diabetis *mellitus*
tipus 2**

* Programa d'harmonització farmacoterapèutica de medicaments en l'àmbit de l'atenció primària i comunitària del Servei Català de la Salut.

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut



PAUTA	ESTAT
Diabetis <i>mellitus</i> tipus 2	1.1. Publicació 2013 1.2. Actualització 2017
Insuficiència Cardíaca Crònica	Publicació 2013
Depressió Major en adults	Publicació 2014
Malaltia Pulmonar obstructiva crònica	Publicació 2014
Malaltia Renal Crònica	Publicació 2016
Malaltia d'Alzheimer	Publicació 2016

PAUTA	ESTAT
Malaltia Pulmonar Obstructiva crònica	En procés d'actualització 2017 2 reunions de treball realitzades
Tractament anticoagulant oral en la prevenció de l'ictus i l'embòlia sistèmica en pacients amb fibril·lació auricular.	En procés. Primera reunió 19 Juny Principis 2018

Esquemes de pagament per resultats

Esquemes de Pagament basats en Resultats (EPR)

Avançar cap a un nou model de l'atenció sanitària més enfocat a resultats en salut

La incorporació de la innovació farmacoterapèutica suposa un elevat grau d'incertesa pel finançador. Els mecanismes de finançament macro utilitzats fins ara no serien els més adequats per permetre l'accés a la innovació en un escenari de sostenibilitat econòmica.

En aquest sentit, es disposa de diverses experiències internacionals de mecanismes de finançament micro, com els acords de risc compartit (ARC), que són potencialment aplicables al nostre model sanitari i que permeten acotar les incerteses.

En concret, els ARC pretenen passar a un sistema de pagament dels medicaments per resultats, de tal manera que el valor d'una tecnologia es condiciona a la demostració de la seva eficàcia i eficiència. Aquests acords són una eina clau per ajudar a regular algunes incerteses (eficàcia, seguretat, impacte pressupostari, relació cost/efectivitat) dels medicaments i distribuir els riscos entre els diferents agents del sistema.

Per aquests motius, el CatSalut va decidir que els ARC esdevenien una prioritat estratègica i l'any 2011 van ser inclosos en el "Pla de Salut de Catalunya 2011-2015", en l'àmbit de "Nou model de contractació de l'atenció sanitària: Pagament de medicaments en base a resultats clínics".

✓ Guia per a la definició dels criteris d'aplicació dels esquemes de pagament basats en resultats en l'àmbit farmacoterapèutic a Catalunya

- 2011 - 2015: Pla pilot EPRs: 19 acords signats, 7 indicacions, 9 laboratoris, 28 hospitals
- 2016 - actualitat : ARC sistèmics: extensió tot el SISCAT, 5 EPR signats, 3 en negociació, 2 ARC financers en negociació

Polítiques de compra

- Compra mancomunada
- Tarifes farmacològiques: VIH, hepatitis C, ISS, hormona creixement
- Acords amb companyies farmacèutiques segons volum de negoci?

Polítiques ús racional: IQF



Figura 1. Objectius de les dimensions considerades a l'IQF 2017



Taula 2. Bateria d'indicadors que componen l'IQF 2017

Dimensions	Àrea terapèutica	Punts	% de ponderació	
Nous medicaments	Ús de medicaments amb alternatives terapèutiques més adequades	25*	25%	
Hiperprescripció	AINE i fàrmacs per a patologies musculoesquelètiques	5	25%	
	Antiulcerosos	10		
	Benzodiazepines	5		
	Medicaments per a l'osteoporosi	5		
Selecció	Hipertensió arterial	IECA	5	50%
		Antihipertensius	5	
	Antiulcerosos	5		
	Medicaments per a l'osteoporosi	5		
	Hipolipemians	8		
	Antidepressius	1ª línia	8	
		2ª línia	2	
	Hipoglucemians no insulínics	1ª línia	10	
		2ª línia	2	

* A final d'any, hi haurà la possibilitat d'aconseguir 2 punts addicionals en funció del compliment de l'indicador de nous medicaments considerant els medicaments avaluats durant 2017 i que s'aniran incorporant a la llista dinàmica.

Polítiques ús racional: Pla de sostenibilitat



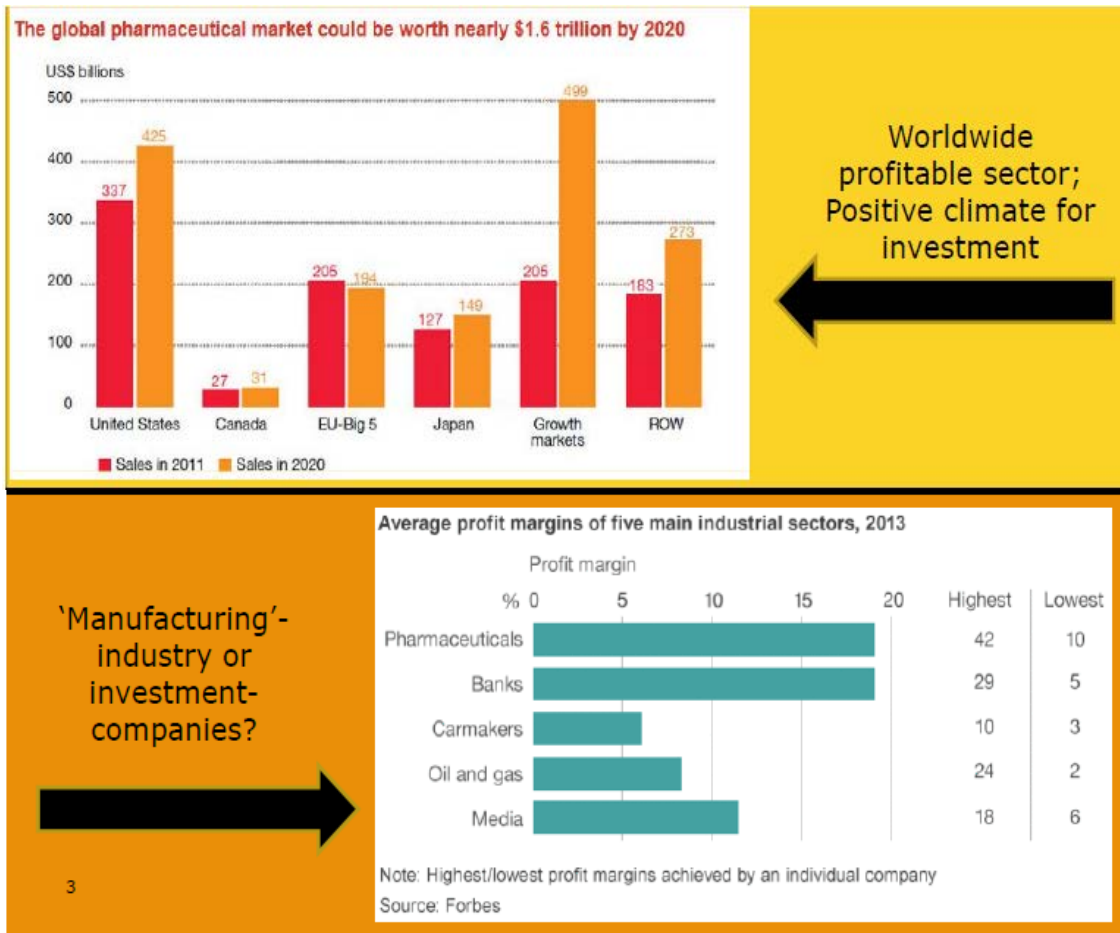
- Identificació de prioritats consensuades amb professionals del territori (2016)
- 4 grups de fàrmacs 29% despesa total
- 14 principis actius entre els 20 primers en despesa
 - EPOC
 - Opioides i lidocaïna
 - Antipsicòtics
 - Antidiabètics
- Accions consensuades amb professionals del territori (2017)

4. Accés a la innovació, preus dels medicaments i sostenibilitat dels SNS

Preu dels medicaments

- La innovació és important, però a qualsevol preu?
- El preu dels medicaments, s'ajusta al seu valor?
 - Disponibilitat a pagar: necessitat definir dentells C-E
 - Impacte pressupostari
- En entorns amb contenció pressupostària...
- ...el finançament de nous medicaments amb alt impacte econòmic posa en perill la sostenibilitat dels SNS

És realment tan elevat el cost de la R+D?



És realment tan elevat el cost de la R+D?

Original Investigation

November 2017

Research and Development Spending to Bring a Single Cancer Drug to Market and Revenues After Approval

Vinay Prasad, MD, MPH^{1,2,3}; Sham Mailankody, MBBS^{4,5}

JAMA Intern Med. 2017;177(11):1569-1575. doi:10.1001/jamainternmed.2017.3601

Key Points

Question What is the estimated research and development spending for developing a cancer drug?

Findings In this analysis of US Securities and Exchange Commission filings for 10 cancer drugs, the median cost of developing a single cancer drug was \$648.0 million. The median revenue after approval for such a drug was \$1658.4 million.

Meaning These results provide a transparent estimate of research and development spending on cancer drugs and show that the revenue since approval is substantially higher than the preapproval research and development spending.

256 %

Informe Cabezón

P8_TA(2017)0061

Opciones para mejorar el acceso a los medicamentos

Resolución del Parlamento Europeo, de 2 de marzo de 2017, sobre las opciones de la Unión para mejorar el acceso a los medicamentos (2016/2057(INI))

- Recomienda que haya **más transparencia en el coste de la I+D**, en particular en lo que se refiere a la parte de la investigación financiada con fondos públicos y la comercialización de medicamentos
- Observa que, en caso de necesidades médicas no satisfechas, **el acceso rápido a nuevos medicamentos innovadores redunda en interés de los pacientes**; hace hincapié, no obstante, en que la **tramitación acelerada de autorizaciones** de comercialización **no debe convertirse en la norma**, sino que debe utilizarse únicamente cuando sea necesario satisfacer una importante necesidad médica **y no debe estar motivada por consideraciones de índole comercial**

Informe Cabezón

P8_TA(2017)0061

Opciones para mejorar el acceso a los medicamentos

Resolución del Parlamento Europeo, de 2 de marzo de 2017, sobre las opciones de la Unión para mejorar el acceso a los medicamentos (2016/2057(INI))

- Hace hincapié en que una **política de precios para los medicamentos basada en el valor podría utilizarse indebidamente como estrategia económica** para la maximización de los beneficios y conllevar la **fijación de unos precios desproporcionados** con respecto a la estructura de costes, en detrimento de la óptima distribución de la previsión social
- Observa con preocupación que **los datos en los que se fundamenta la evaluación del valor añadido de los medicamentos innovadores son, a menudo, escasos** y no lo suficientemente convincentes como para constituir una base sólida para la toma de decisiones sobre los precios

Informe Cabezón

P8_TA(2017)0061

Opciones para mejorar el acceso a los medicamentos

Resolución del Parlamento Europeo, de 2 de marzo de 2017, sobre las opciones de la Unión para mejorar el acceso a los medicamentos (2016/2057(INI))

- Considera que, a la hora de determinar los procedimientos de **fijación de precios y de reembolso** de los medicamentos, hay que tener en cuenta el **verdadero valor añadido** terapéutico de un medicamento, el **impacto social**, la **rentabilidad**, el impacto presupuestario y la eficiencia para los sistemas sanitarios públicos.
- **Pide a la Comisión que promueva el comportamiento ético y la transparencia en el sector farmacéutico, en particular en lo que se refiere a los ensayos clínicos y el coste real de la I+D en el procedimiento de autorización y de evaluación de la innovación.**

Sanidad avisa de que 60 medicamentos sufrirán “cruelas reducciones de precio”

J. RUIZ-TAGLE Madrid | 20 oct 2017 - 12:23 h |  ElGlobal.net

La estrategia para dar respuesta a la innovación que espera financiación vendrá de la mano de una reducción de precios de los medicamentos ya comercializados. El Ministerio de Sanidad, a través del subdirector general de Calidad del Medicamento, Carlos Lens, ha asegurado que en los próximos meses hasta 60 medicamentos que están a punto de perder la patente van a ver su precio reducido drásticamente. “La herramienta para generar ahorros será la competencia en precios y se verán crueltas reducciones”, aseveró. De hecho, Lens explicó que el pasado 21 de diciembre expiró la patente “de un famoso oncológico y hoy su precio es 20 veces menor”. Lens aseguró que serán esos ahorros los que respondan a la pregunta que suele sobrevolar cualquier discusión sobre acceso a la innovación: ¿Cómo dar respuesta sin poner en peligro la sostenibilidad?

Conclusions

Accés a innovació

Sostenibilitat



**Equitat, transparència i valor clínic afegit en
les decisions de preu i finançament**

Moltes gràcies
jdelgadillo@catsalut.cat