Jornada sobre Enfermedades Catastróficas en el Sector Público

¿Cuáles son las Enfermedades Catastróficas y cómo priorizarlas para organizar respuestas adecuadas? Listados y estrategias de selección

Prof Andrés Pichon-Riviere MD MSc PhD

IECS - Instituto de Efectividad Clinica y Sanitaria

Institute for Clinical Effectiveness and Health Policy

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

Escenario Actual

Gran desarrollo de nuevas tecnologías:

- **Drogas** *(nuevas drogas oncológicas, inmunoterapias, etc.)*
- **Métodos diagnósticos** *(PET, tecnologías multislice, etc)*
- **Dispositivos** *(stents, cardiodesfibriladores)*
- **Ciugías** *(obesidad, laparoscopía)*

En muchos casos se trata de nuevas drogas y tecnologías sanitarias que ofrecen:

Ventajas clínicas estadísticamente significativas, pero muchas veces pequeñas, y a un **costo considerable**.

En la última década la sobrevida del cáncer de colon se ha duplicado pero el costo del tratamiento se incrementó 320 veces*

**Fuente: Schrag D 2004. The price of progress: chemotherapy for colorectal cancer. New England Journal of Medicine. Vol 341, pp 317-19.*

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

Enfermedad catastrófica:

Cuando genera gastos “catastróficos” para el paciente y su familia:

Gastos de bolsillo iguales o superiores al 40% del total del gasto familiar (excluyendo alimentos)

(“*distress financing*” cuando se debe solicitar dinero a familiares, vender bienes o solicitar préstamos al banco para financiar los gastos de enfermedad)

OPEN ACCESS Freely available online PLoS one

A Cross-Sectional Study of the Microeconomic Impact of Cardiovascular Disease Hospitalization in Four Low- and Middle-Income Countries

Mark D. Huffman[1,2], Krishna D. Rao[3], Andres Pichon-Riviere[4,5], Dong Zhao[5,6], S. Harikrishnan[7], Kaushik Ramaiya[8], V. S. Ajay[2,3,5], Shifalika Goenka[3,5], Juan I. Calcagno[4], Joaquín E. Caporale[4], Shaoli Niu[9], Yan Li[6], Jing Liu[6], K. R. Thankappan[7], Meena Daivadanam[7], Jan van Esch[8], Adrianna Murphy[10], Andrew E. Moran[11], Thomas A. Gaziano[12], Marc Suhrcke[13], K. Srinath Reddy[3,5], Stephen Leeder[5,14], Dorairaj Prabhakaran[2,3,5]*

1 Departments of Preventive Medicine and Medicine, Northwestern University Feinberg School of Medicine, Chicago, Illinois, United States of America, **2** Centre for Chronic Disease Control, New Delhi, India, **3** Public Health Foundation of India, New Delhi, India, **4** Institute for Clinical Effectiveness Research and Health Policy, Buenos Aires, Argentina, **5** Initiative for Cardiovascular Health Research in Developing Countries, New Delhi, India, **6** Department of Epidemiology, Capital Medical University affiliated Beijing Anzhen Hospital and Beijing Institute of Heart, Lung and Blood Vessel Diseases, Beijing, China, **7** Achutha Menon Centre for Health Science Studies, Sree Chitra Tirunal Institute for Medical Sciences and Technology, Trivandrum, India, **8** Department of Internal Medicine, Shree Hindu Mandal Hospital, Muhimbili University of Health and Allied Sciences, Dar es Salaam, Tanzania, **9** Cadre Ward, Navy General Hospital, Beijing, China, **10** Department of Global Health and Population, Harvard School of Public Health, Boston, Massachusetts, United States of America, **11** Division of General Medicine, Columbia University Medical Center, New York, New York, United States of America, **12** Division of Cardiovascular Medicine, Brigham and Women's Hospital, Boston, Massachusetts, United States of America, **13** School of Medicine,

Table 1. Baseline characteristics of survey participants.

	Argentina N = 367	China N = 290	India N = 500	Tanzania N = 498
DEMOGRAPHICS				
Mean age, years (SD)	56.6 (8.5)	59.3 (8.1)	56.1 (8.9)	52.9 (11.0)
Male, %	74.1	62.4	79.0	50.2
Married, %	59	94.5	90.0	72.4
Rural, % (National rural prevalence)	3.0 (8)	33.8 (57)	55.0 (70)	42.4 (74)
HOSPITAL PRESENTATION				
Acute coronary syndrome, %	66.8	45.9	68.0	1.8
Acute heart failure, %	12.5	0	0	37.1
Peripheral vascular disease, %	1.9	0	0	0.1
Stroke, %	20.0	54.1	32.0	60.4

Proporción de familias que sufrieron gastos catastróficos

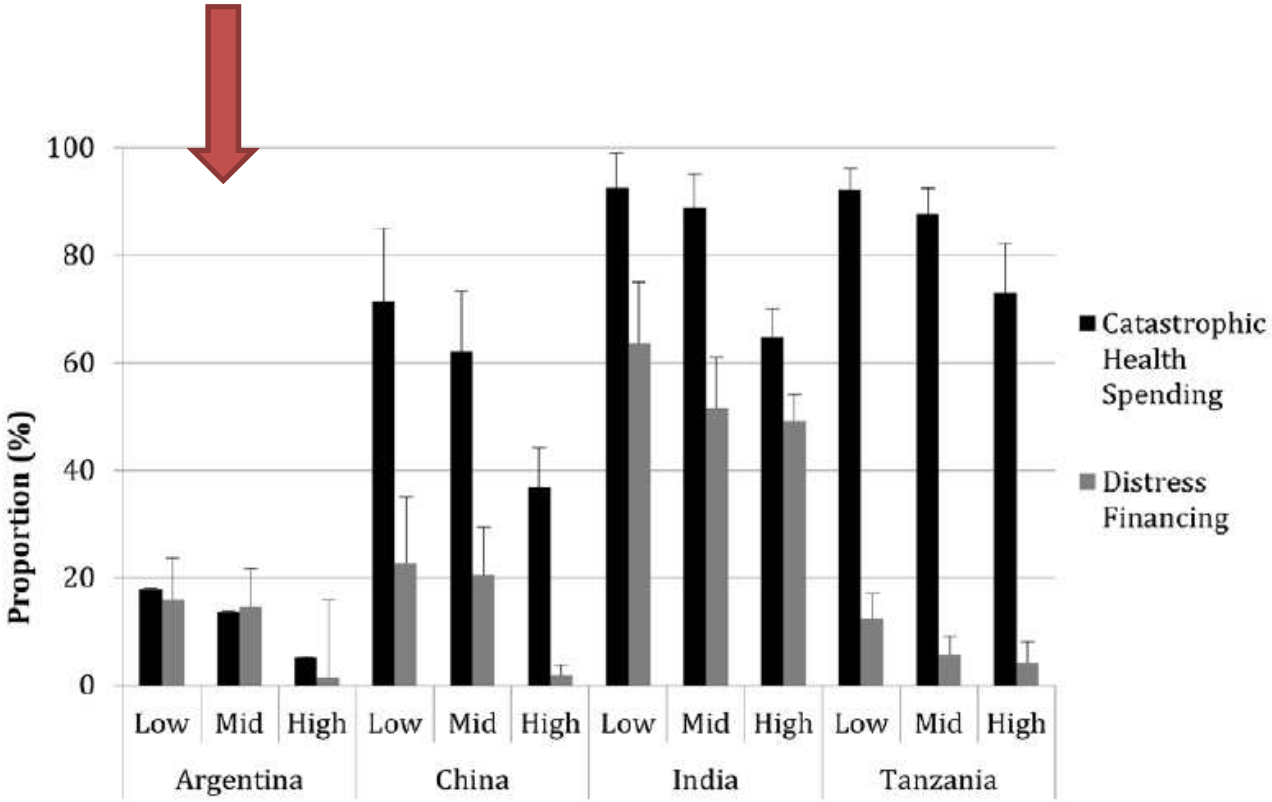


Figure 1. Proportion of survey respondents who experienced catastrophic health spending (out-of-pocket health spending >40% non-food expenditures) and distress financing following CVD-related hospitalization, divided by income strata. Differences across income strata were considered statistically significant ($p<0.05$) for China (CHS and DF), India (CHS), and Tanzania (CHS and DF).
doi:10.1371/journal.pone.0020821.g001

35
Breaking
56
Bad

The New Yo

The

Go

WORLD

AUTOS

OP-ED CONT

In Cancer Care, Cost M

By PETER B. BACH, LEONARD B. SALTZ and ROBERT

Published: October 14, 2012

AT Memorial Sloan-Kettering Cancer

decision that should have been a no-

give a phenomenally expensive new c

AT Memorial Sloan-Kettering Cancer Center, we recently made a decision that should have been a no-brainer: we are not going to give a phenomenally expensive new cancer drug to our patients.

The reasons are simple: The drug, Zaltrap, has proved to be no better than a similar medicine we already have for advanced colorectal cancer, while its price — at $11,068 on average

hat your friends

ytimes.com.

What's This?

Log In With Facebook

ular Now

Quick, Hide the BlackBerry, It's Too Uncool

editorial page

editor, Andrew Rosenthal, follow @andyrNYT.

In most industries something that offers no advantage over its competitors and yet sells for twice the price would never even get on the market. But that is not how things work for drugs. The Food and Drug Administration approves drugs if they are shown to be "safe and

is

To put these percentages in perspective, an older colorectal cancer patient without extra insurance would have to pay more than $2,200 out of pocket for a month's treatment with Zaltrap. That's greater than the monthly income for half of Medicare participants.

The burden of this cost is borne, increasingly, by patients themselves — and the effects can be devastating. In 2006, one-quarter of cancer patients reported that they had used up all or most of their savings paying for care; a study last year reported that 2 percent of cancer patients were driven into bankruptcy by their illness and its treatment. One in 10 cancer patients now reports spending more than $18,000 out of pocket on care.

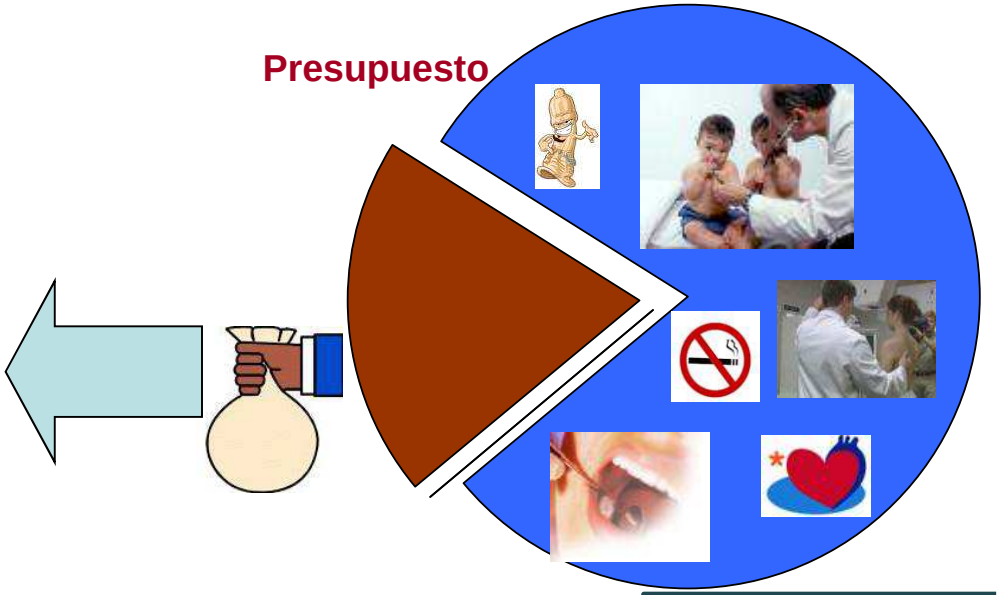
Es necesario regular la incorporación de nuevas tecnologías - ¿por que?

Nuevas Tecnologías

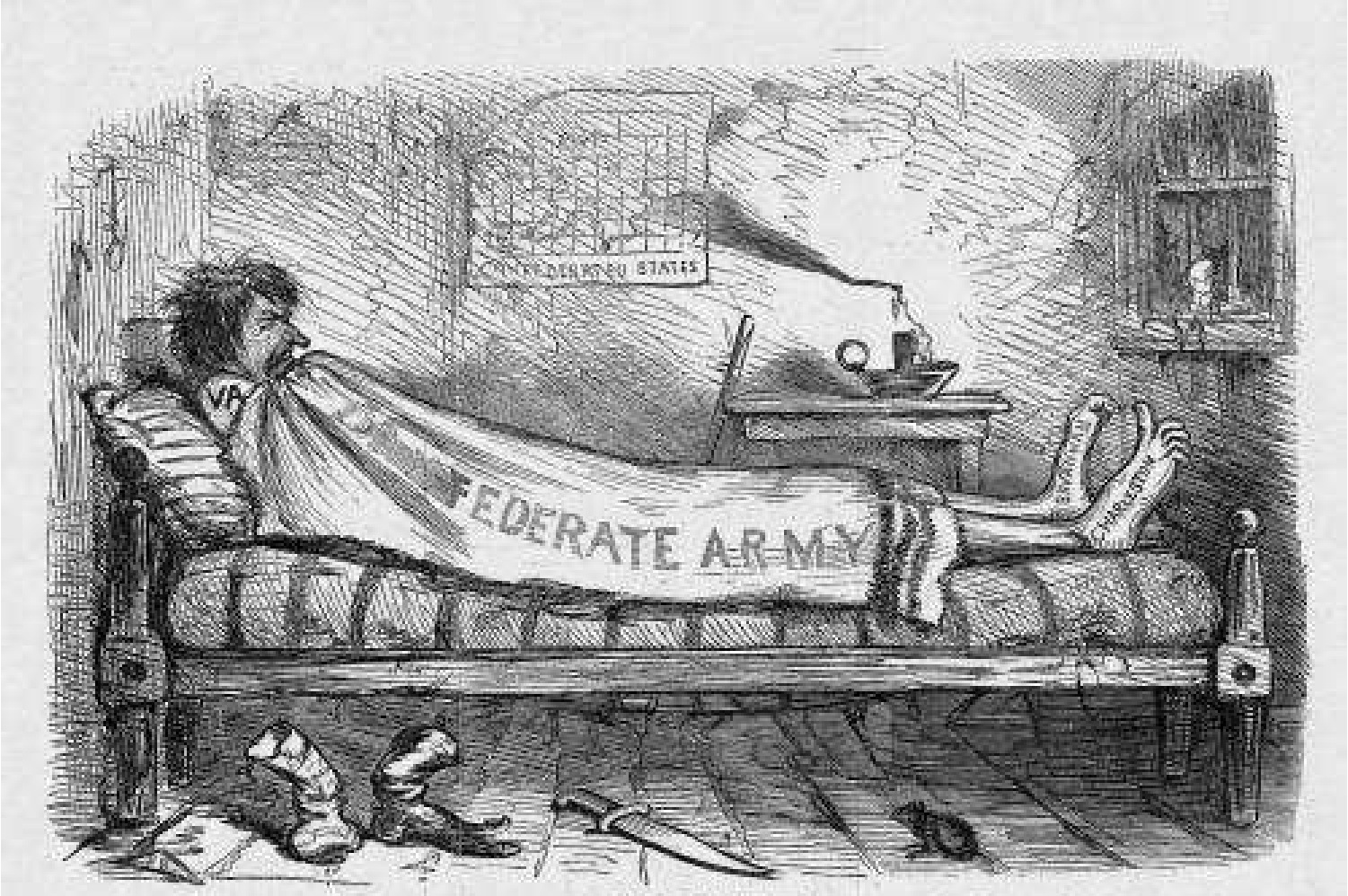
Stent con drogas - Inteferón
Gefitinib – Spect – PET - Sunitinib
Ozonoterapia – Cetuximab - Fabry
Bevacizumab – Capecitabina
Cardiodesfibriladores - Letrozol
Trastuzumab - Radiofrecuencia
Resincronizadores - Erlotinib
Terapia fotodinámica - Irinotecan
Imatinib – Hidroterapia - Gaucher

COSTO DE OPORTUNIDAD

Ante un escenario de recursos limitados la incorporación indiscriminada de nuevas tecnologías puede distraer recursos de intervenciones más importantes.



El presupuesto es finito, ….y debe ser compartido



A SHORT BLANKET.

Old Secesh. "While I cover my Neck, I expose my Feet, and if I cover my Feet, I expose my Neck. Ugh!"

What Is Wrong with Orphan Drug Policies?

André Côté, PhD[1,], Bernard Keating, PhD[2]*

[1]*Faculté des sciences de l'administration, Université Laval, Québec, QC, Canada;* [2]*Faculté de théologie et de sciences religieuses, Université Laval, Québec, QC, Canada*

ABSTRACT

The effects of orphan drug policies raise serious concerns among payer organizations and lead to often-tragic disappointment for patients who are denied much anticipated drug reimbursements. We evaluate the effects of orphan drug policies on the basis of this concern for real accessibility to drugs. We highlight two unforeseen effects of orphan drug policies: 1) they provide unique business opportunities for manufacturers and 2) drugs approved through these policies are often inaccessible because of their high price. We identify six causes of this emergence of effects. The first four are the direct result of incentives included in orphan drug policies. The fifth cause is the "off-label" use of orphan drugs. These emergent effects have several implications: 1) they raise doubts about the equity of access to drugs, 2) they highlight the limitations of the cohort paradigm in medicine, and c) they force third-party payers to make drugs accessible even when the prices of drugs are believed to be disproportionate to the clinical effects obtained.

Keywords: health policy, hospital and public health systems, orphan drugs, outcomes, stakeholder strategies.

Copyright © 2012, International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR). Published by Elsevier Inc.

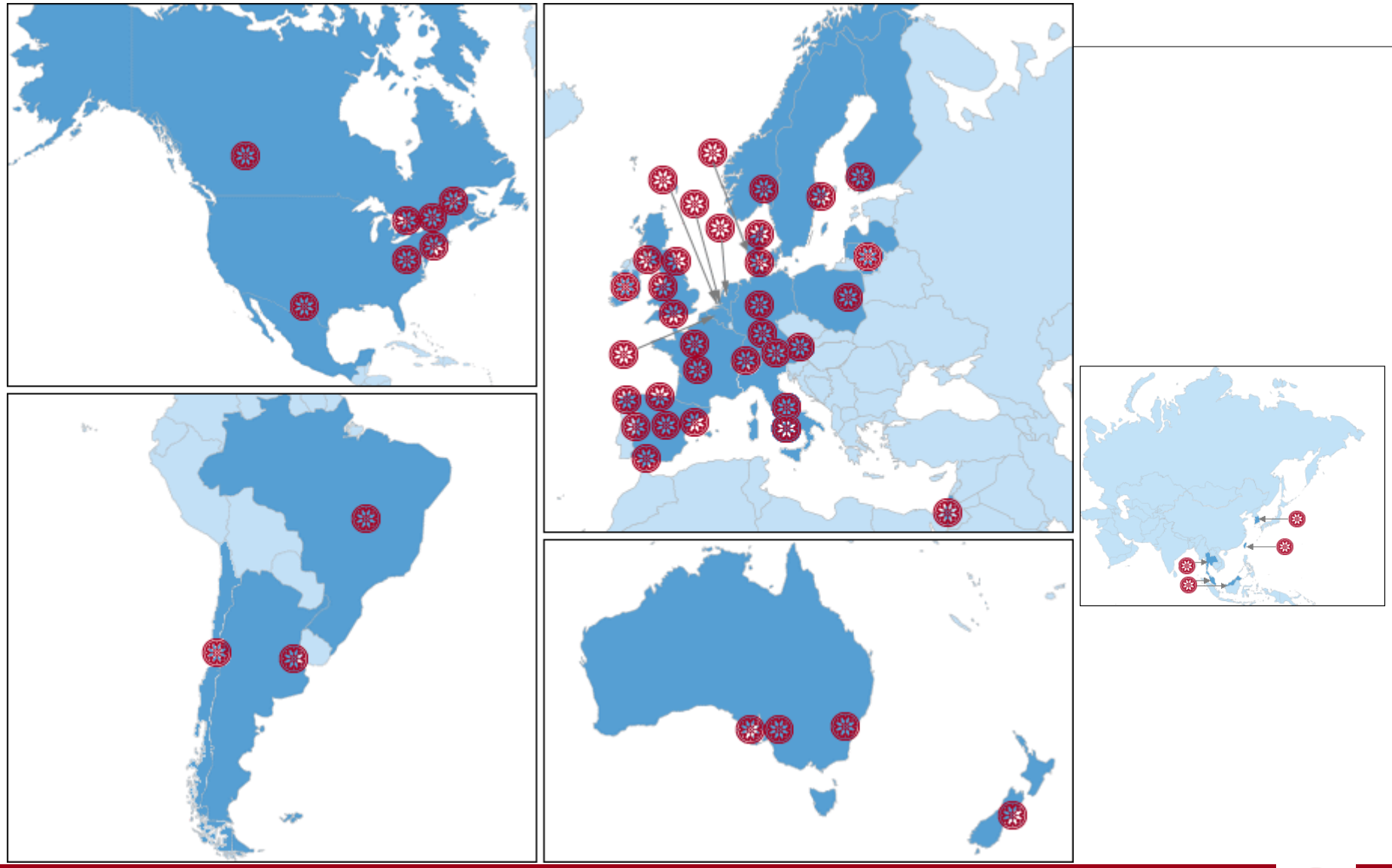
Pacientes: sienten que en muchos casos el acceso al tratamiento está restringido

Productores: habiendo respondido a los incentivos para realizar investigación en enfermedades raras encuentran que los financiadores se resisten a pagar por los nuevos tratamientos desarrollados

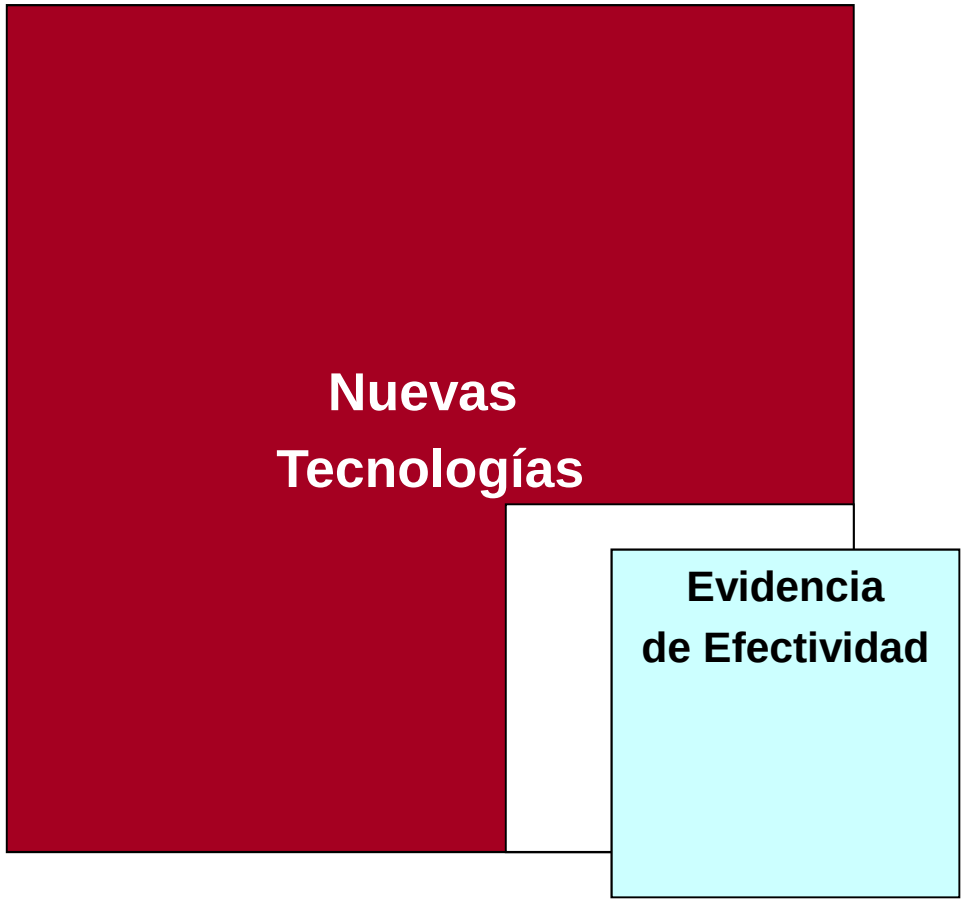
Financiadores: consideran que en la mayor parte de los casos no se justifica pagar el alto costo de estos medicamentos (al menos en base a los criterios actuales de valor por dinero). Pero enfrentan problemas políticos si no proveen financiamiento.

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

INAHTA – International Network of Agencies for Health Techonology Assessment



¿Por qué Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) y Evaluaciones Económicas (EE)?



Identificar aquellas tecnologías sanitarias para las cuales existe evidencia sólida de efectividad y seguridad

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD
CLINICA Y SANITARIA

Desarrollo de nuevas tecnologías sanitarias

1. Calidad
2. Seguridad
3. (Efectividad)

Aprobación

(autorización para la venta)

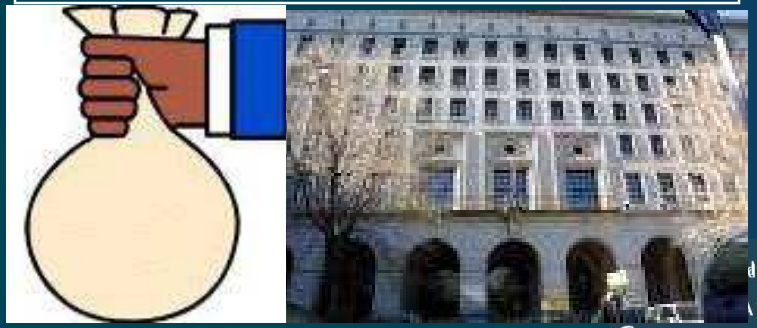
4. Evaluación de tecnologías Sanitarias - Evaluación económica

¿se debe cubrir? Efectividad-Costo-efectividad

¿para quienes? Indicaciones precisas

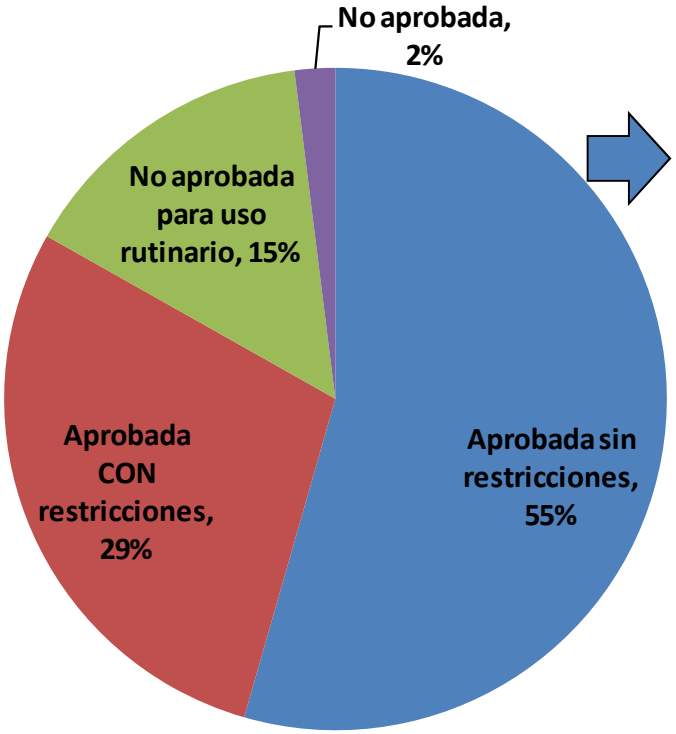
¿a que precio?

Cobertura



No es lo mismo “evidencia” para licenciamiento que “evidencia” para cobertura

56 nuevas drogas oncológicas evaluadas por el NICE entre 2000 y 2008



Public funding of new cancer drugs: Is NICE getting nastier?

Anne R. Mason, Michael F. Drummond*

EUROPEAN JOURNAL OF CANCER 45 (2009) 1188–1192

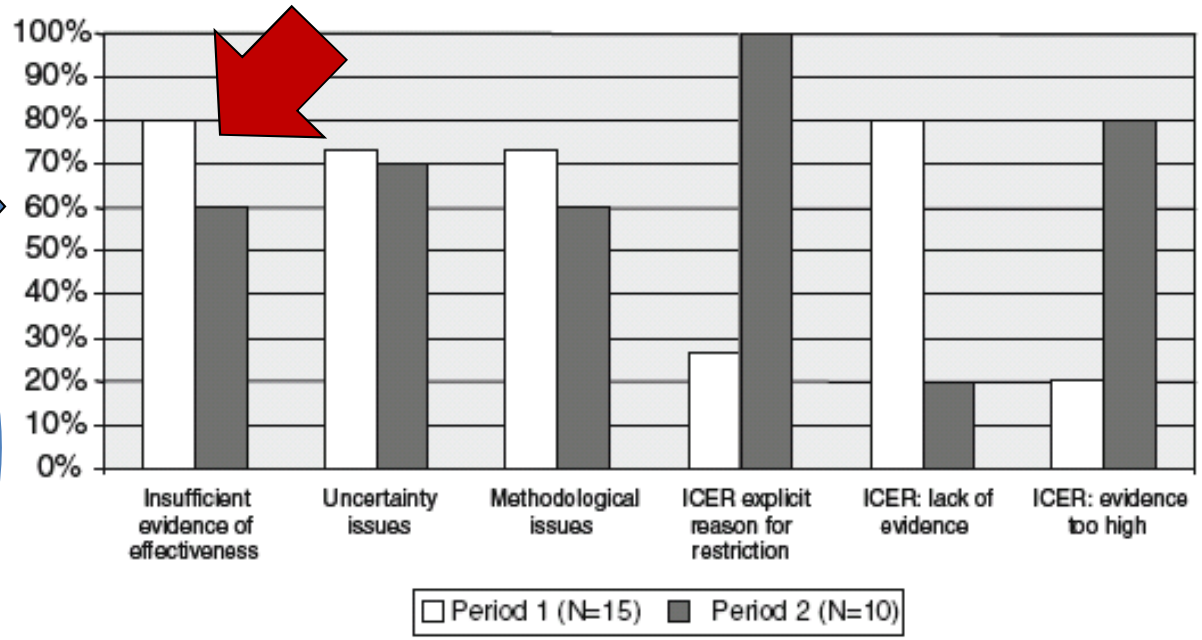
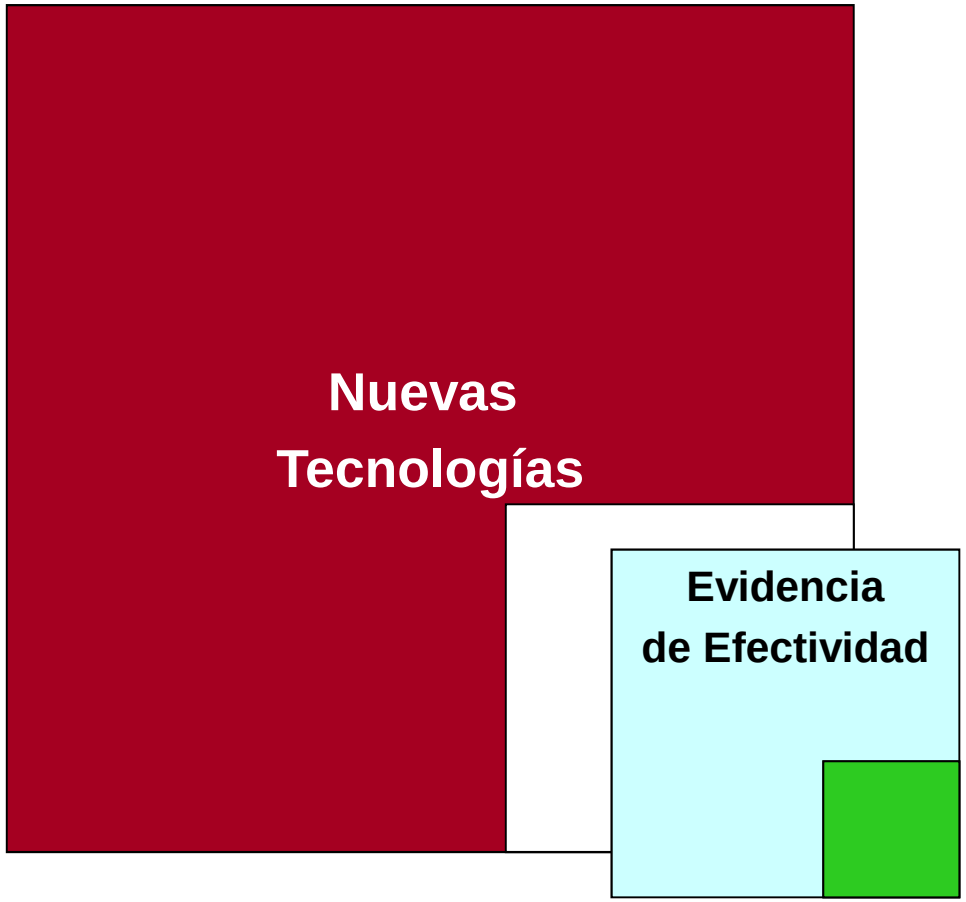


Fig. 3 – NICE restrictions by drug assessment (N = 25).

¿Por qué Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) y Evaluaciones Económicas (EE)?

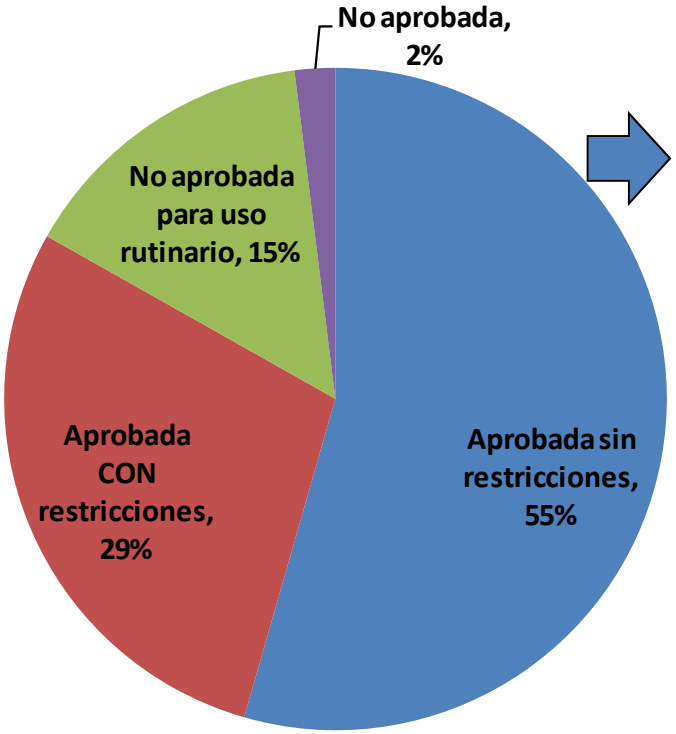


Consideradas Costo-efectivas y que pueden ser cubiertas

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD
CLINICA Y SANITARIA

No es lo mismo “evidencia” para licenciamiento que “evidencia” para cobertura

56 nuevas drogas oncológicas evaluadas por el NICE entre 2000 y 2008



Public funding of new cancer drugs: Is NICE getting nastier?

Anne R. Mason, Michael F. Drummond*

EUROPEAN JOURNAL OF CANCER 45 (2009) 1188–1192

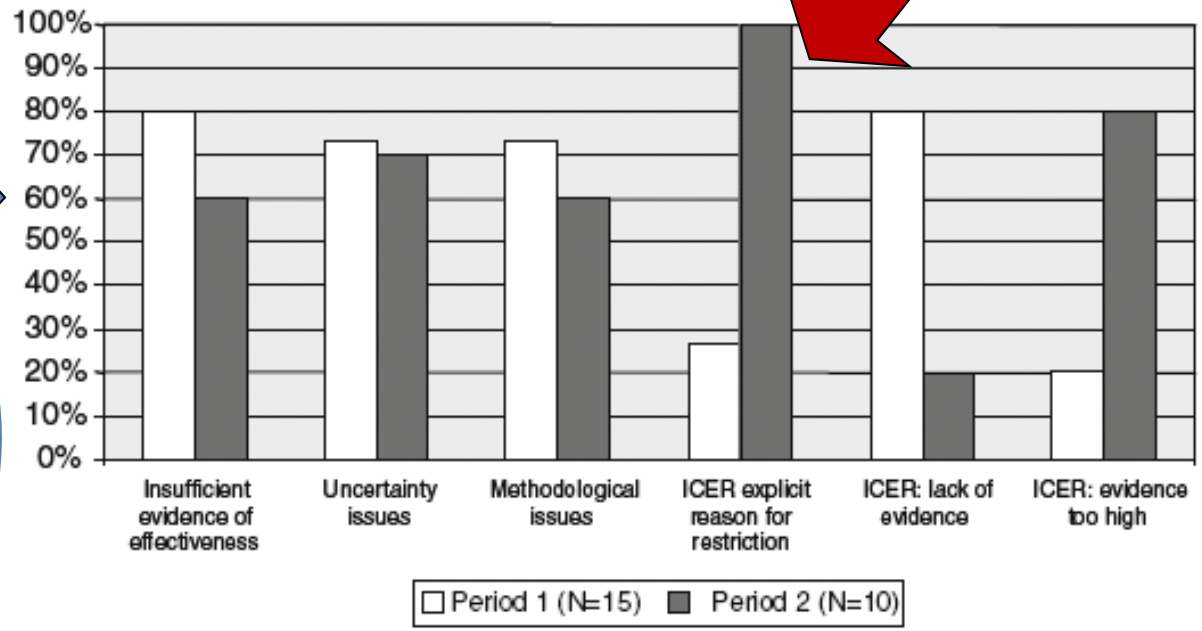
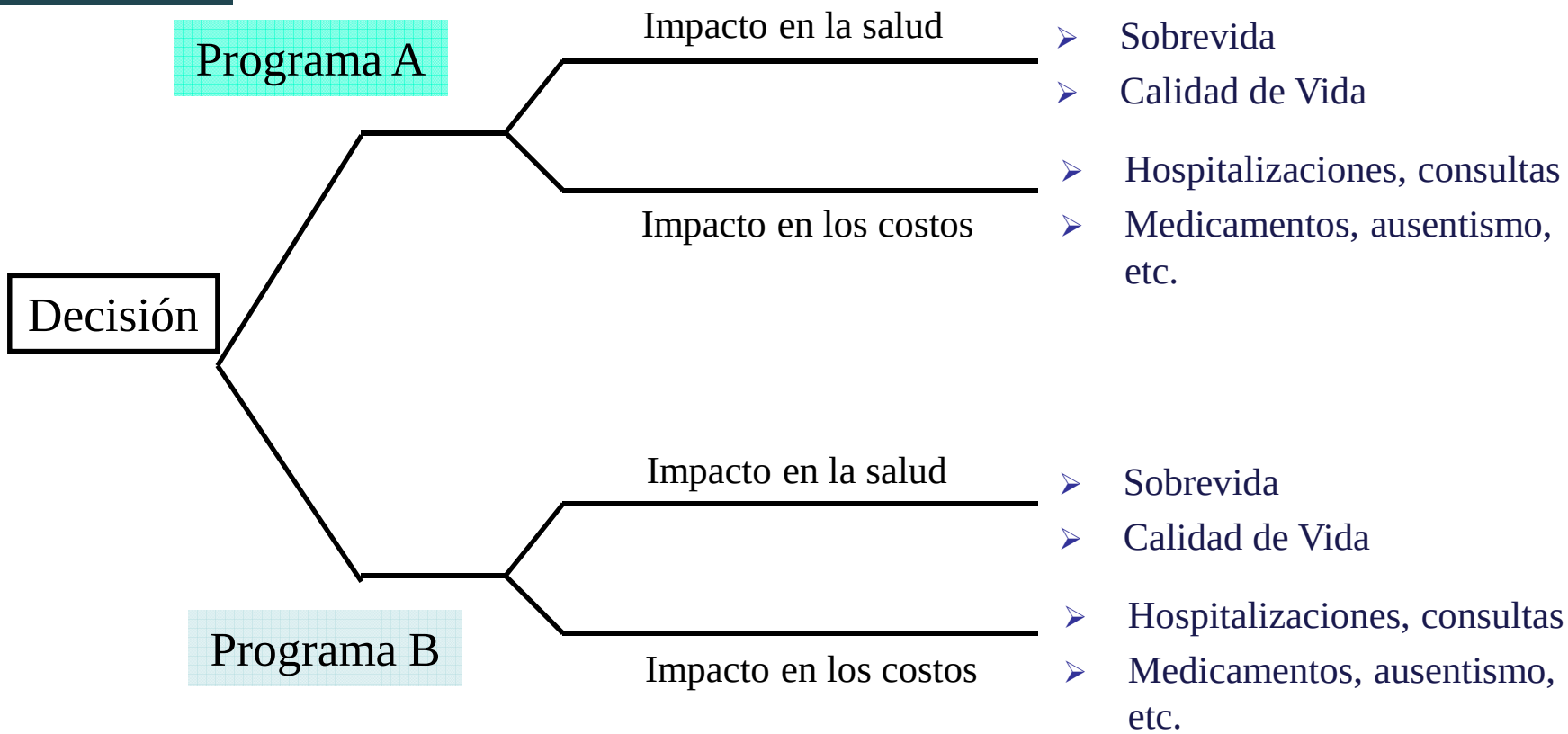


Fig. 3 – NICE restrictions by drug assessment (N = 25).

Evaluaciones económicas



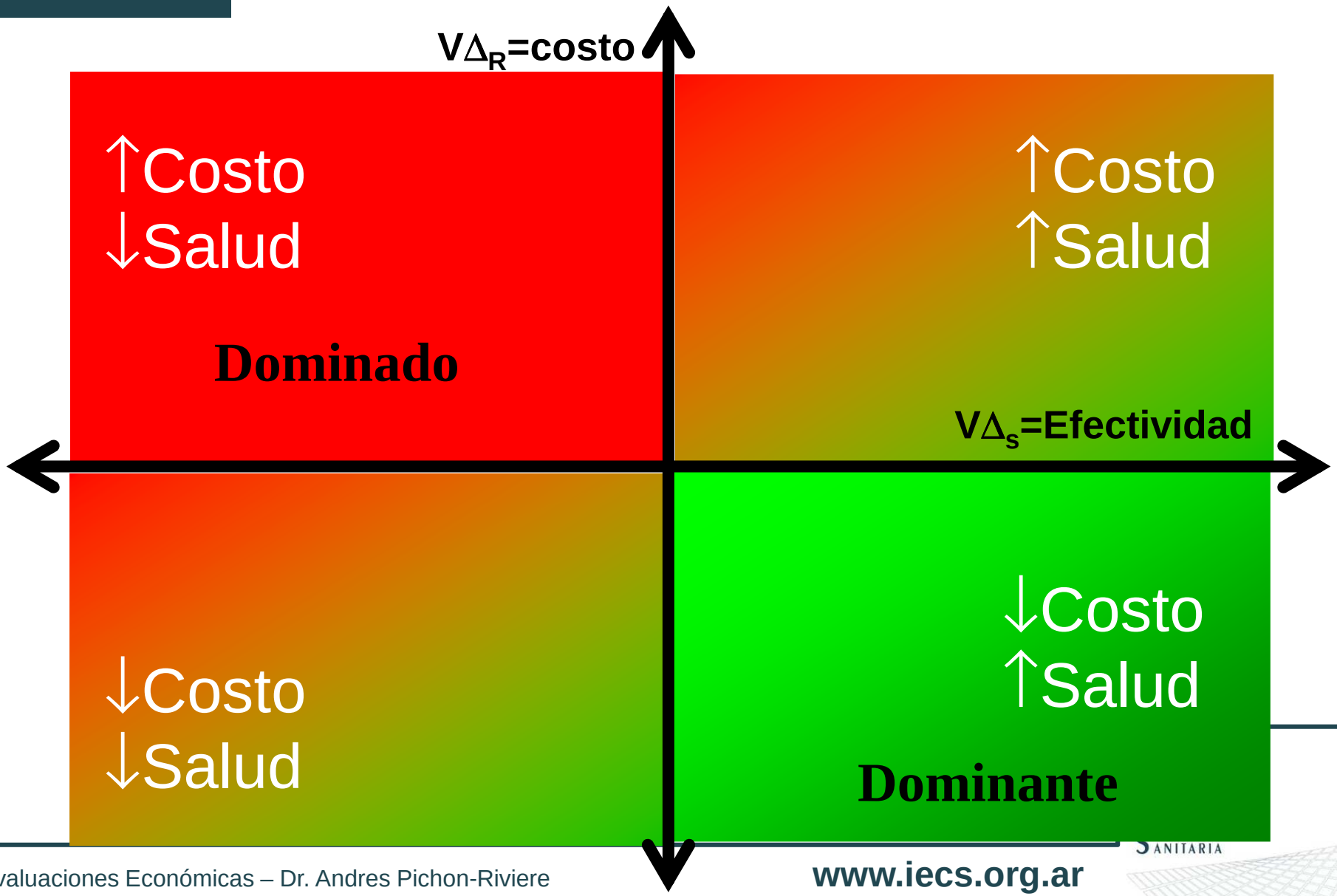
Y se mide cuál es el **costo** marginal en relación al **beneficio** marginal de una alternativa vs. la otra…

$$\frac{\Delta C}{\Delta E} =$$

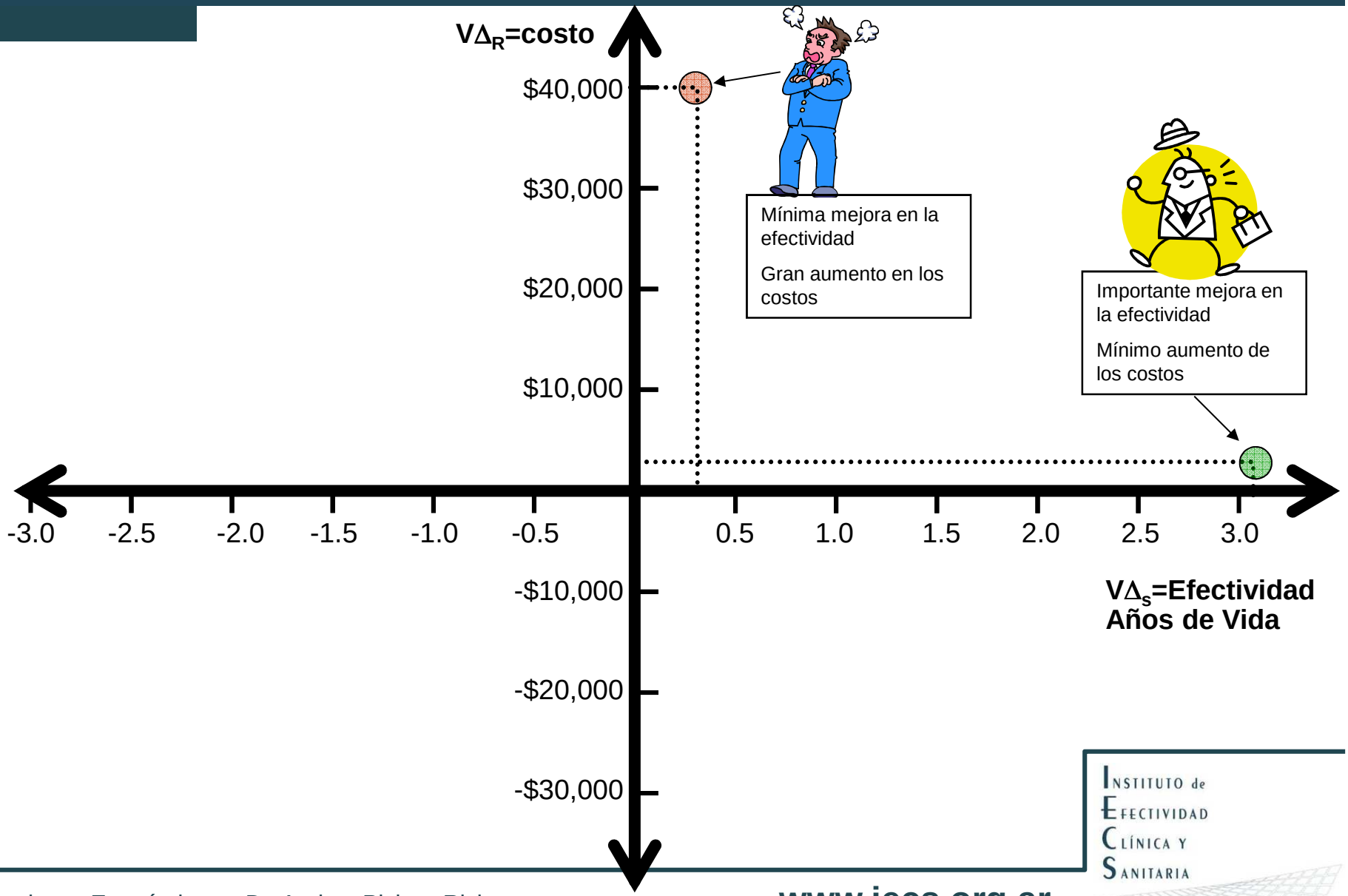
ΔC **cambio neto en el Costo de los recursos ($)**

ΔE **cambio neto en la Eefectividad de la intervención (QALY´s)**

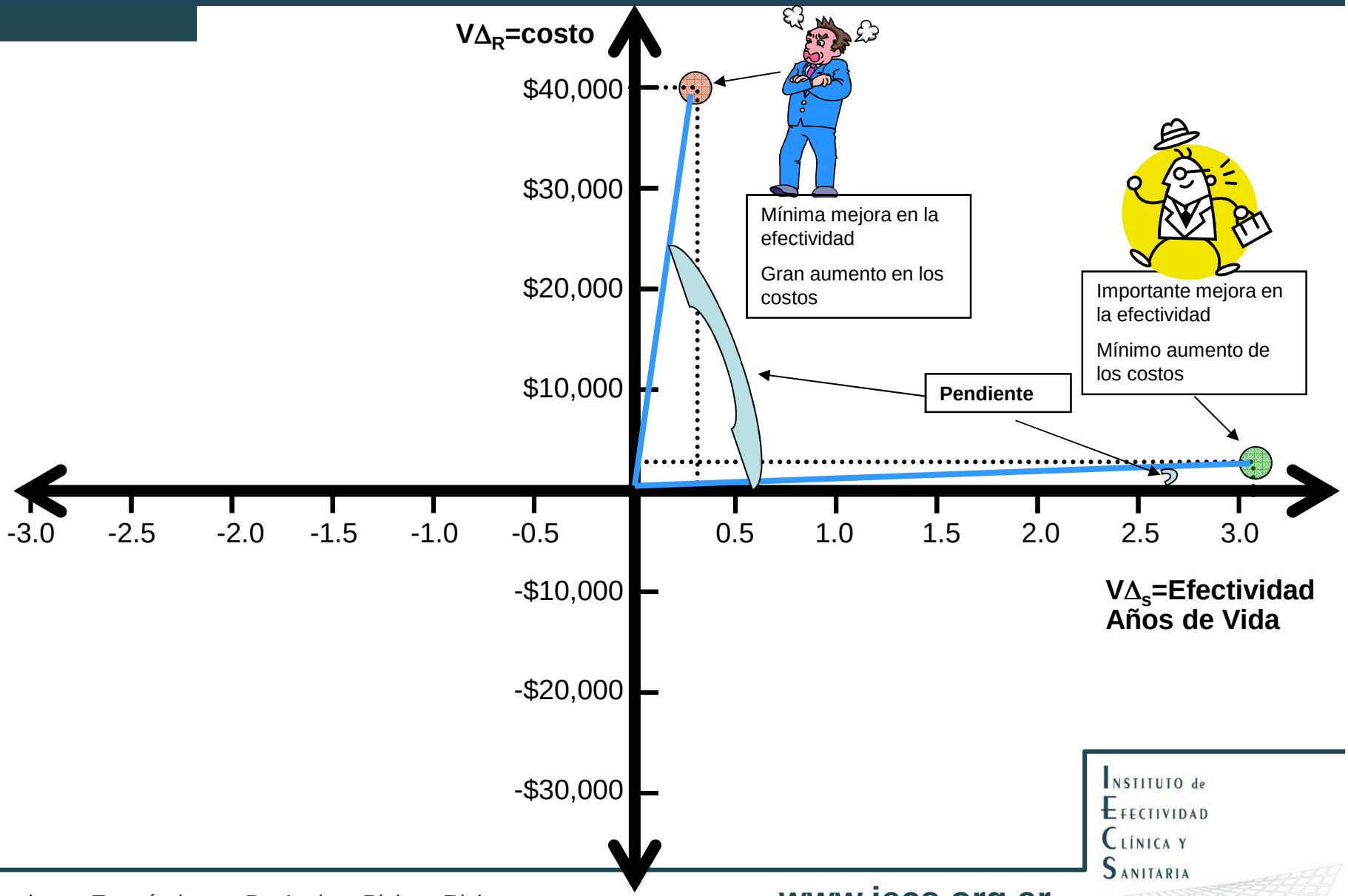
Resultados de las EE: Plano de costo-efectividad



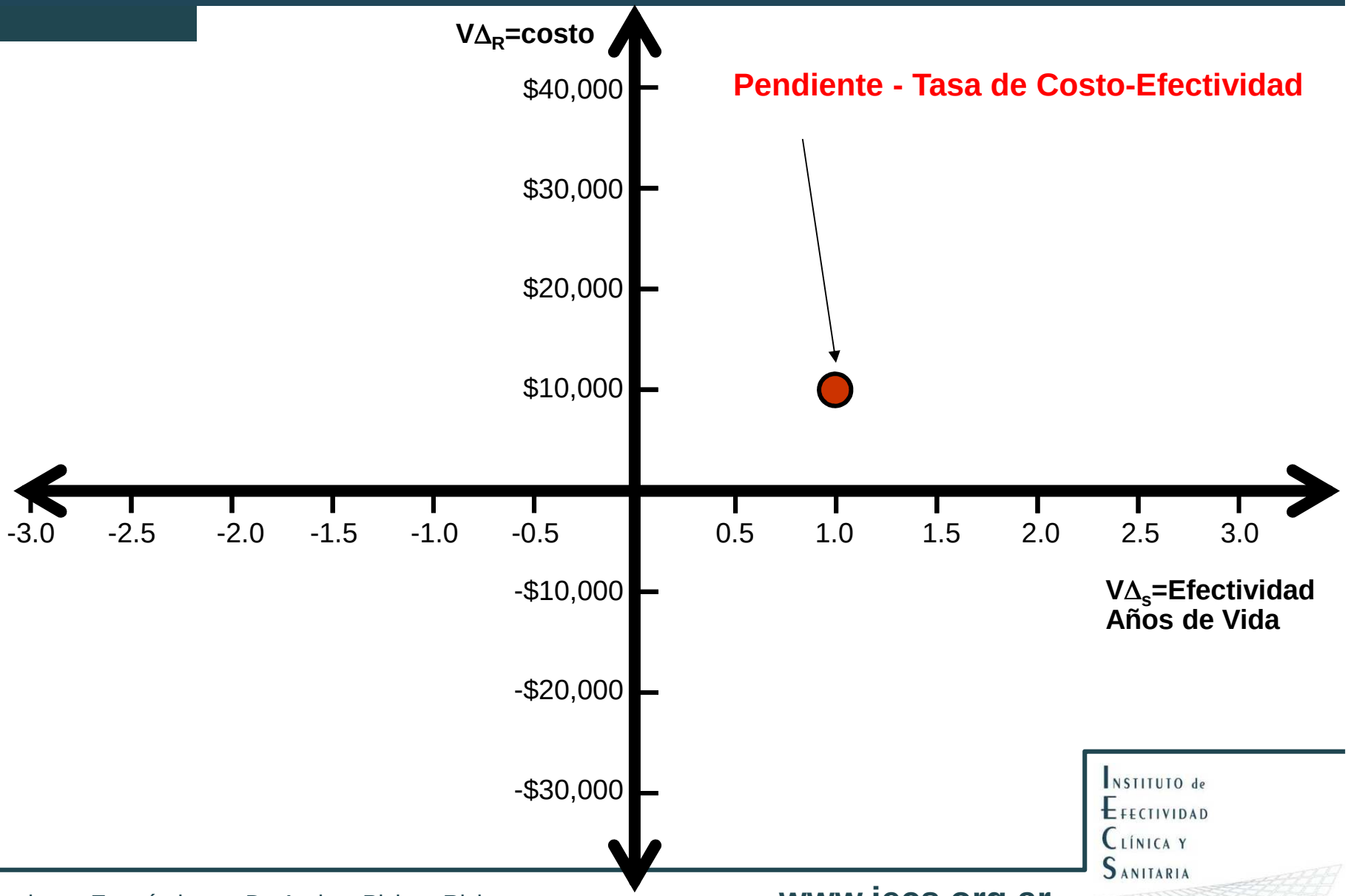
Plano de la costo efectividad



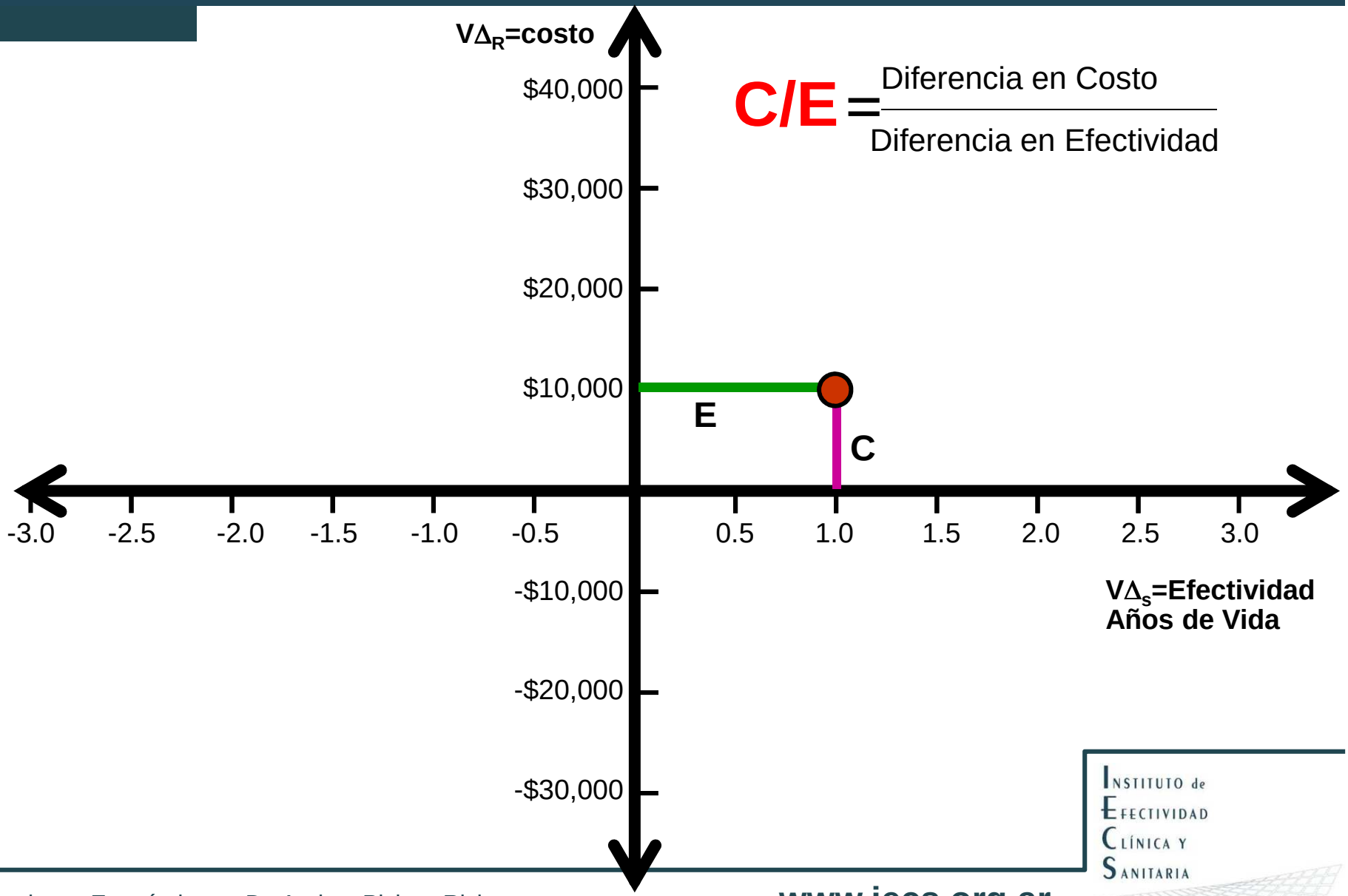
¿Decisión?


VΔR=costo
$40,000
$30,000
$20,000
$10,000
-$10,000
-$20,000
-$30,000
-3.0
-2.5
-2.0
-1.5
-1.0
-0.5
0.5
1.0
1.5
2.0
2.5
3.0
VΔs=Efectividad
Años de Vida
Mínima mejora en la efectividad
Gran aumento en los costos
Importante mejora en la efectividad
Mínimo aumento de los costos
Pendiente

Razón o Tasa de Costo-Efectividad



Razón o Tasa de Costo-Efectividad



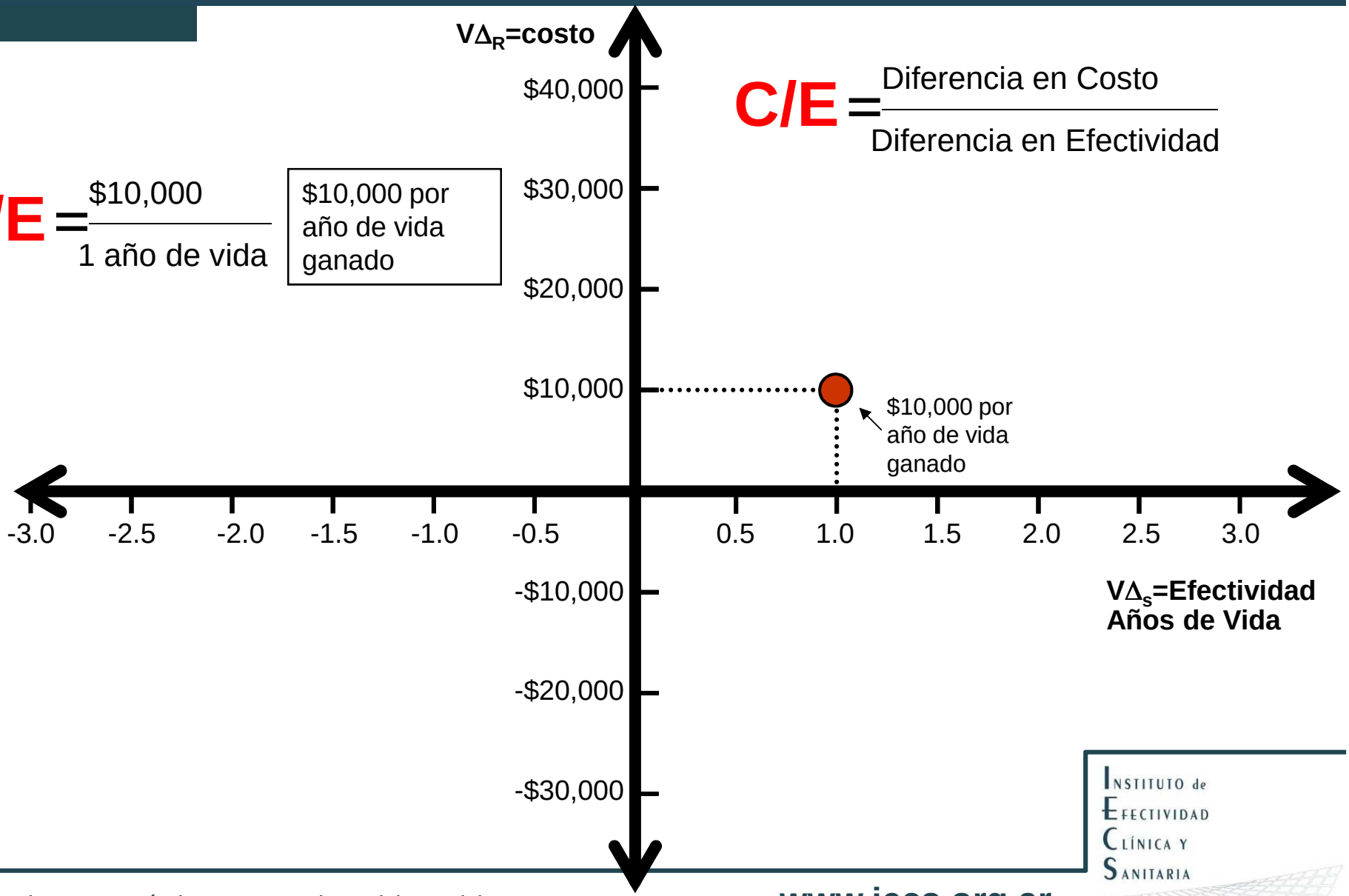
$$C/E = \frac{\text{Diferencia en Costo}}{\text{Diferencia en Efectividad}}$$

Razón o Tasa de Costo-Efectividad

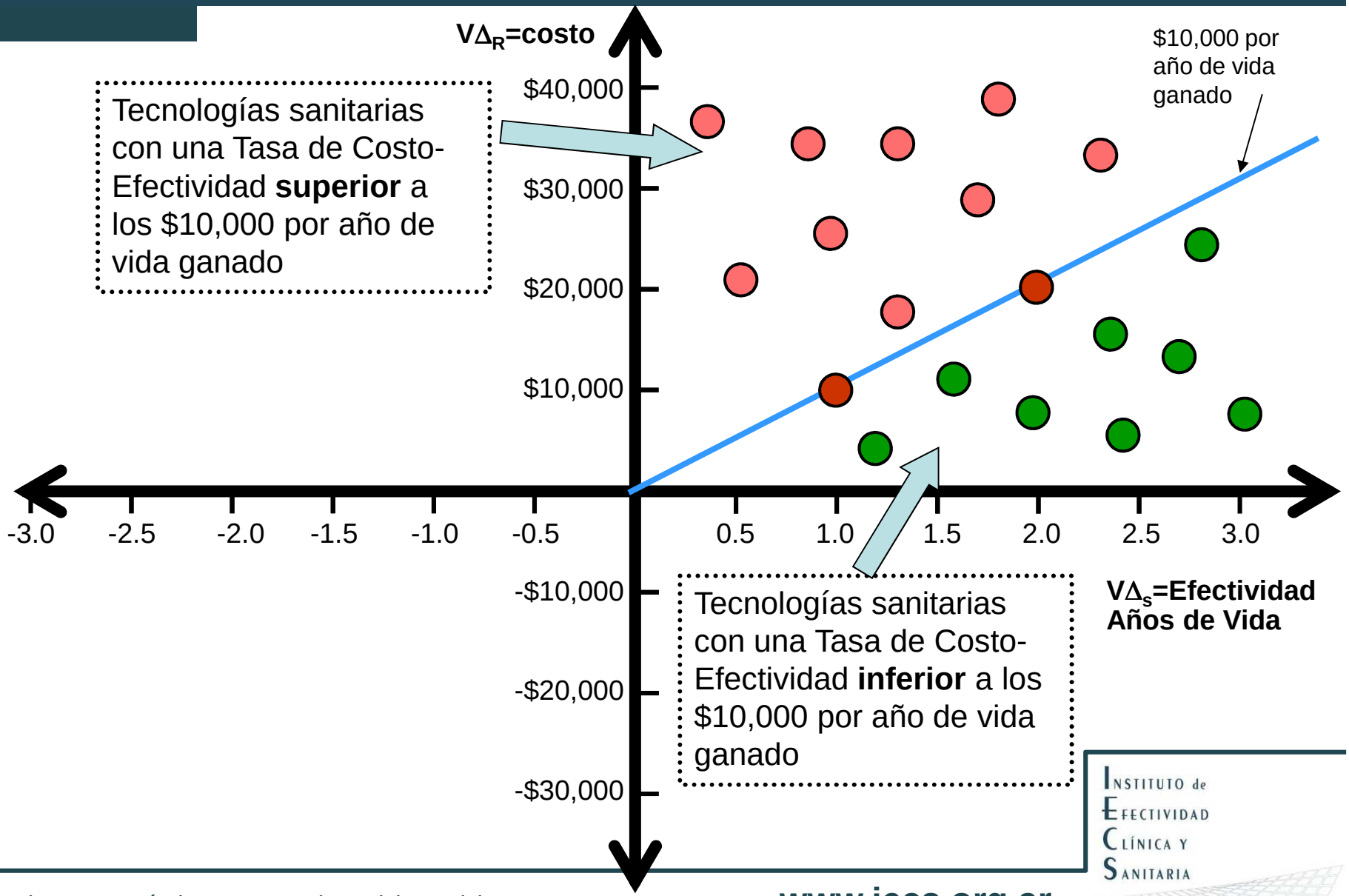
$$C/E = \frac{\text{Diferencia en Costo}}{\text{Diferencia en Efectividad}}$$

$$C/E = \frac{\$10{,}000}{1 \text{ año de vida}}$$

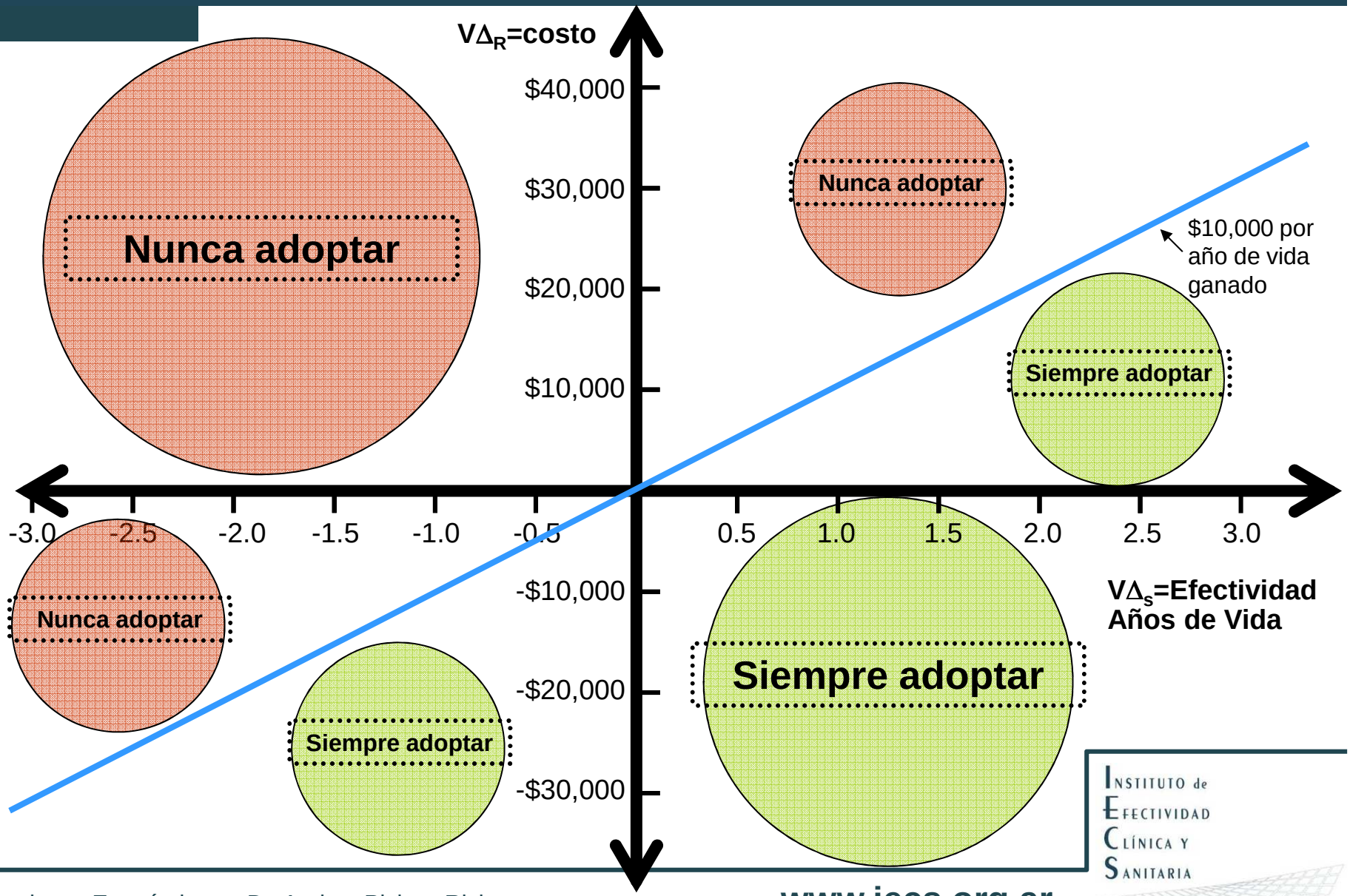
$10,000 por año de vida ganado



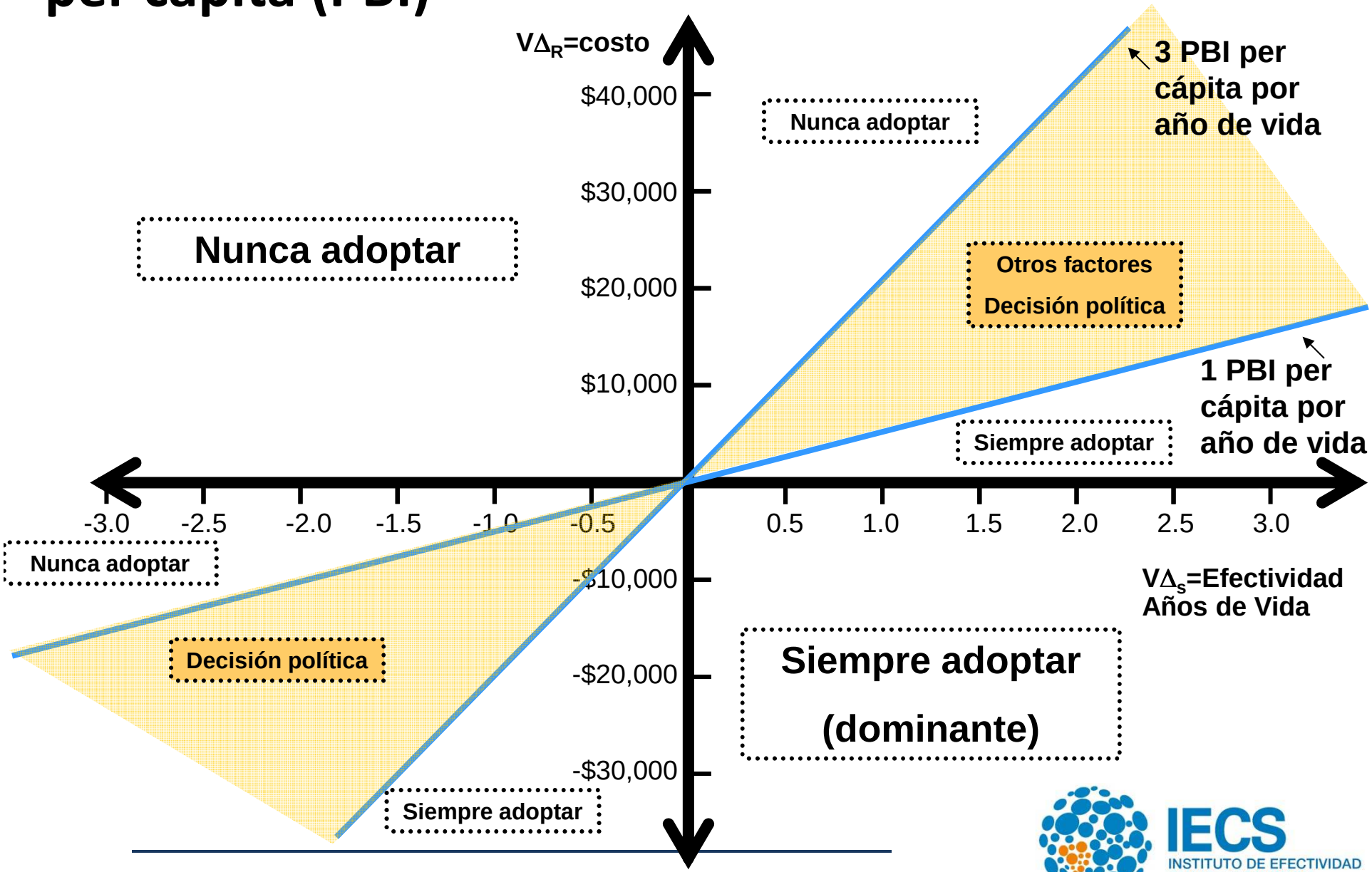
Decidir en el cuadrante superior derecho



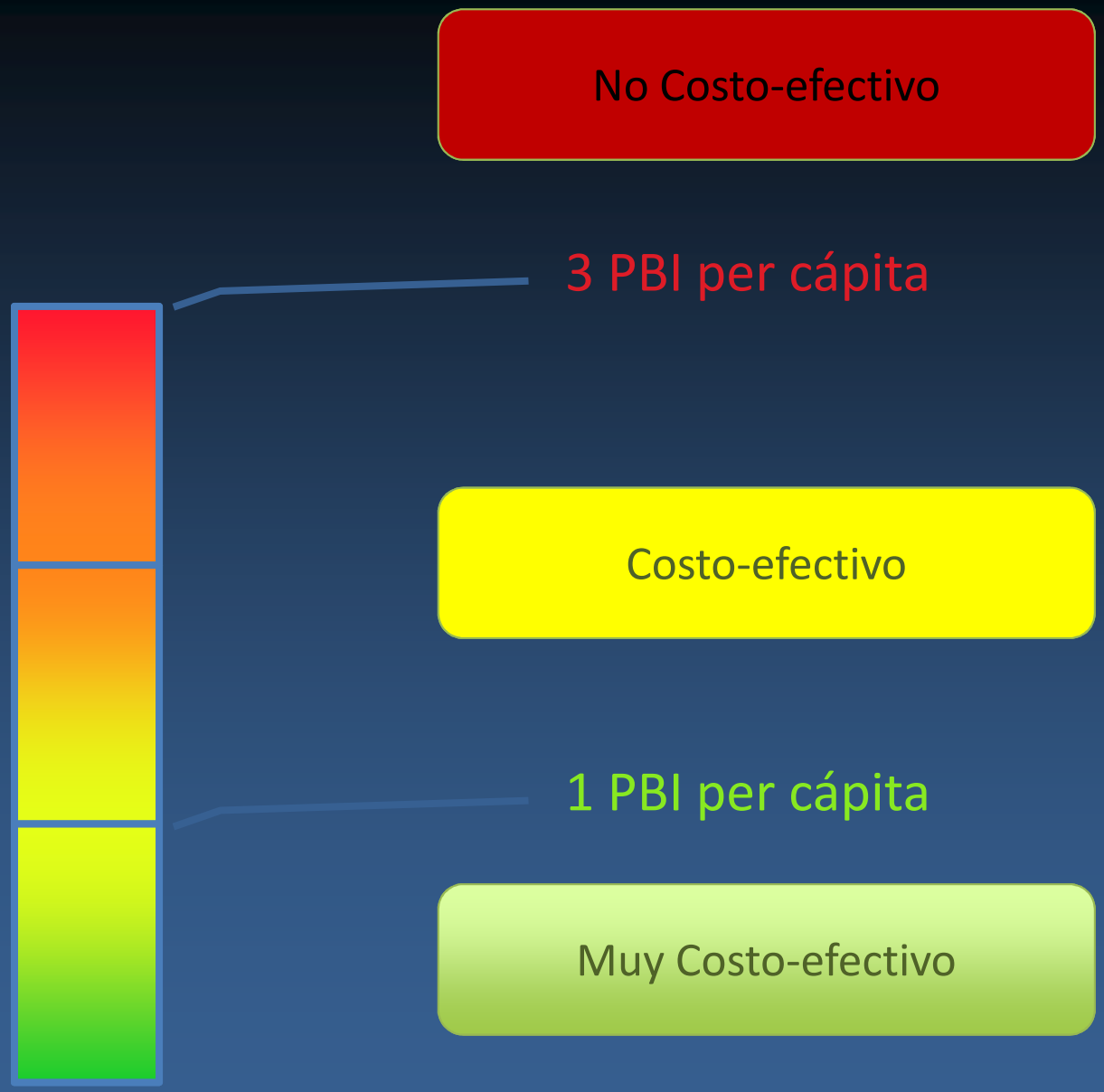
Decisiones


VΔR=costo
$40,000
$30,000
$20,000
$10,000
-$10,000
-$20,000
-$30,000
-3.0
-2.5
-2.0
-1.5
-1.0
-0.5
0.5
1.0
1.5
2.0
2.5
3.0
VΔs=Efectividad
Años de Vida
Nunca adoptar
Nunca adoptar
Nunca adoptar
Siempre adoptar
Siempre adoptar
Siempre adoptar
$10,000 por
año de vida
ganado

Umbrales basados en el Producto Bruto Interno per cápita (PBI)



IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA



Sachs JD. Macroeconomics and Health: Investing in Health for Economic Development.
Report of the Commission on Macroeconomics and Health Geneva: World Health Organization, 2001.

Brasil (desde el año 2011)

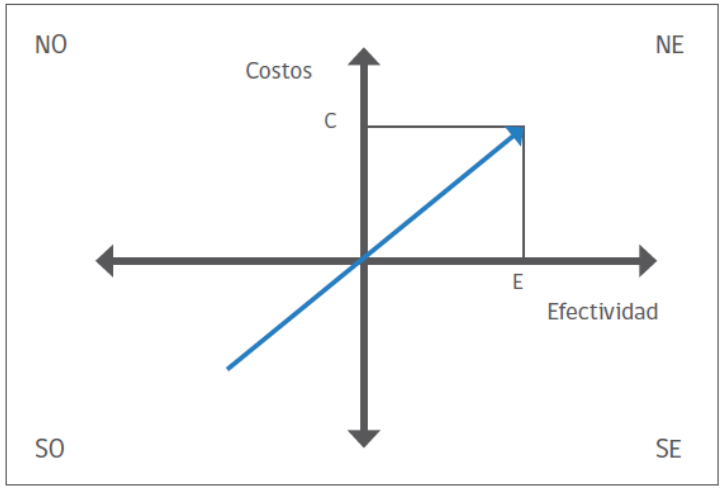
Law 12401 – SUS How the health public system will incorporate new technologies

- Evidence based and Cost effectiveness
- Evaluation of impact on the SUS
- Local facilities: structure, personal, resources
- Clinical protocols of use
- Time set for first decision 180 days
- Pre determined time to incorporate
- Outcomes evaluation
- Public consultation/transparency

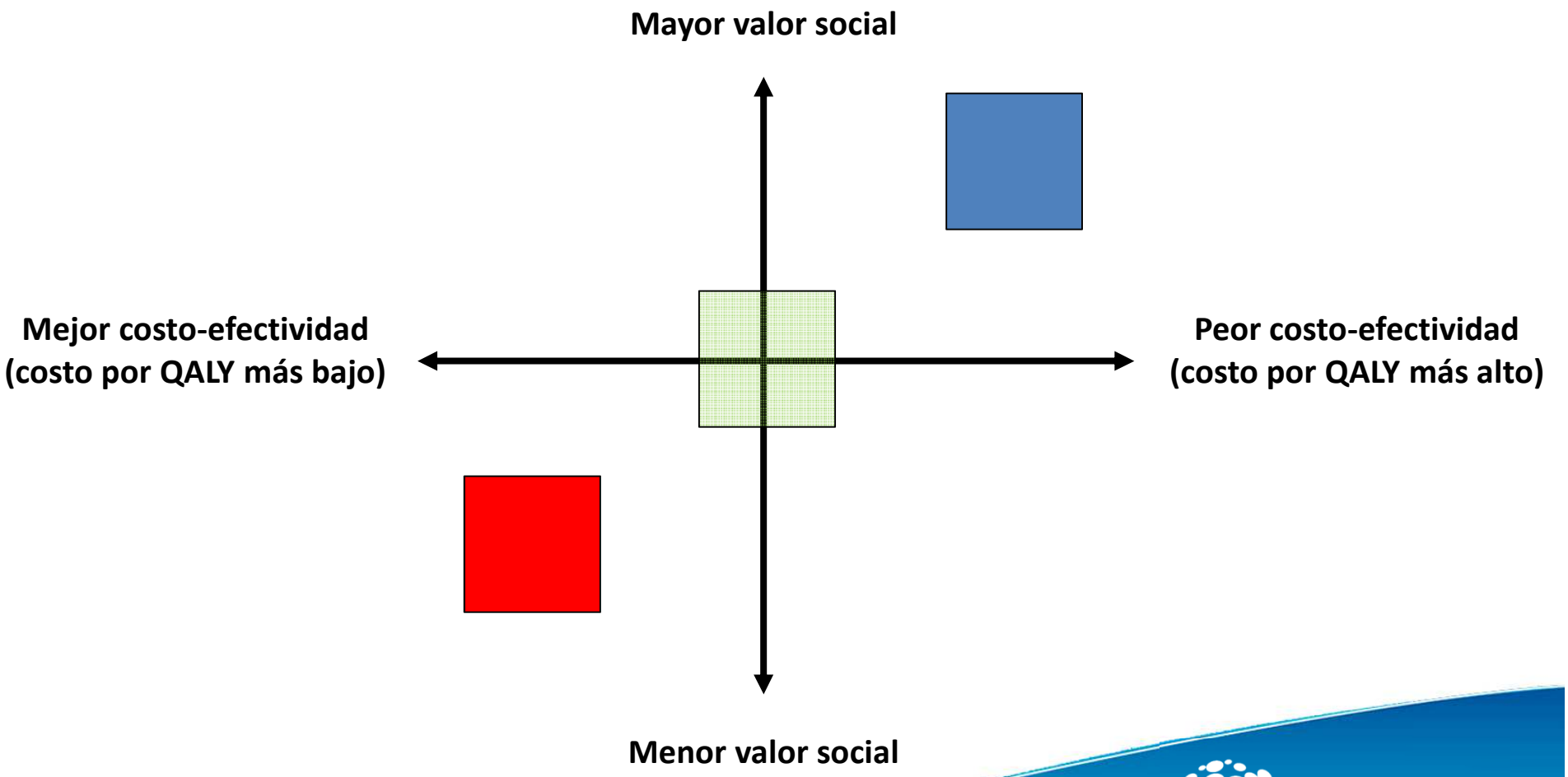
MEXICO
2011 Guías y criterios de "aceptabilidad" para la incorporación de nuevos medicamentos a la cobertura

Tipo de evaluación económica presentada por el "sponsor" de la tecnología	Criterios de "aceptabilidad"
Costo-minimización	La nueva tecnología debe ser costo-ahorrativa
Costo-efectividad y Costo-utilidad	La nueva tecnología debe ser dominante (mas efectiva y menos costosa) O La TCEI (Tasa de Costo-Efectividad Incremental) debe estar por debajo de un PBI per cápita por año de vida ganado O La TCEI debe estar por debajo de un PBI per cápita por año de vida ajustado por calidad (AVAC o QALY)
Costo-beneficio	La tasa interna de retorno debe ser al menos dos puntos superior que la tasa interna de retorno de los certificados del tesoro federal.

CHILE



El uso de umbrales debe tomarse con cautela, debido a la inexistencia de valoraciones locales sobre la disposición a pagar por un QALY ganado o un DALY evitado. La recomendación de la OMS, basada en el Estudio de la Comisión de Macroeconomía y Salud (WHO, 2001), sugiere que una intervención es 'muy costo efectiva' si el costo de prevenir un DALY es igual o inferior a un Producto Interno Bruto (PIB) per cápita y asimismo recomienda considerar como "no costo efectivas" aquellas intervenciones que superen los tres PIB per cápita. Para efectos de esta Guía, y ante la falta de estudios empíricos que develen el costo de oportunidad intrínseco de un DALY prevenido o un QALY ganado en Chile, se ha decidido usar en forma conservadora esta recomendación. Así los investigadores podrán calificar como "potencialmente costo efectiva" sólo aquellas intervenciones que cuesten hasta un PIB per cápita (por DALY prevenida o QALY ganada).



IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD
CLINICA Y SANITARIA

El costo por QALY no es el único factor

- En el año 2008, luego de una profunda evaluación, el NICE recomienda no dar cobertura a 4 nuevas drogas para el cáncer renal: sunitinib, sorafenib, bevacizumab y temsirolimus
- El principal motivo era que las drogas no eran costo-efectivas (Sunitinib *£71,462/QALY, B*evacizumab *£171,301QALY, T*emsirolimus *£94,385/QALY)*
- La decisión causó un gran impacto ya que estas drogas estaban disponibles en otros países para pacientes en quienes no hay otros tratamientos posibles

Otros factores que son considerados

- Ausencia de tratamientos alternativos.
- Gravedad de la condición.
- Posibilidad de pago de bolsillo.
- Impacto financiero total para el gobierno.
- Equidad.

Modificaciones en la política de NICE

En los casos en los que el tratamiento:

- Es para una pequeña población de pacientes con una expectativa de vida menor a 24 meses;
- Es el único disponible ya que no existen terapias equivalentes;
- Logra aumentar en tres meses o más la expectativa de vida.

Entonces:

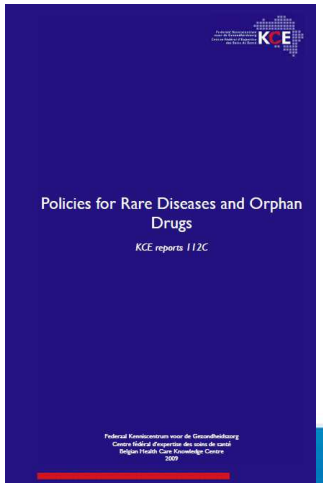
- Los QALYs ganados tienen que asumirse como en plena salud (QALY=1);
- Además se puede considerar que los QALYs ganados sean valorados suficientemente altos (valor superior a 1) de forma que el tratamiento resulte costo-efectivo de acuerdo a los umbrales actuales de NICE.

Enfermedades Huérfanas

Argentina: Ley 26.689 - Prevalencia nacional menor a 1/2000

Table 1: Definitions of rare diseases based on prevalence

Country	Rare diseases Prevalence on 100,000	Source
US	66[a]	Orphan Drug Act 1983
EU	50	Regulation EC n° 141/2000
Japan	40	Orphan Drug Act 1993
Australia	11	Orphan Drug Program 1997
SE	10	Swedish National Board of Health and Welfare
FR	50	Regulation EC n° 141/2000
NL	50	Regulation EC n° 141/2000
WHO	65	WHO



IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

Conclusiones

De no actuar rápidamente seguiremos observando cómo se agrava día a día la inequidad en nuestros sistemas de salud, con unos pocos accediendo a costosas tecnologías, quizás de efectividad limitada o nula, al mismo tiempo que la mayor parte de la población no puede acceder a cuidados básicos y altamente costo-efectivos.

Muchas gracias !

Contacto:

Andres Pichon-Riviere apichon@iecs.org.ar