Jornada sobre Enfermedades Catastróficas en el Sector Público

Enfermedades Catastróficas
Propuestas de abordaje

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

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.

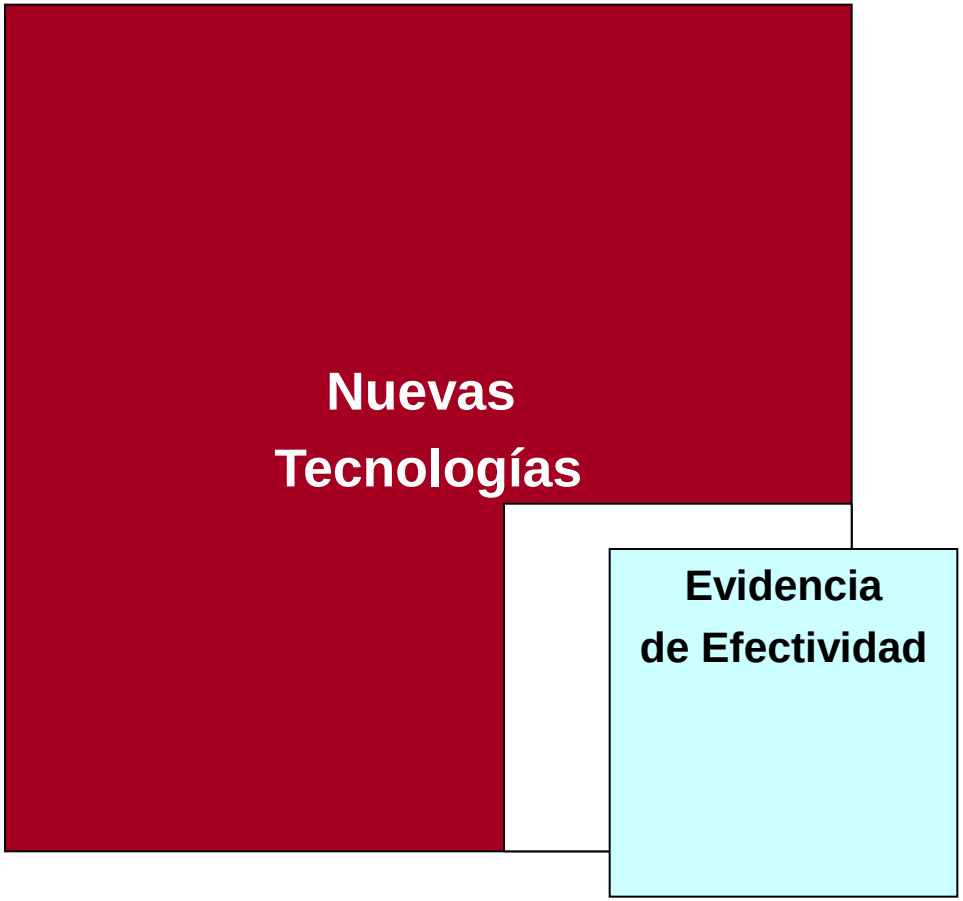
Pacientes: sienten que en muchos casos el acceso al tratamiento está restringido

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

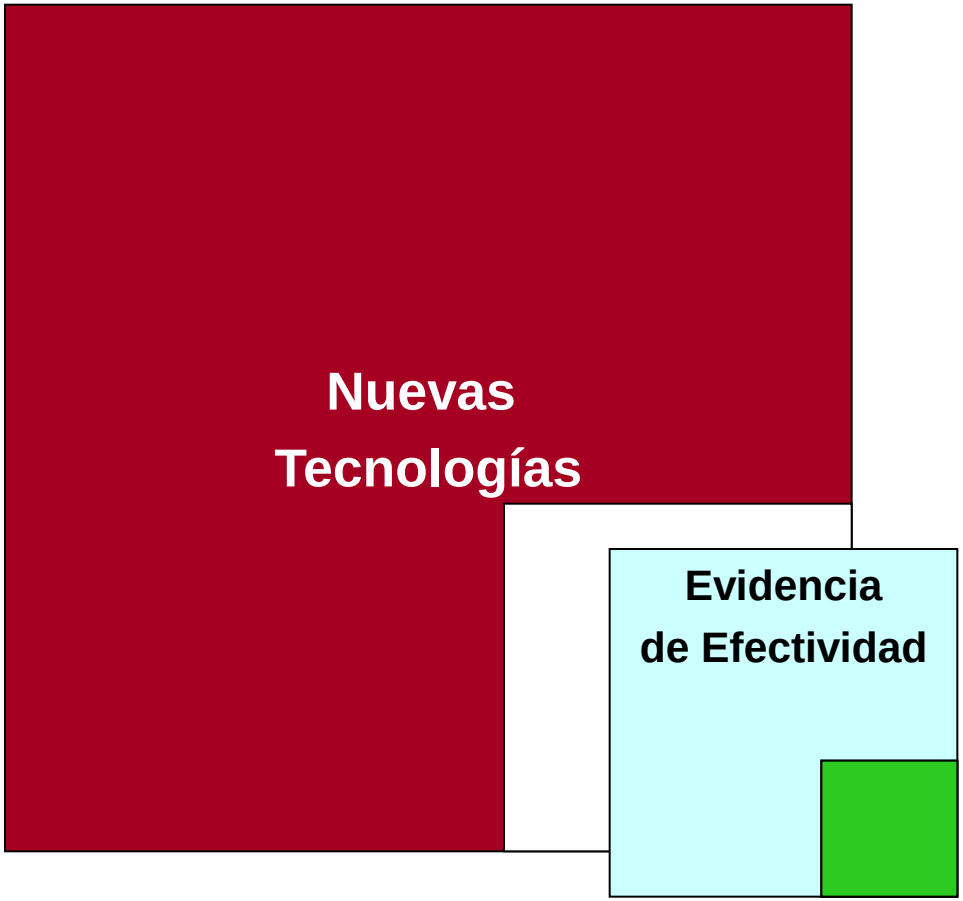
¿Por qué Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) y Evaluaciones Económicas (EE)?



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

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

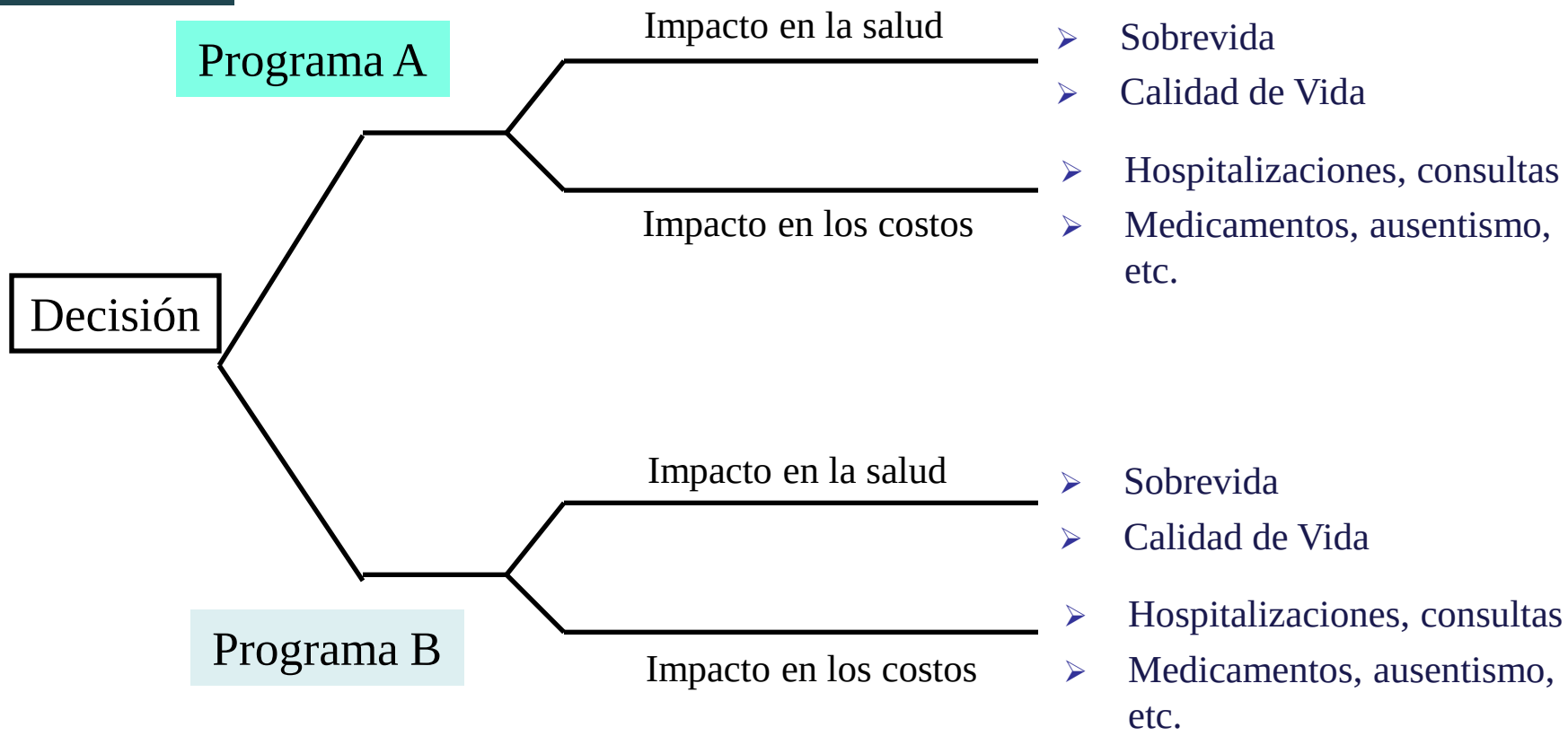
¿Por qué Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) y Evaluaciones Económicas (EE)?



Consideradas Costo-efectivas y que pueden ser cubiertas

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD CLINICA Y SANITARIA

Evaluaciones económicas



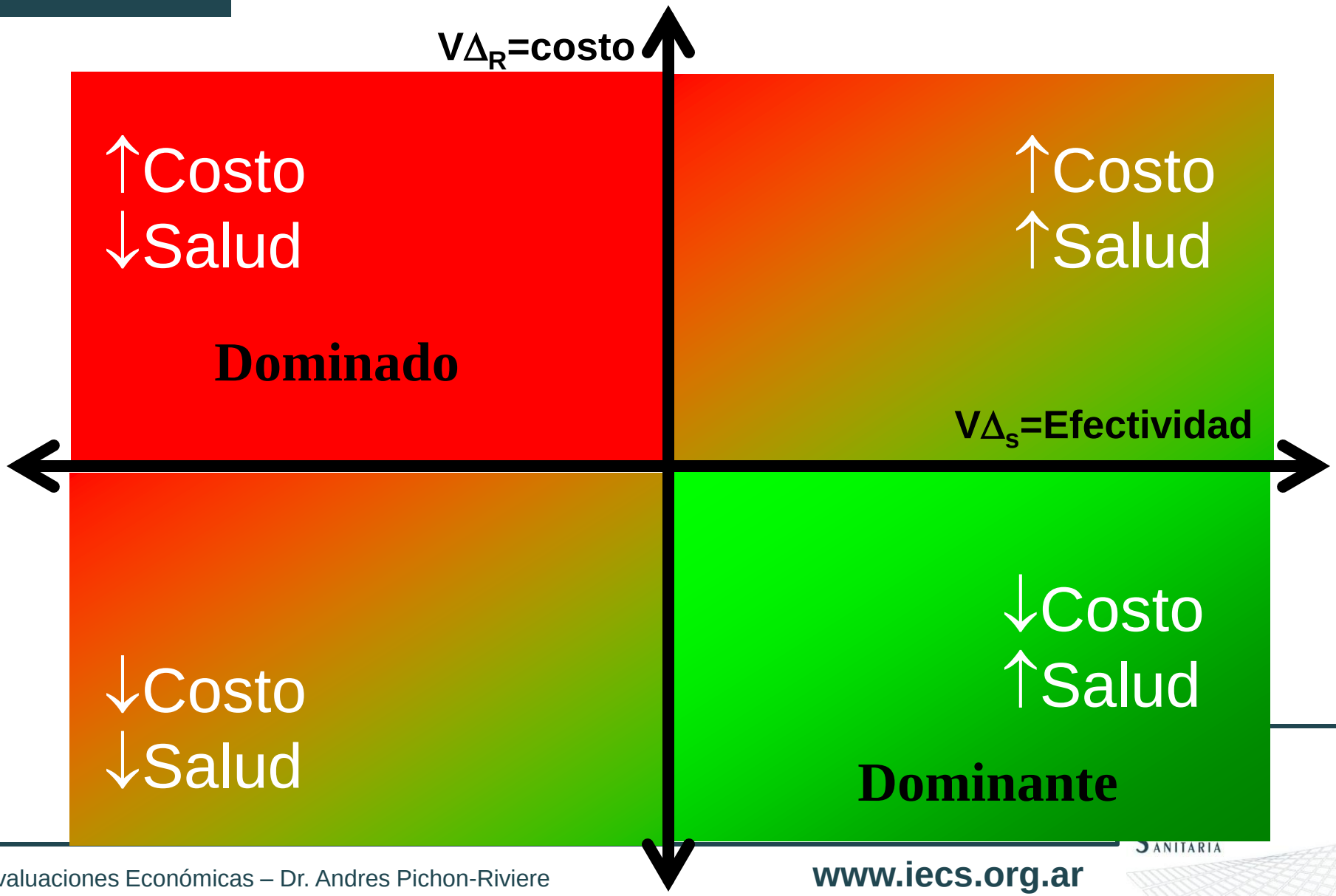
Y se mide cuál es el **costo** marginal en relación al **beneficio** marginal de una alternativa vs. la otra…

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

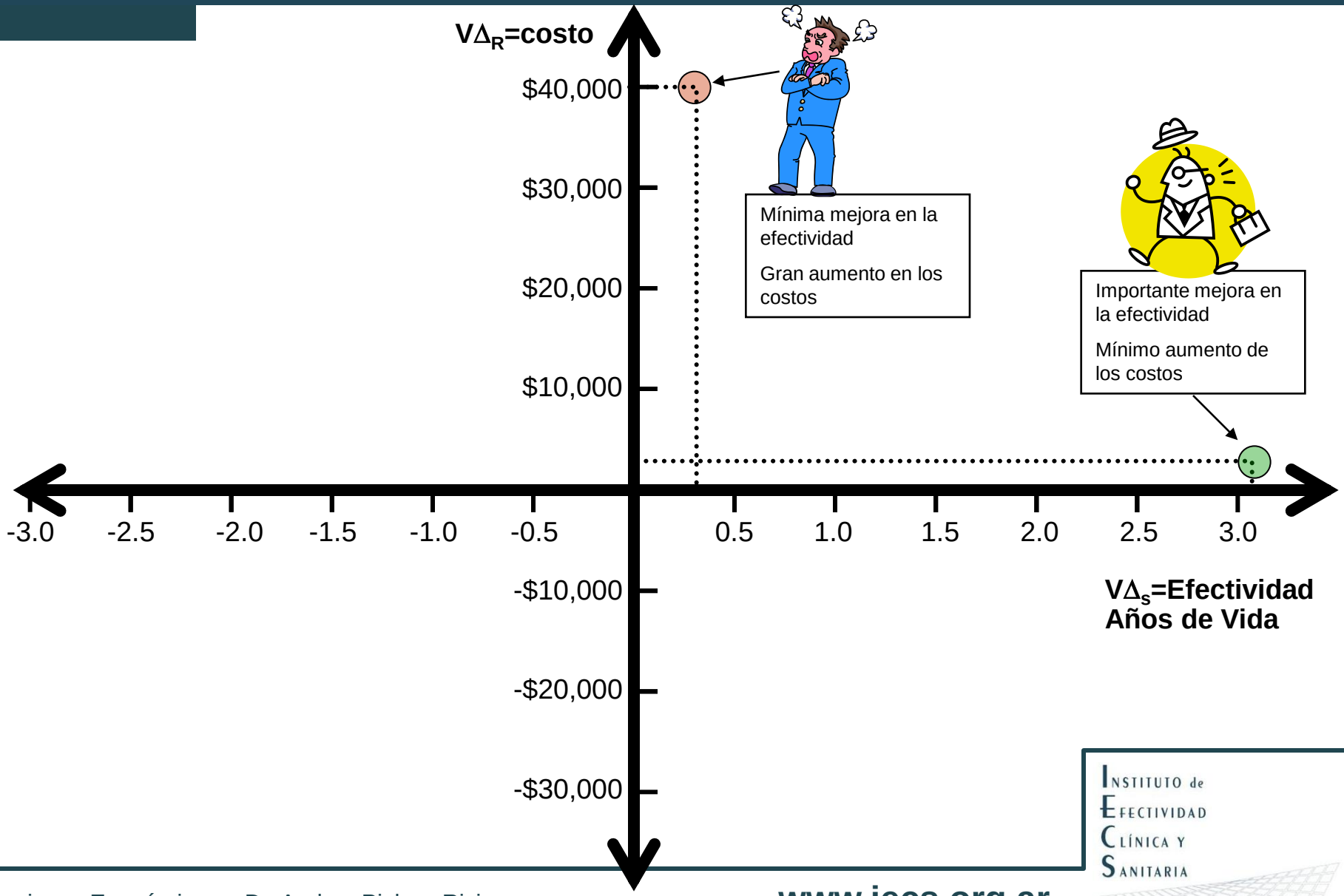
— =

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

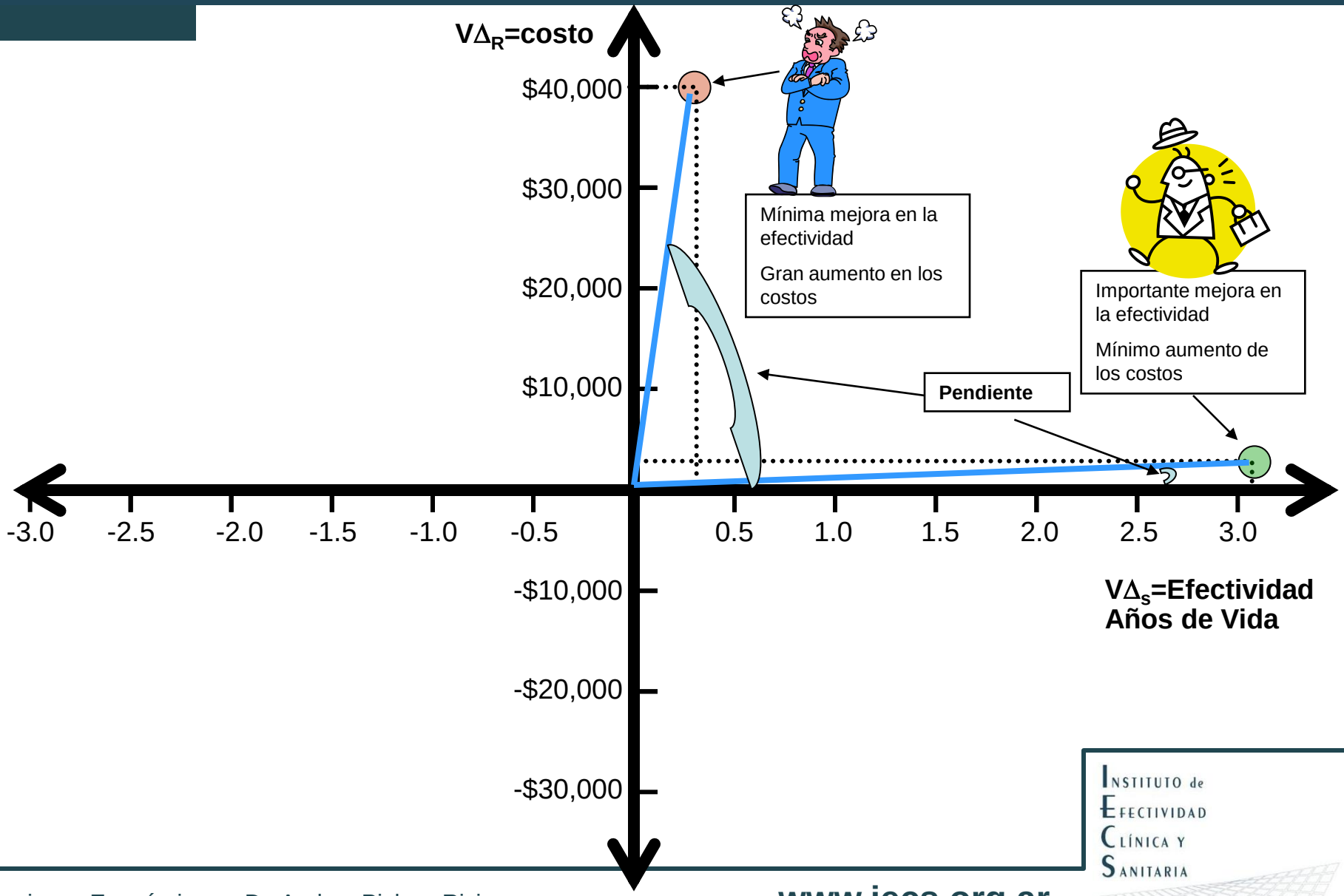
Resultados de las EE: Plano de costo-efectividad



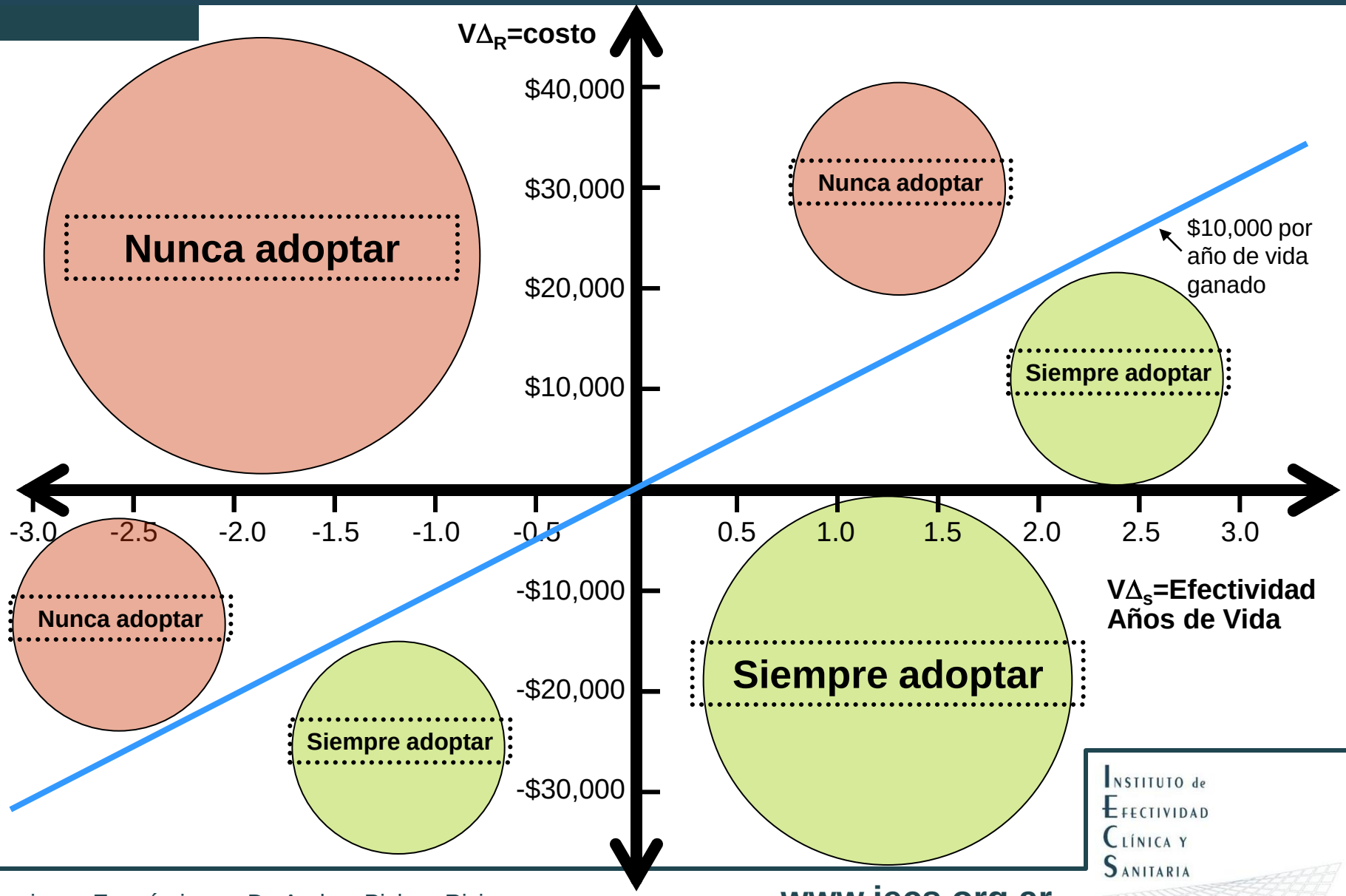
Plano de la costo efectividad



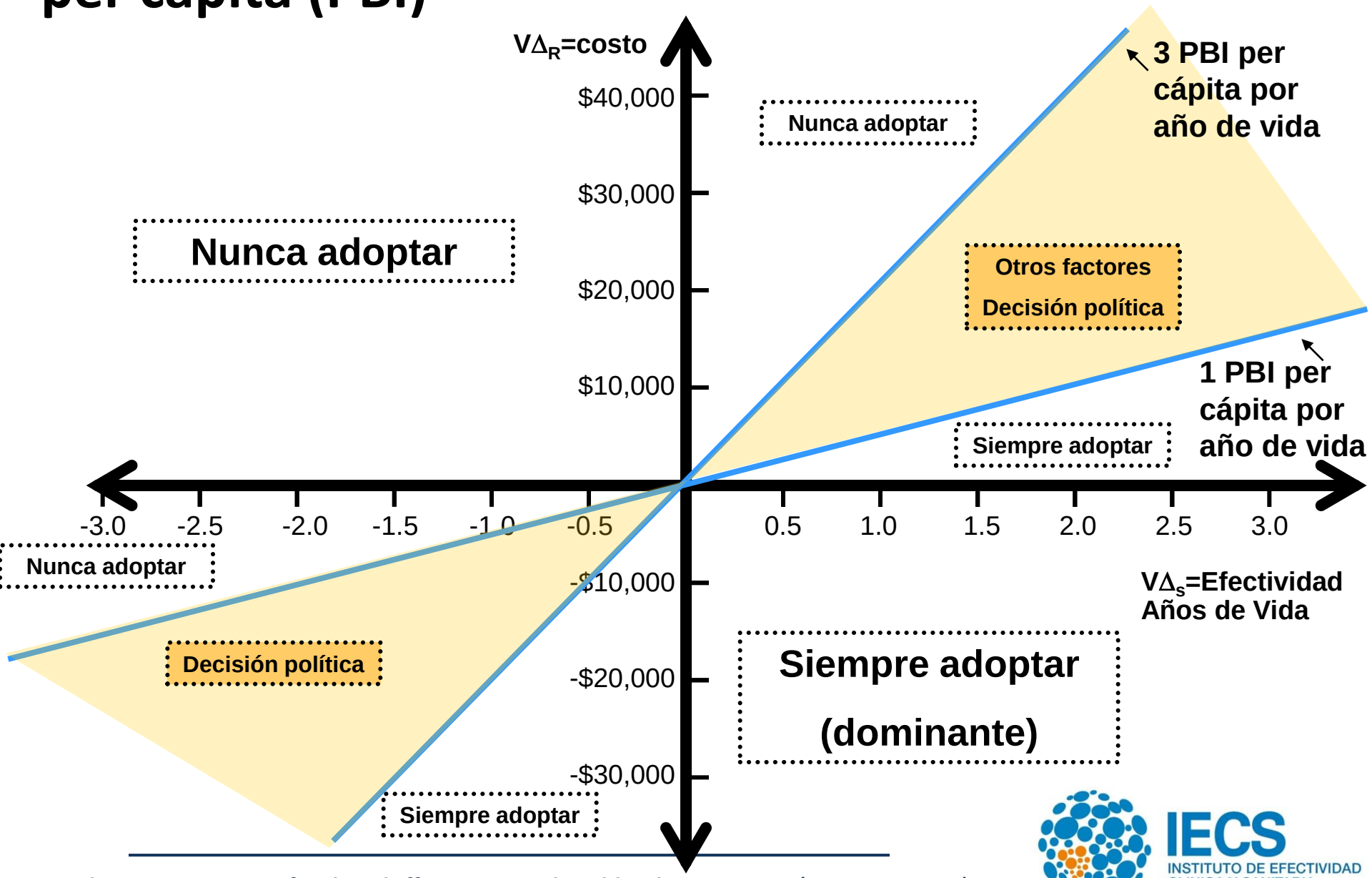
¿Decisión?


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

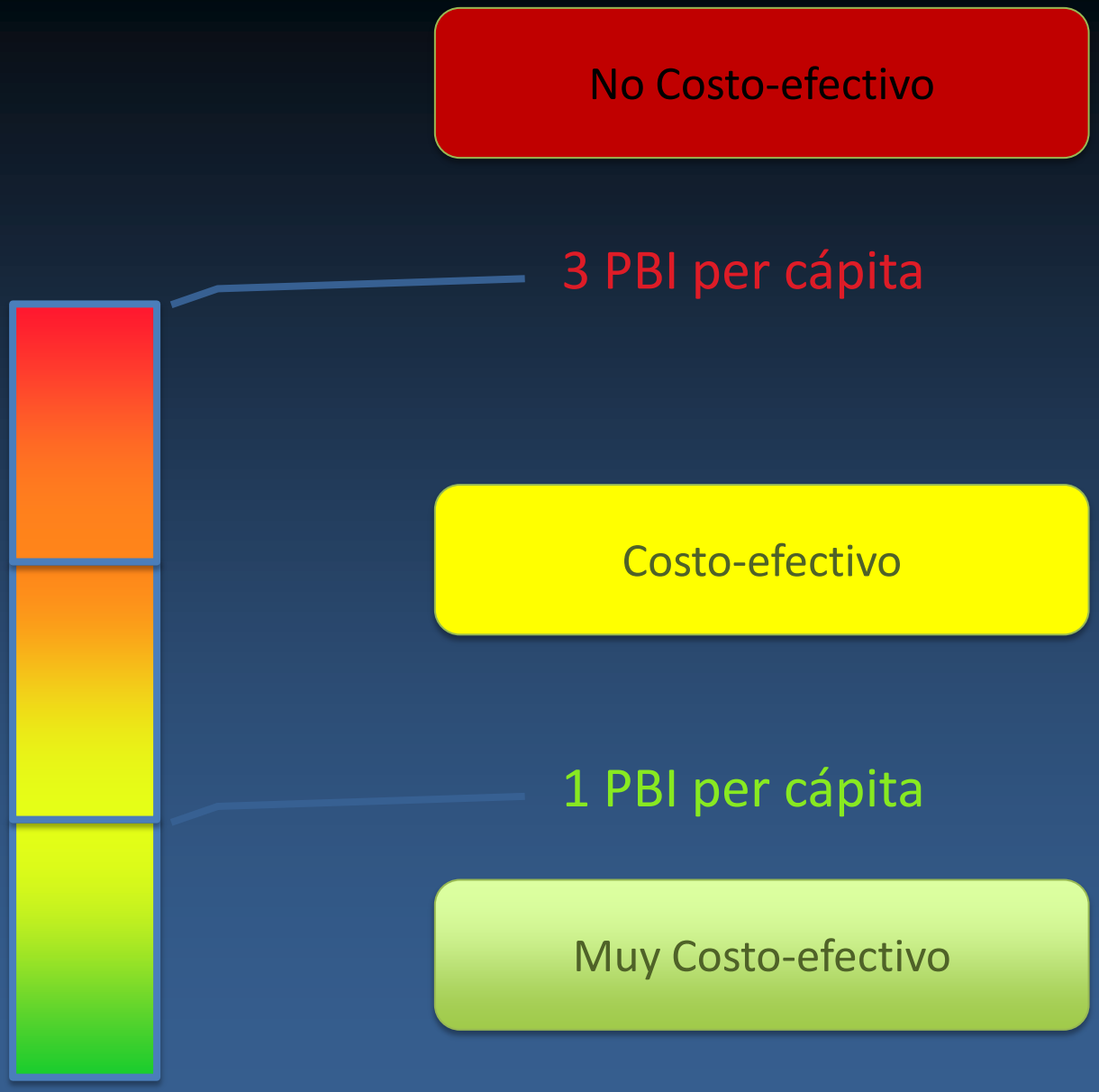
Decisiones


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

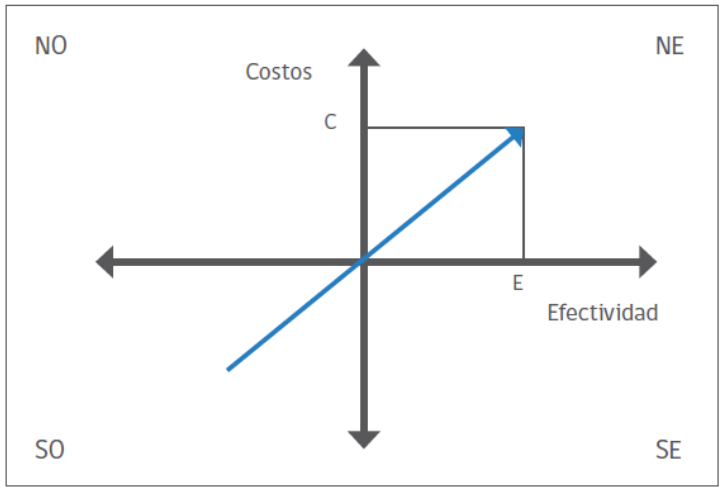
- Evidence based and Cost effectiveness
- Evaluation of impact on the SUS
- Local facilities: structure, personal, resources
- Clinical protocols of use
- Time set for first decision 180 days
- Pre determined time to incorporate
- Outcomes evaluation
- Public consultation/transparency

MEXICO

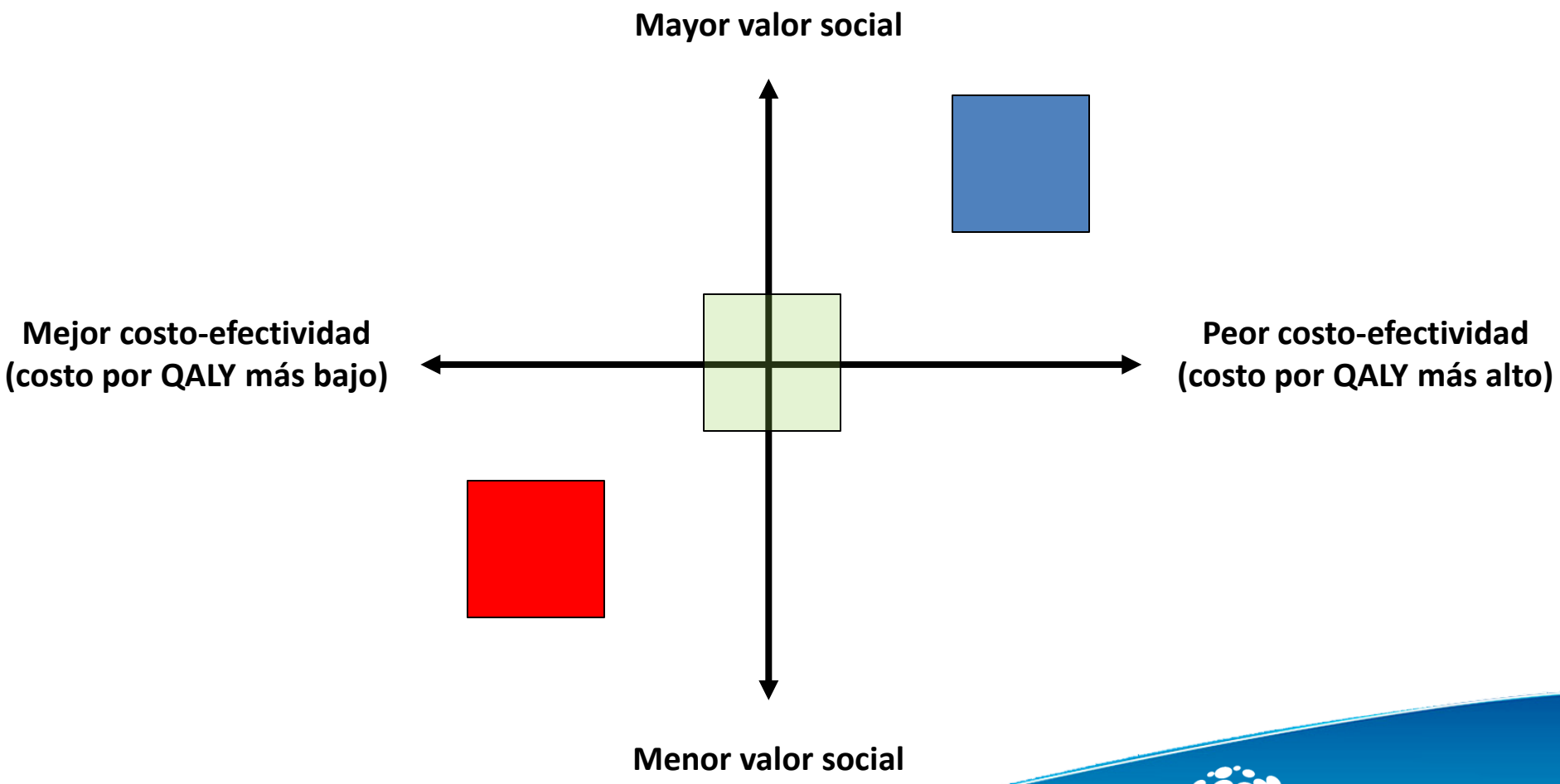
2011 Guías y criterios de "aceptabilidad" para la incorporación de nuevos medicamentos a la cobertura

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:

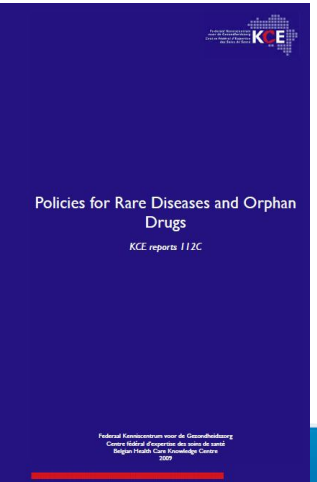
- Los QALYs ganados tienen que asumirse como en plena salud (QALY=1);
- Además se puede considerar que los QALYs ganados sean valorados suficientemente altos (valor superior a 1) de forma que el tratamiento resulte costo-efectivo de acuerdo a los umbrales actuales de NICE.

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

VALUE IN HEALTH 15 (2012) 982–986

Available online at www.sciencedirect.com

SciVerse ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval

POLICY PERSPECTIVES

An Evaluation Framework for Funding Drugs for Rare Diseases

Eric Winquist, MD, MSc[1,], Chaim M. Bell, MD, PhD[2,3], Joe T.R. Clarke, MD[4,5], Gerald Evans, MD[6], Janet Martin, PharmD, MSc[1], Mona Sabharwal, PharmD[7], Anita Gadhok, BScPharm, MBA[7], Helen Stevenson, BComm, MSM[7], Doug Coyle, PhD[8]*

[1]*London Health Sciences Centre and Schulich School of Medicine & Dentistry, Western University, London, ON, Canada;* [2]*Keenan Research Centre, Li Ka Shing Knowledge Institute, St. Michael's Hospital, Toronto, ON, Canada;* [3]*Departments of Medicine and Health Policy Management and Evaluation, University of Toronto, Toronto, ON, Canada;* [4]*Hospital for Sick Children, Toronto, ON, Canada;* [5]*Centre Hospitalier Universitaire, Sherbrooke, QC, Canada;* [6]*Kingston General Hospital and School of Medicine, Queen's University, Kingston, ON, Canada;* [7]*Ontario Public Drug Programs, Ontario Ministry of Health and Long-term Care, Toronto, ON, Canada;* [8]*University of Ottawa, Ottawa, ON, Canada*

ABSTRACT

Objectives: For rare diseases it may be difficult to generate data from randomized trials to support funding of a drug. Enzyme replacement therapies for diseases of inherited metabolic enzyme deficiency provide an example of this dilemma. The Ontario Public Drug Programs convened the Drugs for Rare Diseases Working Group to develop a policy for assessing these drugs. **Methods:** The Drugs for Rare Diseases Working Group developed terms of reference expecting that the ideal policy product would be transparent and consistent and address unique aspects of the treatment of a specific rare condition while being adaptable to other dissimilar conditions. The perspective was that of a public payer addressing requests for funding generated for a specific drug, and included respect for the principles of "accountability for reasonableness" of Daniels and Sabin. **Results:** A seven-step framework was developed and tested by using the case study of idursulfase for mucopolysaccharidosis II (Hunter disease). Estimation of clinical effectiveness was done by using decision modeling. The model developed informed funding recommendations and ultimately led to an agreement with the manufacturer allowing funding of idursulfase in Ontario. **Conclusions:** This policy framework attempts to address the policy challenges of funding drugs for rare diseases. The framework will be used to assess other drugs in future and will inevitably require modification with experience. It is hoped that it may be of value to other policymakers.

Keywords: cost-effectiveness, drug reimbursement, health policy, glycogen storage disease, mucopolysaccharidosis.

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

ELSEVIER

Available online at www.sciencedirect.com

SciVerse ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval

POLICY PERSPECTIVES

Challenges in the Development and Reimbursement of Personalized Medicine—Payer and Manufacturer Perspectives and Implications for Health Economics and Outcomes Research: A Report of the ISPOR Personalized Medicine Special Interest Group

Eric Faulkner, MPH[1,2,3,4,], Lieven Annemans, PhD, MSc[5], Lou Garrison, PhD[6], Mark Helfand, MD, MPH[7], Anke-Peggy Holtorf, PhD, MBA[8], John Hornberger, MD, MS[9,10], Dyfrig Hughes, PhD, MRPharmS[11], Tracy Li, PhD[12], Daniel Malone, PhD[13], Katherine Payne, PhD[14], Uwe Siebert, MD, MPH, MSc, ScD[15,16,17], Adrian Towse, MA[18], David Veenstra, PhD, PharmD[6], John Watkins, PharmD, MPH, BCPS[19], for Personalized Medicine Development and Reimbursement Working Group*

[1]Quintiles Global Consulting, Durham, NC, USA; [2]RTI Health Solutions, RTP, NC, USA; [3]National Association of Managed Care Physicians, Glen Allen, VA, USA; [4]University of North Carolina at Chapel Hill, Chapel Hill, NC, USA; [5]Ghent University, Ghent, Belgium; [6]University of Washington, Seattle, WA, USA; [7]Oregon Health Sciences University, Portland, OR, USA; [8]Health Outcomes Strategies, Basel, Switzerland; [9]Cedar Associates, Menlo Park, CA, USA; [10]Stanford University, Palo Alto, CA, USA; [11]Bangor University, Bangor, UK; [12]Daiichi Sankyo, Princeton, NJ, USA; [13]University of Arizona, Tucson, AZ, USA; [14]University of Manchester, Manchester, UK; [15]UMIT - University for Health Sciences, Medical Informatics, and Technology, Hall i. Tirol, Austria; [16]Harvard School of Public Health and Harvard Medical School, Boston, MA, USA; [17]ONCOTYROL Center for Personalized Cancer Medicine, Inssbruck, Austria; [18]Office of Health Economics, London, UK; [19]Premera Blue Cross, Mountlake Terrace, WA, USA

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

IECS
INSTITUTO DE EFECTIVIDAD
CLINICA Y SANITARIA