



Garantizando el acceso a fármacos en Catalunya: retos y oportunidades

Montse Gasol

División Usos Racional del Medicamento

CatSalut

Organizado por:



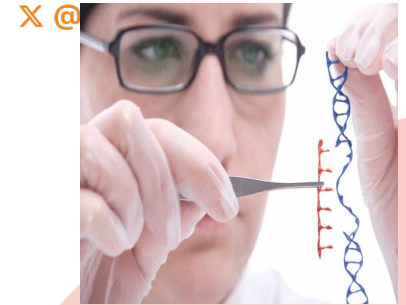
Índice

✕ @GuardConsortium

- Innovación: Retos y objetivos
- Evaluación y más...Programa de armonización farmacoterapéutica
- Veamos ejemplos
- Conclusiones

Lo bueno...

- Inmunoterapias
- AC. monoclonales en patologías crónicas
- Terapias dirigidas
- Oligonucleótidos antisentido
- Terapias génicas, tisulares, celulares
- Edición génica (CRISP/CAS9)



Clinical Trials

1,052 Clinical Trials
Underway Worldwide by End of Q3 2019

Ph. I: 363 • Ph. II: 594 • Ph. III: 95

Number of Clinical Trials Utilizing Specific RM/AT Technology: Q3 2019



GENE THERAPY

Total: 370
Ph. I: 115
Ph. II: 223
Ph. III: 32



GENE-MODIFIED CELL THERAPY

Total: 418
Ph. I: 201
Ph. II: 201
Ph. III: 16



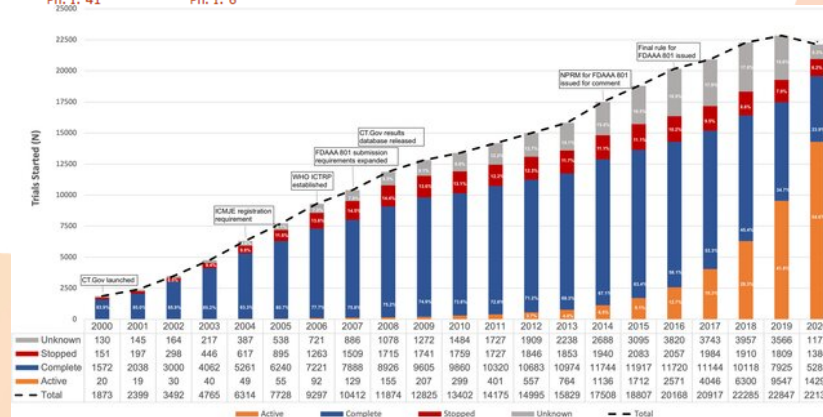
CELL THERAPY

Total: 218
Ph. I: 41



TISSUE ENGINEERING

Total: 46
Ph. I: 6



INVESTIGACIÓN

La CE aprueba la primera terapia génica con CRISPR/Cas9 para la ECF y la beta talasemia

Más de 8.000 pacientes a partir de los 12 años con estas patologías podrían optar a este tratamiento

Por *Gaceta Médica* - 13 febrero 2024

Lo malo...

✕ @GuardConsortium

Gene therapies
approved until May
2021

85.74%

- Non-controlled studies / Historical controls

78.57%

- Single-arm study

85.71%

- Not randomized studies

100%

- Open label (non blinded studies)

85.71%

- Intermediate endpoints

Median population enrolled – **n=22**

Mean time for the main phase trial: **11,5 months**

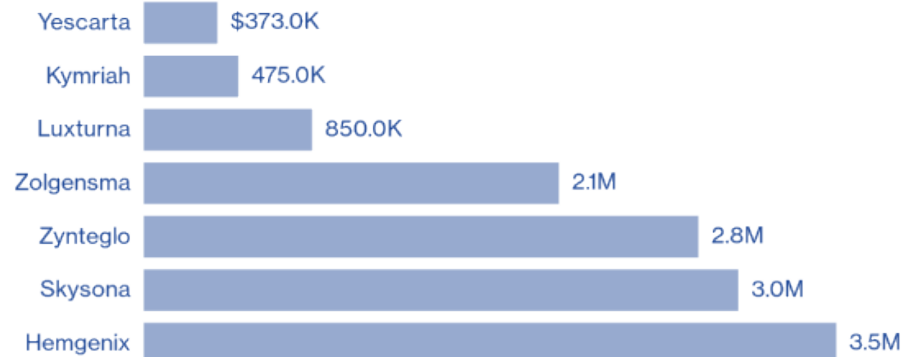
Lo feo...



Prices of FDA-Approved Gene Therapies

Hemgenix cost surpasses previous record

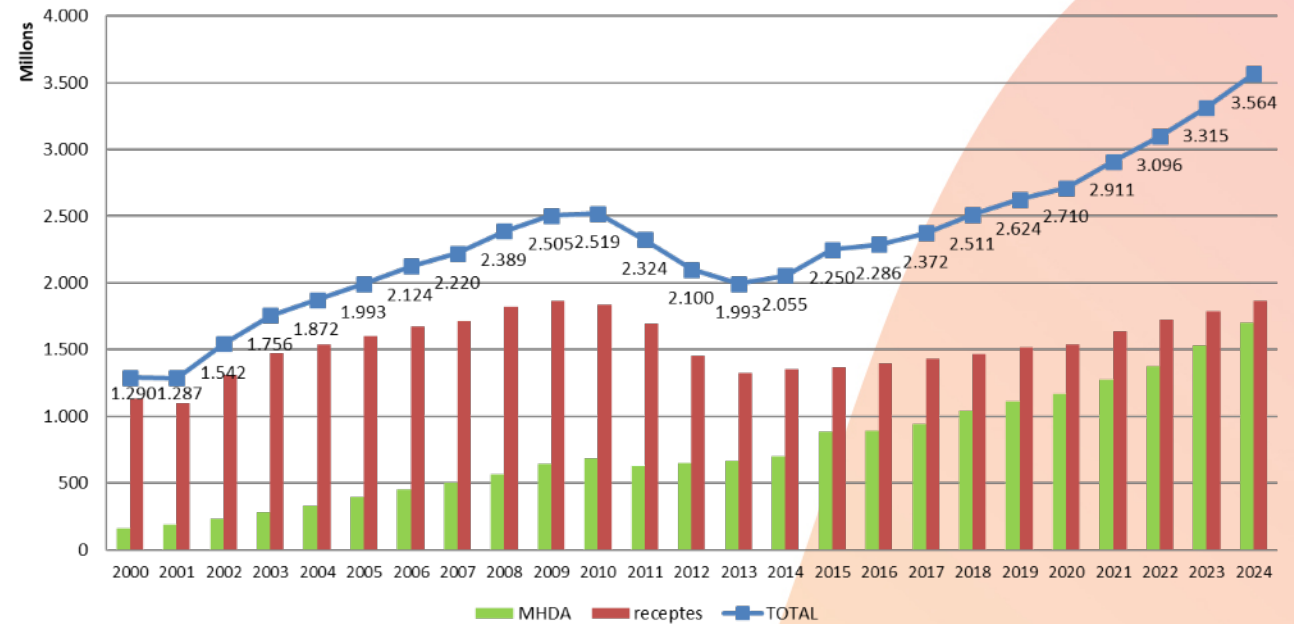
■ Cost Per Dose or Course



Sources: Novartis AG; Gilead Sciences, Inc.; Spark Therapeutics; Bluebird Bio Inc.; CSL Behring

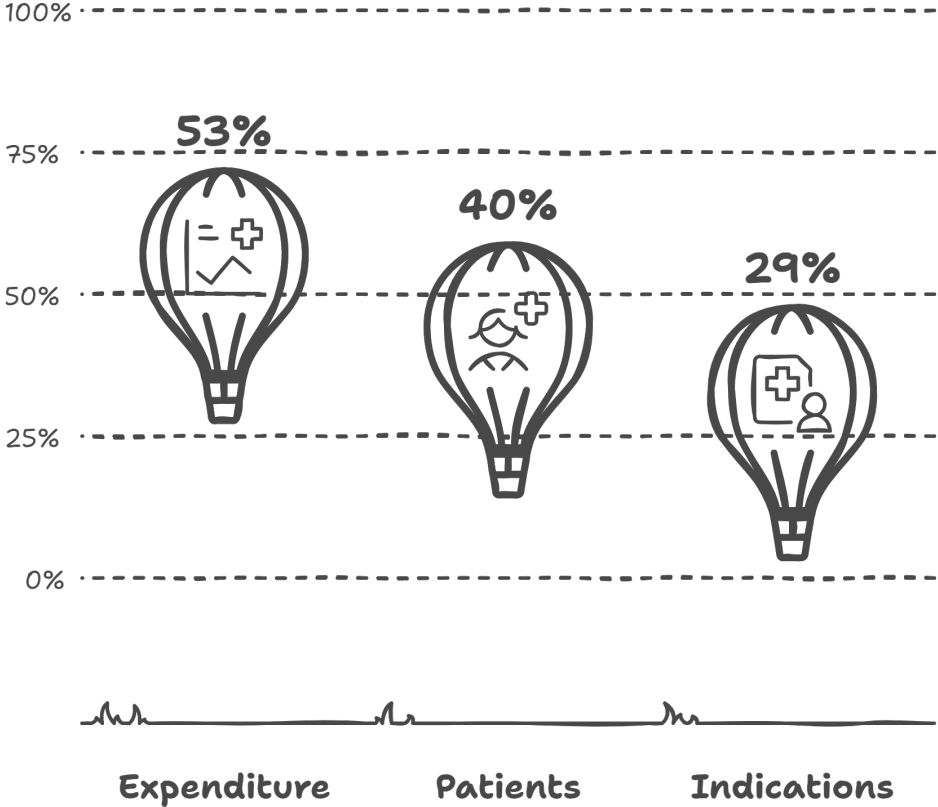
Note: The FDA approved Skysona under the accelerated pathway, under the condition Bluebird will provide long-term data confirming the treatment's benefit.

Bloomberg Law



Se espera la aprobación de > 60 terapias génicas hacia 2030, todas ellas con un coste de > 1M€

Gasto por diagnóstico 2024 de nuevas indicaciones 22-24

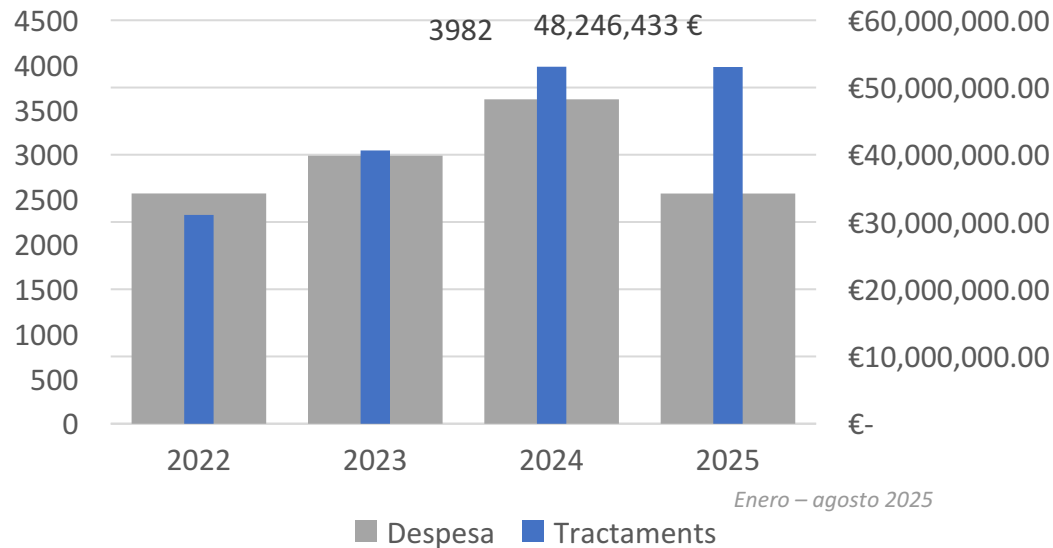


Diagnosis	Expenditure	Patients	Indications
1 Breast cancer	21,9M €	2383	12
2 Multiple myeloma	21,4M €	2555	10
3 Hemolytic anemia	12,1M €	85	3
4 Multiple sclerosis	9,7M €	1445	7
5 Lung & resp. cancer	9,7M €	1540	5
6 Bladder & uro. cancer	9,0M €	1263	5
7 Spinal muscular atrophy	8M €	69	1
8 Leukemia	7,1M €	558	11
9 Amyloidosis	7,1M €	310	1
10 Lymphoma	6,6M €	191	6

Innovación próstata, urotelial, renal

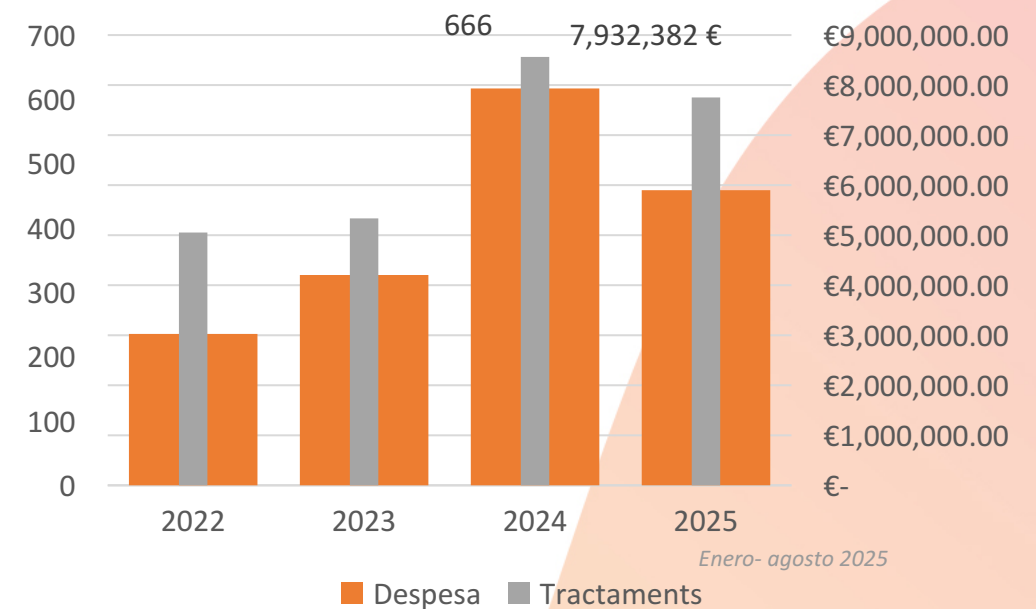
Próstata

27.000 €/pacient



Urotelial

18.000 €/pacient



Renal

35.000 €/paciente

Retos

Radiofármacos →
redimensionamiento
Medicina Nuclear

Impacto
combinaciones

Adyuvancia

Secuencia
tratamientos CP ?

Nuevas dianas
terapéuticas

Retos y objetivos introducción innovación terapéutica

✕ @GuardConsortium

**Garantizar acceso
a soluciones efectivas**

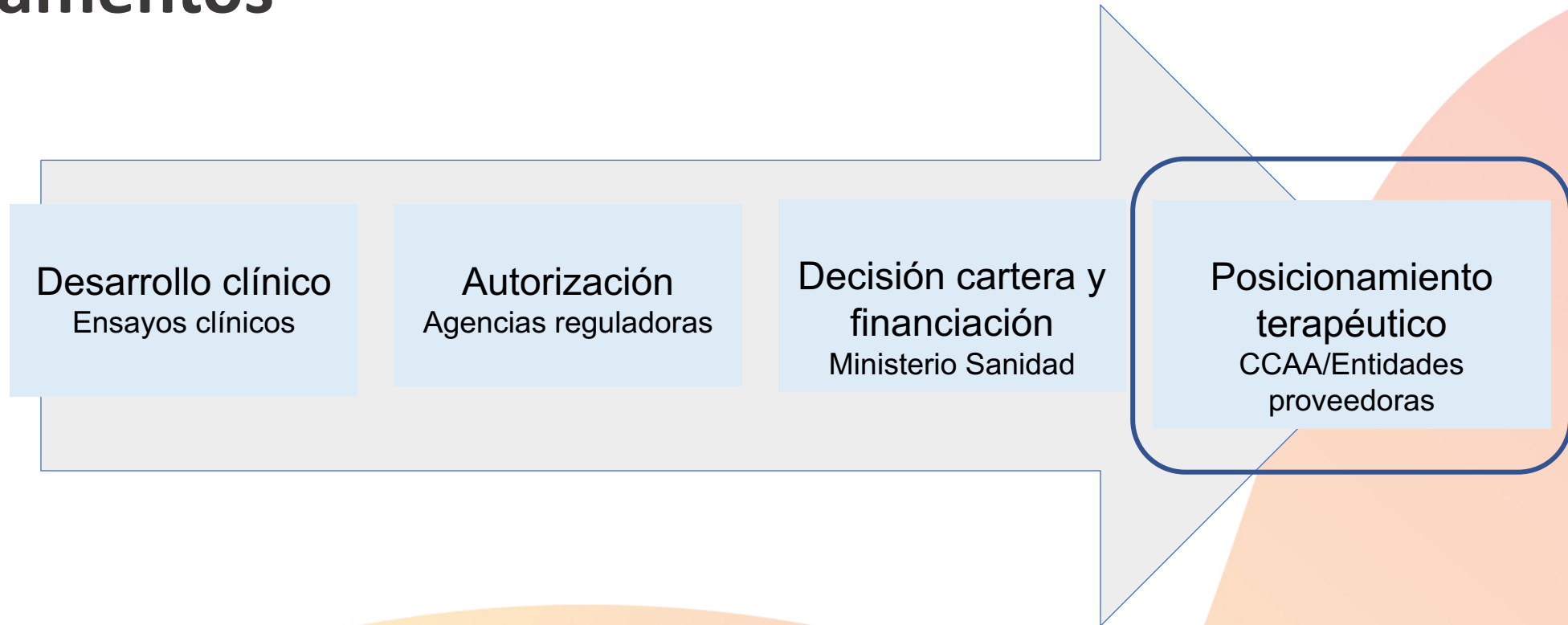
**Sostenibilidad sistemas
públicos salud**

**Compensación esfuerzo
innovador**



Procedimiento y fases en introducción de medicamentos

✕ @GuardConsortium



Gestión del medicamento en el ámbito del SISCAT

- ✓ Centrado en las necesidades de los pacientes/ciudadanos
- ✓ Fomentar el uso seguro, eficaz y eficiente de los medicamentos
- ✓ Optimizar los resultados en salud
- ✓ Asegurar la equidad en el acceso
- ✓ Garantizar la sostenibilidad y viabilidad
- ✓ Promover un sistema participativo de los diferentes agentes del sector

Obtener los mejores resultados en salud en un entorno financieramente sostenible

Programa de armonización farmacoterapéutica (PHF)

Objetivo:

- Mejorar los niveles de eficiencia, efectividad y utilidad terapéutica de acuerdo con los principios de uso racional y teniendo en cuenta el marco de disponibilidad y la necesaria optimización de recursos.

Funciones

- Armonizar **criterios de uso** de los medicamentos
- Establecer condiciones de **provisión**: Ámbito de prescripción, tipo de facturación, modelos de acceso.
- Avaluar **resultados en salud**.

Rigor

Evidencia

Eficiencia

Transparencia

Colaboración

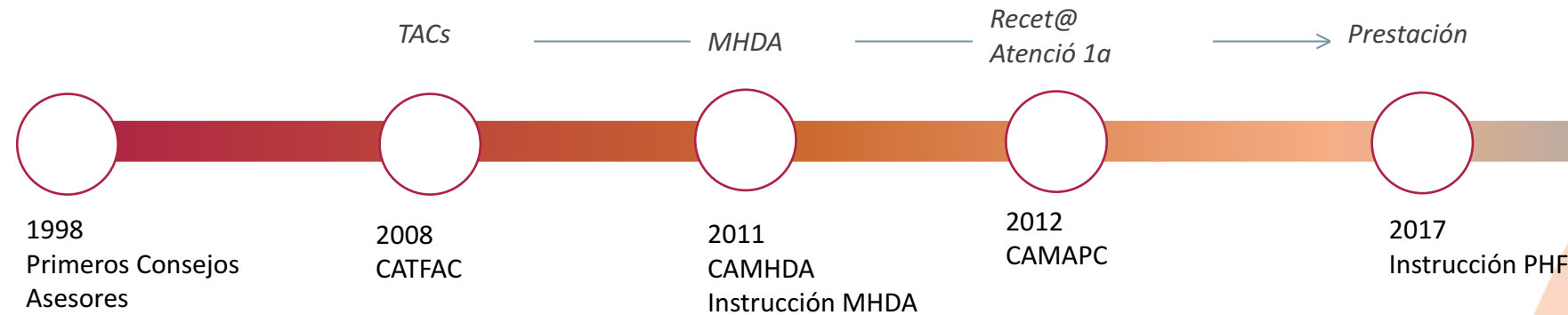
Integración

Participación

Palanca para la
incorporación de la
innovación

De donde venimos

✂ @GuardConsortium



Evaluación y mucho más....

Metodología y
Procedimientos

Herramientas de
gestión e
implementación

Condiciones
de provisión

Resultados en
Salud

Participación
de expertos

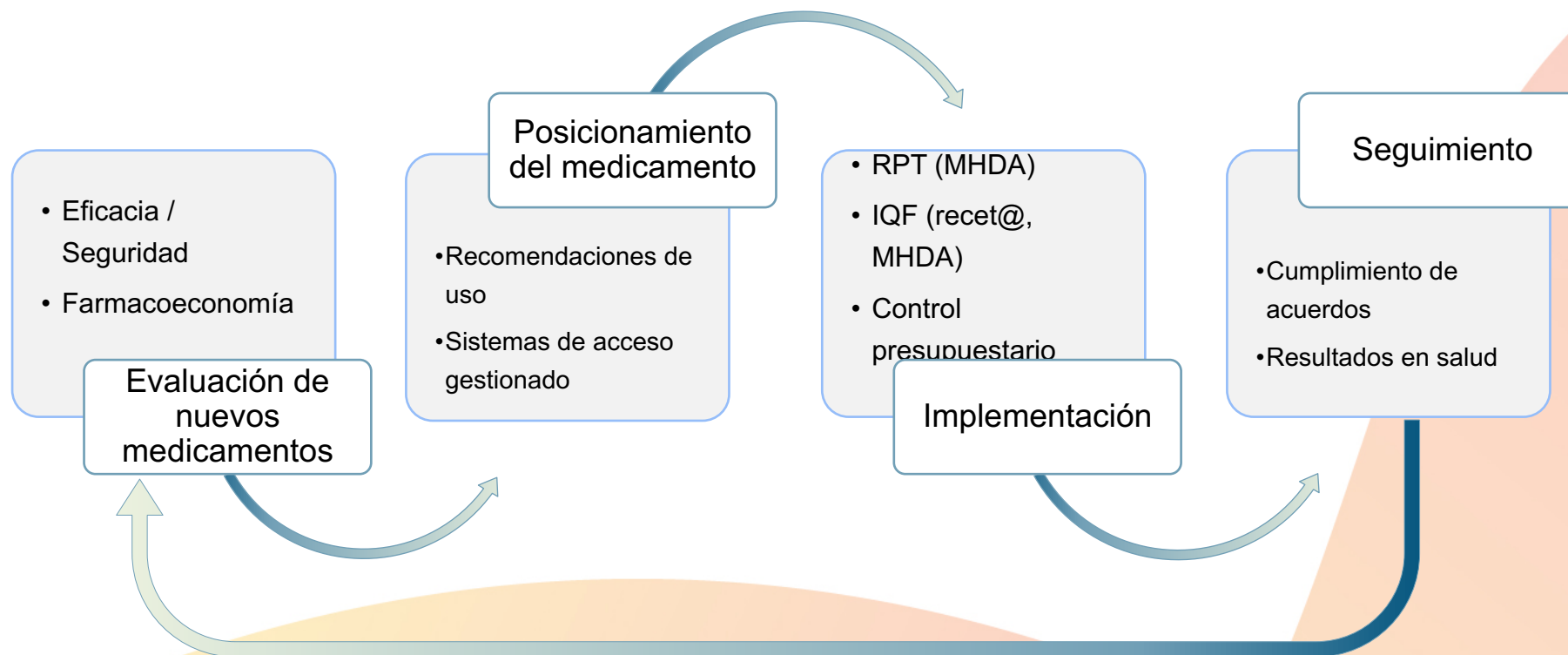
Incorporación
pacientes

Transparencia,
interacciones
agentes interés

Instrucción 05/2017 : https://catsalut.gencat.cat/web/.content/minisite/catsalut/proveidors_professionals/medicaments_farmacia/harmonitzacio/normativa/instruccio-05-2017-programa-harmonitzacio-farmacoterapeutica.pdf
Instrucción 01/2011 https://catsalut.gencat.cat/web/.content/minisite/catsalut/proveidors_professionals/medicaments_farmacia/harmonitzacio/normativa/instruccio-01-2011-criteris-condicions-utilitzacio-registre-condicions-provisio-financament-medicaments.pdf

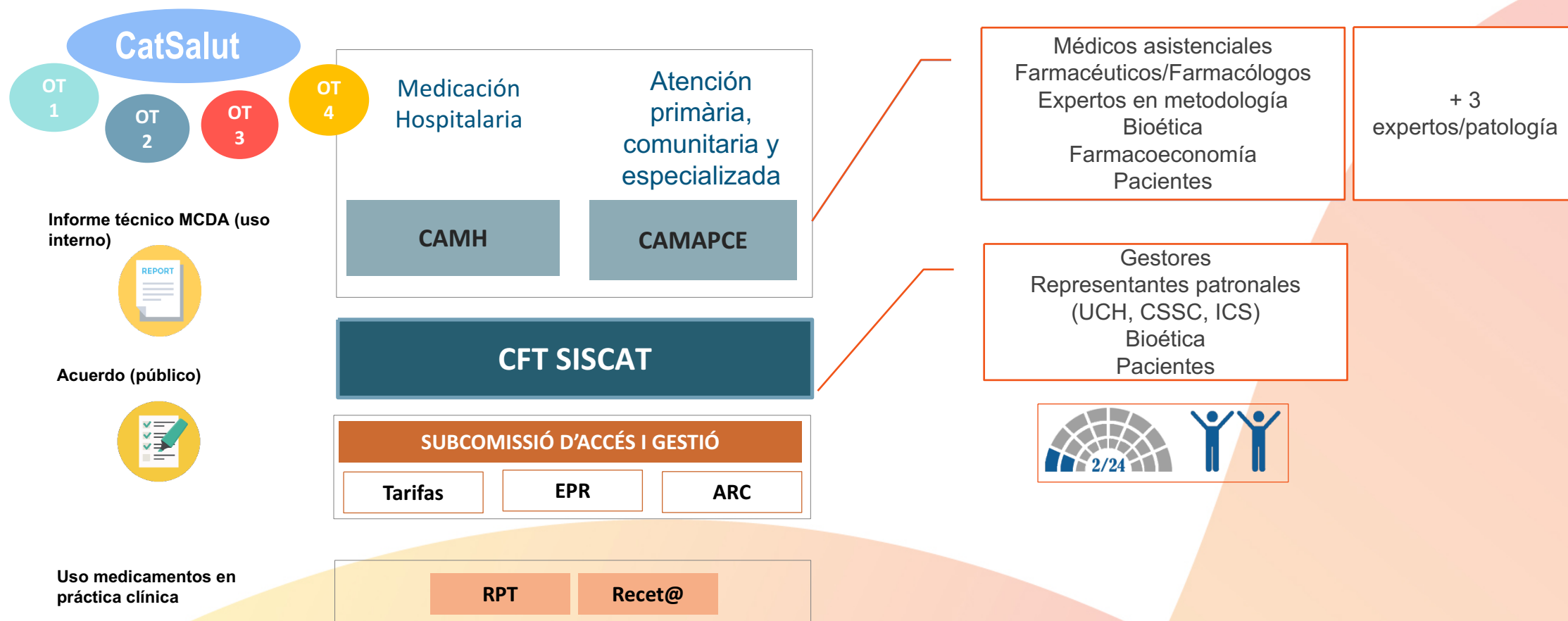
Ciclo de evaluación

✕ @GuardConsortium



Organización

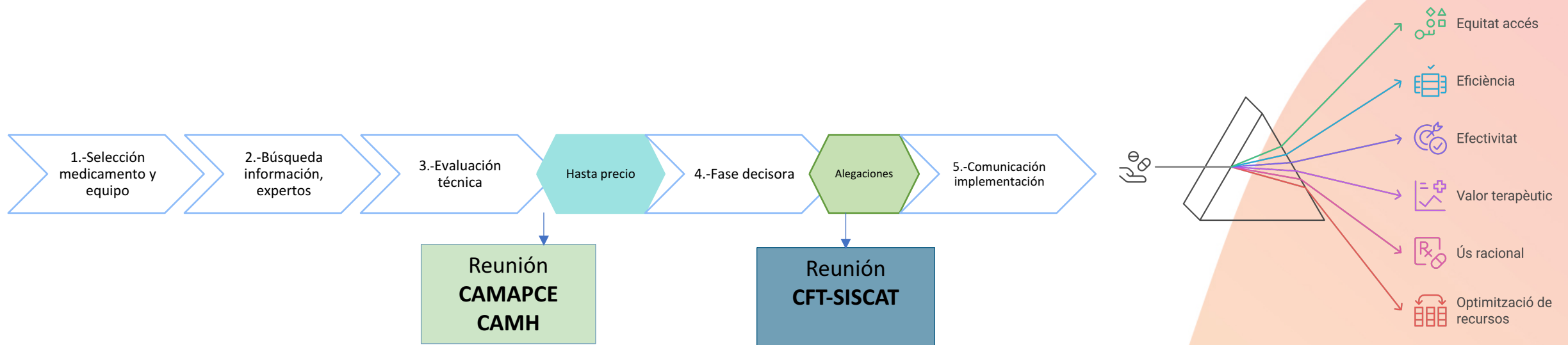
✕ @GuardConsortium



ARC: acuerdo de riesgo compartido, CAMAPCE: Consejo Asesor de Medicamentos de Atención Primaria, Comunitaria y Especializada, CAMH: Consejo Asesor de Medicación Hospitalaria, CFT-SISCAT: Comisión Farmacoterapéutica del SISCAT, CSSC: Consorcio Sanitario y Social de Cataluña, EPR: esquema de pago por resultados, ICS: Instituto Catalán de la Salud, MCDA: Multicriteria Decision Analysis (análisis de decisión multicriterio), OT: oficina técnica, UCH: Unión Catalana de Hospitales

Proceso de armonización

✕ @GuardConsortium



Resultats en salut

Categorías

- **Información sintética** sobre el **valor y grado de valor terapéutico potencial** de los medicamentos.
- Marco cualitativo que permite analizar la adecuación del uso de los medicamentos de acuerdo con las evaluaciones realizadas en el seguimiento del uso de los medicamentos prescritos.

MHDA

Uso según criterios clínicos definidos

Autorización individualizada

Uso excepcional

Recet@

A. Medicamentos de elección en primera línea

B. Medicamentos de elección en segunda línea o recomendados en un subgrupo de pacientes

C. Medicamentos per a pacientes que han agotado otras alternativas

D. Medicamentos sin valor terapéutico añadido

Posibilidades de la gestión

✕ @GuardConsortium

Gestión clínica

- Resumen del valor a través de categorías de uso
- Definición de alternativas terapéuticas, priorizaciones de uso en líneas de tratamiento.

Gestión económica

- Acuerdos con la IF: financieros y resultados en salud: ARC y EPR
- Tarifas farmacológicas de pago de tratamientos de determinadas enfermedades.

Gestión de ordenación asistencial

- Selección de centros designados para la administración de medicamentos (ej. CART)
- Prescripción inicial en unidades expertas (UEC) y seguimiento compartido proximidad
- Revisión de la prescripción por parte de comités de centros creados ad hoc.

Acuerdos y criterios de uso

Acuerdo

- Categoría
- Posicionamiento del medicamento
- Puntos clave
- Consideraciones en relación con la enfermedad, medicamento, eficacia, Seguridad, coste, eficiencia.

Criterios clínicos

- Objetivo del tratamiento
- Recomendaciones sobre pacientes a tratar y posicionamiento
- Parámetros a tener en cuenta antes de iniciar el tratamiento y durante el tratamiento (seguimiento)
- Criterios para suspender el tratamiento
- Ámbito de prescripción

- ✓ Pacientes que más se beneficien del tratamiento
- ✓ Posicionamiento en relación a alternativas. (priorización o no, alternativas similares, etc.)

- ✓ Definición paciente responsivo

- ✓ Instrucción terciarismo oncológico
- ✓ XUECs
- ✓ Resoluciones ad hoc

Variables

- Inicio (caracterización pacientes tratados)
- Seguimiento (Efectividad de los tratamientos)

Acord

PHF | Programa d'Harmonització Farmacoterapèutica

Budesonida (Jorveza®), 0,5 mg i 1 mg comprimits bucodispersables, 60 comprimets

02/2024

Medicament amb recepta mèdica de dispensació en oficina de farmàcia

Diagnòstic Hospitalari

Medicament orfe

Budesonida (Jorveza®) en el tractament de l'esofagitis eosinofílica en adults

B Categoria B: Medicaments d'ús en segona línia o recomanats en un subgrup de pacients.

Consulteu el document de criteris clínic per a més informació.

Altres consideracions d'acord:

Visual

Aportació reduïda

El Programa d'harmonització farmacoterapèutica recomana l'ús de budesonida en pacients amb esofagitis eosinofílica que compleixin tots els criteris següents:

- Pacients adults (>18 anys) amb diagnòstic d'esofagitis eosinofílica;
- que no responguin o que siguin refractaris als inhibidors de la bomba de protons (IBP) després d'atmenys 8 setmanes de tractament i dieta d'eliminació;
- que presentin almenys una de les condicions següents:
 - feroçip: fibroscòpi: presència d'estenosi i anells esofàgics demostrats amb endoscòpia
 - o
 - afectació moderada-grav: distància intensa i/o malnàutic, i/o impactació esofàgica recurrent, crònica, i/o estenosi esofàgica, i/o grau, i/o recaptada simptomàtica i/o fisiològica ràpida després de la teràpia inicial, i/o perforació esofàgica.

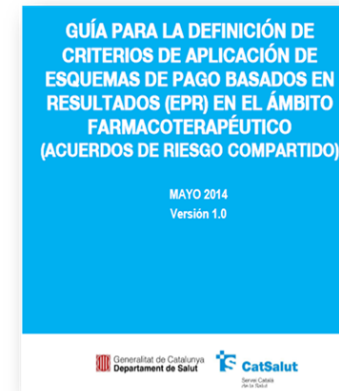
/Salut Generalitat de Catalunya

Pàgina 1 de 7

GUARD CONSORTIUM

Implementación y seguimiento del acceso

- Evaluación de los resultados en salud en práctica habitual (RPT)
- Compartir riesgos y minimizar la incertidumbre (ARC)
- Indicadores para promover prácticas de valor
- Indicadores de calidad de la prescripción farmacológica (IQF)
- Impulso a la corresponsabilización (DMA) (KPI)
- Adecuación y seguimiento de las recomendaciones
- Fomento de la independencia clínica y de gestión (tarifas farmacológicas)
- Identificación de oportunidades de mejora (planes de sostenibilidad)
- Potenciar las capacidades de las tecnologías de la información



	Tipus d'indicador	Nom indicador	Nom abreujat	Punts sobre 100
Específics de patologia	Resultats en salut	Pacients tractats amb fàrmacs antiretrovirals per al VIH amb càrrega viral indetectable	VIH	16
	Procés	Tractaments en psoriasi que s'adhereixen a les recomanacions del PHF	Psoriasi	16
	Procés	Tractaments profilàctics en migranya que s'adhereixen a les recomanacions del PHF	Migranya	4
	Procés	Ús d'anti-TNF en pacients amb malalties inflamatòries immunomediades	Anti-TNF	12
Genèrics	Procés	Ús de medicaments biosimilars hospitalaris de dispensació ambulatoria	Biosimilars-MHDA	18
	Procés	Tractaments en oncologia que s'adhereixen als criteris del PHF	Oncologia	18
	Procés	Tractaments de tumors sòlids prescrits a pacients amb càncer al final de la vida	Final de vida-Onco	6
	Procés	Tractaments onco-hematològics prescrits a pacients amb càncer al final de la vida	Final de vida-Hemato	6
	Procés	Tractaments finalitzats amb motiu de discontinuació registrat	Discontinuarions	4
Total				100

Resum 2024: harmonització farmacoterapèutica en xifres

S'han avaluat 48 medicaments / indicacions	S'han realitzat 5 informes de resultats	S'han realitzat 3 protocols d'indicació infermera	S'han acordat 4 acords d'accés gestionat	Han participat 104 persones expertes	Provinents de 26 centres del SISCAT
---	--	--	---	---	--

Avaluacions realitzades

45 medicaments / indicacions, de fàrmacs diferents	29 nous principis actius	19 noves indicacions de principis actius ja disponibles	39 medicaments hospitalaris de dispensació ambulatoria (MHDA)	6 medicaments amb recepta mèdica	11 *medicaments orfes
--	------------------------------------	---	---	--	---------------------------------

Distribució de les 48 avaluacions per àrea terapèutica

2 malalties cardíques i circulatòries: <ul style="list-style-type: none">Dapagliflozina (ICC)Tafamidis (miocardiopatia per amiloidosi)*	19 neoplàsies: <ul style="list-style-type: none">Abemaciclib (adjuvància càncer mama)Alpelisib (càncer mama)Atezolizumab (CPNM)Brigatinib (CPNM)Capmatinib (CPNM)Cemiplimab (CPNM)Entrectinib (tumors NTRK)Gilteritinib (LMA)*Ibrutinib + Venetoclax (LLC)Larotrectinib (tumors NTRK)Nivolumab (adjuvància càncer d'esòfag i UGE)Olaparib (adjuvància càncer mama)Pembrolizumab (adjuvància carcinoma renal)Pembrolizumab (CCR)Pembrolizumab (càncer mama)Pembrolizumab (neoadjuvància càncer mama)Tafasitamab (LBDCG)*Tepotinib (CPNM)Zanubrutinib (LLC)	1 malaltia ocular i de l'oida: <ul style="list-style-type: none">Latanoprost / Netarsudil (glaucoma)
8 malalties del sistema nerviós: <ul style="list-style-type: none">Atogepant (migranya)Foslevodopa / foscabidopa subcutània (Parkinson)Fenfluramina (síndrome LG i Dravet)*Inebilizumab (TENMO)Lasmiditan (migranya)Rimegepant (migranya)Satralizumab (TENMO)Vutrisiran (polineuropatia per amiloidosi)*	4 malalties hematològiques: <ul style="list-style-type: none">Conestat alfa (AEH)Luspatercept (anèmia per SMD o β-talassèmia)*Pegcetacoplan (HPN)*Roxadustat (anèmia MRC)	2 trastorns congènits, familiars i genètics: <ul style="list-style-type: none">Cannabidiol (CET)*Vosoritida (acondroplàsia)*
1 trastorn mental i del comportament: <ul style="list-style-type: none">Brexipiprazole (esquizofrènia)	2 malalties renals: <ul style="list-style-type: none">Belimumab (nefritis lúpica)Voclosporina (nefritis lúpica)	

Resum 2024: harmonització farmacoterapèutica en xifres

Distribució de les 48 avaluacions per àrea terapèutica

4 malalties del sistema musculoesquelètic i teixit conjuntiu: <ul style="list-style-type: none">Abaloparatida (osteoporosi)Anifrolumab (LES)Tofacitinib (EA)Upadacitinib (EA)	3 malalties respiratòries: <ul style="list-style-type: none">Nintedanib (malalties pulmonars intersticials)Pirfenidona (FPI)*Tezepelumab (asma)	1 malaltia endocrina, del metabolisme i nutrició: <ul style="list-style-type: none">Inclisiran (hipercolesterolèmia)
		1 malaltia digestiva: <ul style="list-style-type: none">Budesonida (esofagitis eosinofílica)*

Categories d'harmonització de les avaluacions

42	Medicaments hospitalaris de dispensació ambulatoria (MHDA) <ul style="list-style-type: none">38 Medicaments amb criteris clínics definits2 Medicaments d'autorització individual2 Medicaments d'ús excepcional
6	Recepta mèdica <ul style="list-style-type: none">1 Medicaments d'elecció en segona línia o recomanats en un subgrup de pacients (Categoria B)3 Medicaments per a pacients que han exhaurit altres alternatives (Categoria C)2 Medicaments sense valor terapèutic afegit (Categoria D)

Nombre d'acords de gestió i models de pagament assolits

5	Models de pagament acordats <ul style="list-style-type: none">1 Tarifa farmacològica nova4 Actualitzacions de tarifes farmacològiques	4	Accés gestionat <ul style="list-style-type: none">4 Acords de risc compartit amb la indústria farmacèutica
3	Protocols d'indicació infermera: <ul style="list-style-type: none">OstomiesAnticoagulants oralsDeshabitació tabàquica	5	Informes d'utilització i resultats en salut de medicaments: <ul style="list-style-type: none">Tractament profilàctic migranyaTractament Espondilitis anquilosantTractament CCR metastàticTractament malalties minoritàriesTractament malaltia d'Alzheimer

Abreviatures:

AEH: angiodisplàsia hemorràgica; CCR: càncer colorctal; CET: complex d'esclerosi tuberosa; CPNM: càncer de pulmó no microcític; EA: espondilitis anquilosant; FPI: fibrosi pulmonar idiopàtica; HPN: hemoglobinúria paroxística nocturna; ICC: insuficiència cardíaca crònica; LBDCG: limfoma B difús de cèl·lules grans; LES: lupus eritematosus sistèmic; LG: Lennox-Gastaut; LLC: leucèmia limfocítica crònica; LMA: leucèmia mieloide aguda; MRC: malaltia renal crònica; TENMO: trastorn de l'espectre de la neuromielitis òptica; SMD: síndrome mielodisplàstica; UGE: úlcera gastroesofàgica

Documentación del PHF- Transparencia



Ejemplo 1 –

Abiraterona CPHSM1 (2021)

Salut/Servei
Català de la Salut

Acord de la Comissió Farmacoterapèutica per al S d'utilització pública de Catalunya (CFT-SISCAT) d d'acetat d'abiraterona per al tractament del hormonosenible metastàtic de nou diagnòstic d'alt r

Indicació avaluada: tractament d'homes adults amb càncer d metastàtic de nou diagnòstic d'alt risc en combinació amb tractamei

S'estima que, en homes, el càncer de pròstata (CP) és el tumor am a Espanya. La mortalitat per aquest tumor l'any 2017 va ser de 5 responsable en major nombre de morts en homes.

Aproximadament, el 15% dels nous diagnòstics de CP tenen mala del diagnòstic. La majoria d'aquests pacients presenta metàstasis ò de morbiditat i mortalitat, ja que estan associades a esdevenimen dolor i necessitat de radioteràpia o cirurgia.

El terme hormonosenible fa referència al càncer de pròstata que n de privació androgènica (TPA). Els pacients que presenten CP (CPHS M1) presenten una mitjana de supervivència molt variable afectada per diferents factors pronòstics com un PSA alt al diagnò alt volum de la malaltia metastàtica, presència de símptomes a l' visceral.

El tractament inicial estàndard dels pacients amb malaltia metas TPA, concretament la castració quirúrgica mitjançant orquiectc farmacològica principalment amb agonistes de LHRH.

No s'ha demostrat que la teràpia combinada de TPA amb un antia

Salut/Servei
Català de la Salut

Relatives al cost

- El preu del tractament amb abiraterona està especificat a l'informe tècnic del CAMH (vegeu l'apartat 8). Els càlculs s'han realitzat amb el preu notificat al Catàleg de prestacions farmacèutiques.
- Per establir els criteris clínics d'ús s'han tingut en compte les dades d'eficàcia i seguretat del fàrmac i l'eficiència del tractament.
- Davant la incertesa pel que fa el cost-efectivitat d'aquest tractament i el nombre de pacients candidats a ser tractats, s'ha establert un acord financer que permet regular l'impacte econòmic i millora la relació cost-efectivitat del fàrmac en la indicació avaluada.

Altres

- Abiraterona interacciona de forma significativa amb inductors potents del CYP3A4.
- El finançament d'abiraterona ha estat restringit a aquells pacients que no tolerin o no siguin candidats a rebre quimioteràpia amb docetaxel.

El Programa d'harmonització farmacoterapèutica recomana per a l'ús d'abiraterona per al tractament d'homes adults per al càncer de pròstata hormonosenible metastàtic de nou diagnòstic d'alt risc en combinació amb tractament de privació d'andrògens en l'àmbit del CatSalut:

- Que la indicació, el seguiment i l'avaluació de la resposta terapèutica per part dels professionals sanitaris es realitzi d'acord amb els criteris clínics que s'annexen a aquest acord (annex).

**Acuerdo financiero
con IF previo
genérico**

**Posicionamiento
vs. docetaxel**

Ejemplo 2 -

Abiraterona, apalutamida y enzalutamida – CPHSM1 (2023)

Annex. Criteris clínics d'inici i seguiment d'abiraterona, apalutamida i enzalutamida per al tractament del càncer de pròstata hormonosensible metastàtic (CPHS M1)

L'objectiu general del tractament amb abiraterona, apalutamida o enzalutamida en pacients amb CPHS M1 en combinació amb tractament de privació d'andrògens (TPA) és millorar la supervivència dels malalts i aconseguir una millor qualitat de vida.

Es requereix que la decisió d'iniciar abiraterona, apalutamida o enzalutamida es realitzi en el si d'un comitè de tumors multidisciplinari amb expertesa en el maneig de tumors urològics. En aquest sentit, es considera que oncòlegs mèdics, uròlegs, oncòlegs radioterapeutes i geriatres o especialistes en medicina interna, entre d'altres, haurien de participar en la valoració dels casos, discussió de les alternatives de tractament disponibles i realització de la proposta de tractament recomanat i seguiment del malalt.

Comité tumor multidisciplinario

Inici del tractament

Es consideren candidats a rebre tractament amb abiraterona, apalutamida o enzalutamida aquells pacients que compleixen els criteris següents:

- Càncer de pròstata hormonosensible metastàtic.
- Que no tolerin o no siguin susceptibles de rebre quimioteràpia amb docetaxel.
- Amb un estat general conservat (ECOG 0-1).

Abiraterona, enzalutamida i apalutamida es consideren alternatives terapèutiques similars¹ en pacients amb CPHS M1 de nou diagnòstic i alt risc, definit per la presència de com a mínim dues de les característiques següents:

- Gleason de 8-10.
- Presència de metàstasis viscerals.
- Presència de 3 o més metàstasis òssies.

En absència de factors que recomanin l'ús d'una alternativa concreta, suggereix la prioritització de l'ús d'abiraterona, que pot suposar un avantatge en termes econòmics per la disponibilitat de medicaments genèrics.

Alternativas terapéuticas similares
Priorización por **eficiencia**

Apalutamida i enzalutamida es consideren alternatives terapèutiques similars¹ en pacients amb CPHS M1 que no compleixin els criteris de risc anteriorment descrits i que hagin pogut rebre tractament previ amb TPA, sempre que aquesta hagi finalitzat fa més d'un any i els nivells de

Ejemplo 3-

Atezolizumab- càncer urotelial 2aL -2018 → 2021

El Programa d'harmonització farmacoterapèutica recomana per a l'ús d'atezolizumab per al tractament del carcinoma urotelial localment avançat o metastàtic després de quimioteràpia prèvia que contingui platí, en l'àmbit del CatSalut:

- Que la gestió de l'accés a atezolizumab en el tractament del carcinoma urotelial localment avançat o metastàtic després de quimioteràpia prèvia és realitzi mitjançant l'esquema de pagament per resultats acordat amb la companyia farmacèutica responsable del medicament.
- Que fora del marc d'accés per mitjà de l'esquema de pagament per resultats acordat amb la companyia farmacèutica en l'àmbit del SISCAT, atezolizumab es considera un fàrmac d'ús excepcional per al tractament del carcinoma urotelial prèviament tractat amb quimioteràpia.
- Que, en el marc de l'esquema de pagament per resultats acordat, la indicació, el seguiment i l'avaluació de la resposta terapèutica per part dels professionals sanitaris es realitzi d'acord amb els criteris clínics que s'annexen a aquest acord (annex).
- Que l'àmbit de prescripció d'atezolizumab es realitzi en centres hospitalaris amb experiència en el diagnòstic i tractament de pacients amb càncer urotelial i que garanteixin l'adequada atenció sanitària integral dels pacients afectats.
- Que es faci un seguiment de les persones que siguin tractades amb aquest fàrmac. El personal mèdic responsable del tractament ha de facilitar les dades clíniques al CatSalut, per tal que es pugui comprovar l'efectivitat, la seguretat i l'adequació al tractament, a través del Registre de pacients i tractaments MHDA.

L'autoria d'aquest document correspon al Programa d'harmonització farmacoterapèutica i pot no coincidir totalment amb els plantejaments fets pels experts que han estat consultats durant el procés d'avaluació.

Barcelona, 27 d'octubre de 2021

IMvigor 211

Acuerdo de
resultados en
salud con IF

Ajuste criterios
clínicos

Annex. Criteris clínics d'indicació i seguiment d'atezolizumab per al tractament del carcinoma urotelial localment avançat o metastàtic després de quimioteràpia prèvia que contingui platí en el marc de l'esquema de pagament per resultats acordat

L'objectiu general del tractament amb atezolizumab en pacients amb carcinoma urotelial és allargar la supervivència i millorar la qualitat de vida.

Inici del tractament

Es consideren candidats a rebre tractament amb atezolizumab en el tractament del carcinoma urotelial localment avançat o metastàtic aquells pacients que compleixen els criteris següents:

- Pacients que presentin un ECOG 0-1, i
- que es trobin en una de les situacions clíniques següents:
 - en progressió durant o després de la quimioteràpia basada en platins per a la malaltia metastàtica, o
 - en progressió durant o en els 12 mesos posteriors a la finalització del tractament neoadjuvant o adjuvant amb quimioteràpia basada en platí, i
- que només presentin una o cap de les condicions de mal pronòstic següents:
 - presència de metàstasis hepàtiques.
 - nivell d'hemoglobina < 10 g / dL.
 - ECOG PS >0.

Resultados en salud

Tratamientos carcinoma renal en 2a L

Abiraterona y enzalutamida en CPRCm

Tratament del carcinoma de cèl·lules renals avançat en segona línia

Informe d'avaluació de resultats

2021
RESUM AVALUACIÓ
Programa d'harmonització
farmacoterapèutica
hamonitzacióMHDA@catsalut.cat
http://catsalut.cat

Antecedents

- El carcinoma de cèl·lules renals (CCR), que s'origina al còrtex renal, és el més comú dels càncers renals i en representa aproximadament el 80% (1). El CCR de cèl·lules clares és el subtipus més freqüent dels CCR esporàdics en adults (70-80%).
- La majoria dels casos es diagnostiquen a partir de la cinquena dècada de la vida, però es poden presentar a qualsevol edat (1).
- La història natural del CCR és molt variable. Els factors pronòstics més determinants per a la supervivència als 5 anys són l'estadistat del tumor, el grau, l'extensió del tumor, la presència de nòduls regionals afectats i la presència de metastasi al moment del diagnòstic.
- Al voltant d'un 30% dels pacients amb CCR presenten malaltia metastàsica al moment del diagnòstic i una alta proporció (aproximadament 1/3) dels que han estat tractats prèviament per a la malaltia localitzada recauran amb malaltia metastàsica. La supervivència als 5 anys o més d'entre un 8% al 22,5% en pacients amb CCR metastàsica o avançat (CCRA) en comparació amb el 90% dels pacients amb CCR localitzat. Actualment, el CCR metastàsic es considera una malaltia incurable (2).
- Per tal d'avaluar el risc individual dels pacients amb malaltia avançada, el model pronòstic més àmpliament utilitzat és el MSKCC (Memorial Sloan Kettering Cancer Center), el qual classifica els pacients en funció de 5 factors que es relacionen amb la disminució de la supervivència.
- Les opcions de tractament preveuen la teràpia quirúrgica local, com la nefrectomia citorredutora, recomanada en pacients amb bon PS (performance status) amb tumors primaris de gran mida i amb volums limitats de malaltia metastàsica, o bé en pacients amb una lesió primària simptomàtica (1).
- El moment d'iniciar el tractament sistemàtic no està ben definit, ja que alguns CCR tenen un curs indolent i es podria considerar un període d'observació abans d'iniciar tractament, especialment en els pacients amb càrrega tumoral limitada i pocs símptomes (1).
- En la primera línia de tractament i si el pronòstic és favorable o intermedí, es pot utilitzar bevacizumab (combinat amb interferó), sunitinib i pazopanib.

Metodologia

- Si el pronòstic és desfavorable, temsioim més adequada de tractament (1).
- L'aparició dels inhibidors de la tirosina-receptor del VEGF i dels inhibidors de la rapamicina en els mamífers, han modificat CCRA. Per aquest motiu, a la pràctica clíntom, les citocines s'han vist progressivament del tractament de primera línia en favor dirigides (1).
- En la segona línia de tractament, després de amb citocines (interferó, IL-2) es recomana sorafenib, pazopanib, axitinib i sunitinib. Si la farmacològica ha estat amb ITK (sunitinib) i recomana everolimus, axitinib, nivolumab, lenvatinib + everolimus (1).
- Al març de 2007, l'Agència Europea del Me va autoritzar sorafenib per al tractament de CCRA. Posteriorment, l'agost de 2009 everolimus. Els ITK anti-VEGF axitinib, lenvatinib van ser autoritzats per l'EMA al setembre de 2016 i a l'agost de 2016, Nivolumab en monoteràpia va ser autoritzat. Les dades d'eficàcia i seguretat d'aquests i basen en 4 assaigs clínics (3-6) en què la v de l'estudi va ser la supervivència lliure de pr
- A l'abril de 2014, el Programa farmacoterapèutica (PHF) va avaluar axiti everolimus per al tractament del CCRA tractament previ i en va fixar criteris c Posteriorment, el juny de 2017, el PHF v tractaments axitinib, everolimus i va incorp nivolumab i lenvatinib per al tractament d'un tractament previ amb anti-VEGF, i er següents recomanacions en el tractament de els pacients havien de presentar un ECOG progressat a un tractament previ amb un ITK VEGF.

Dades de seguiment i resultats en salut

Figura 2. Corba de la SLP dels pacients tractats per al CCRA en segona línia

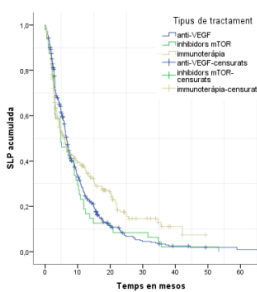


Figura 3. Corba de la SG dels pacients tractats per al CCRA en segona línia

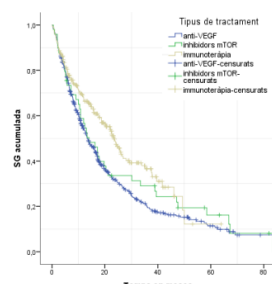


Figura 4. Corba de la SLP dels pacients tractats per al CCRA en segona línia

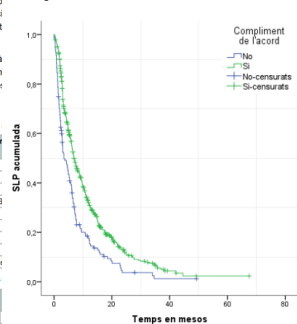
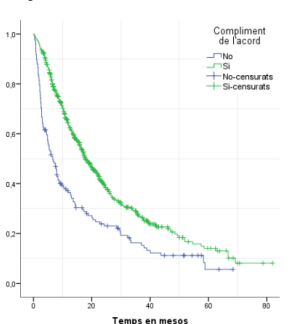


Figura 5. Corba de la SG dels pacients tractats per al CCRA en segona línia



A la taula 4 es descriuen les dades principals de les obtingudes i la figura 3 mostra l'estimació de la SG segon corba de Kaplan-Meier. La SG s'ha avaluat en 785 paci La mediana de SG (IC 95%) en aquests pacients ha estat 16,2 (14,4-18) mesos.

En els pacients tractats amb anti-VEGF, immunoterà inhibidors de la mTOR, la mediana de SG (IC 95%) obtn ha estat de 13,3 (11,3-15,3) mesos; 23,4 (20,2-26,6) me 14 (8,2-19,8) mesos, respectivament.

Taula 4. Característiques de la SG dels pacients tractats per

	Anti-VEGF (n=472)	Immunoteràpia (n=472)
Sense informació - n (%)	472 (99,8)	472 (99,8)
Pacients avaluats - n (%)	471 (99,8)	471 (99,8)
Defuncions (%)	350 (74,3)	350 (74,3)
Mediana de SG (IC 95%) en mesos	13,3 (11,3-15,3)	23,4 (20,2-26,6)
P25-P75 de SG en mesos	6,1-30	14-44
SG acumulada a un any - % (EE)	39,3 (2,4)	52,1 (2,4)
SG acumulada a dos anys - % (EE)	25,2 (2,3)	37,1 (2,3)
SG acumulada a tres anys - % (EE)	17 (2,1)	27 (2,1)
SG: supervivència global; P25-P75: percentil 25; percentil 75; EE: n		

Taula 5. Millor resposta informada dels pacients tractats per

	Anti-VEGF (n=472)	Immunoteràpia (n=472)
Sense informació - n (%)	34 (7,2)	34 (7,2)
Avaluats - n (%)	438 (92,8)	438 (92,8)
Resposta completa - n (%)	12 (2,8)	12 (2,8)

Abiraterona i enzalutamida per al tractament del càncer de pròstata metastàtic en el context pre i post quimioteràpic Informe d'avaluació de resultats

2020
RESUM AVALUACIÓ RESULTATS
Programa d'harmonització
farmacoterapèutica (PHF)
hamonitzacióMHDA@catsalut.cat
http://catsalut.gencat.cat

Antecedents

- El càncer de pròstata (CP) és la segona neoplàsia més freqüent en els homes (1) i es pot classificar segons el pronòstic de risc i la sensibilitat a l'hormonoteràpia (HT).
- Actualment, si el risc d'evolució és alt i la supressió androgènica fracassa, es pot iniciar quimioteràpia (QT) amb docetaxel i continuar amb abiraterona o enzalutamida si es progressa a la QT. Si la QT no està clínicament indicada, es pot iniciar tractament amb abiraterona o enzalutamida.
- Les noves opcions terapèutiques antiandrogèniques disponibles han assolit millores de la supervivència global (SG) i supervivència lliure de progressió (SLP), quan el CP progressa a CP metastàsic resistent a castració (CPRCm) (2).
- L'evidència d'abiraterona durant o després de la QT (post-QT) i quan aquesta no està indicada (pre-QT) prové dels assaigs clínics (AC) COU-AA-301 i COU-AA-302, respectivament.

Metodologia

- S'han seleccionat les dades dels pacients amb CPRCm tractats amb abiraterona i enzalutamida al sistema sanitari integral d'utilització pública de Catalunya (SISCAT) i que han estat inclosos al Registre de pacients i tractaments (RPT) del CatSalut des de l'entrada en vigor dels respectius acords i fins a l'1 d'octubre de 2019.
- El grau de compliment dels criteris clínics d'ús s'ha estudiat per a les quatre indicacions avaluades al PHF i s'ha agrupat segons el context quimioteràpic (abiraterona pre-QT i post-QT i enzalutamida pre-QT i post-QT). S'han exclòs de l'anàlisi els pacients que no disposaven de dades clíniques a l'inici del tractament.
- Per avaluar la resposta s'han considerat els tractaments registrats amb dades de seguiment > 3 mesos. S'ha calculat la taxa de resposta global (TRG), que comprén la resposta completa i la resposta parcial, i la taxa de benefici clínic (TBC), que comprén els dos criteris anteriors i la malaltia estable, segons la variable de resposta registrada pels clínics.

Resultats

- A l'RPT s'han registrat 2.733 pacients que han rebut 3.736 tractaments per al CPRCm en el període seleccionat.
- S'han avaluat els criteris clínics d'inici per a 2.642



Un camí compartit:



Implementació del PIPMED:

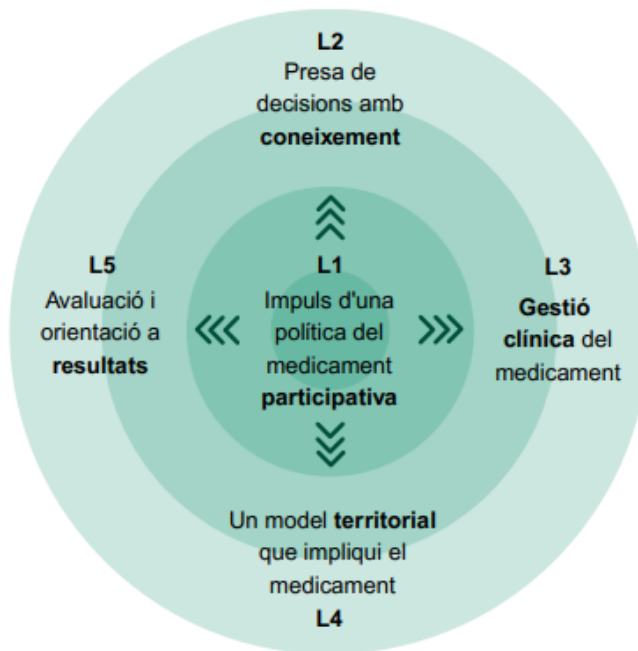
Línies estratègiques i blocs d'eines d'implementació



40

accions
2025-2027

Quina és la nostra línia estratègica?



Les nostres eines d'implementació:



E1. Eines de suport a les decisions i als sistemes d'informació

E2. Model de contractació i compra de medicaments i serveis

E3. Comunicació, difusió, formació i transparència

Ens centrem en set pilars bàsics:

-
- P1.** Model centrat en la persona
 - P2.** Eficiència i sostenibilitat
 - P3.** Continuitat assistencial i equitat
 - P4.** Qualitat i seguretat
 - P5.** Recerca i innovació
 - P6.** Sinergies i aliances estratègiques
 - P7.** Alineament amb els objectius de desenvolupament sostenible (ODS)

Tres valors clau:

1



L'escolta activa del sector

2



La participació dels professionals i la ciutadania

3



L'evidència, l'eficiència i l'atenció basada en el valor

Conclusiones

- Entorno regulatorio europeo y estatal en transformación, que aumenta la presión sobre los tiempos de evaluación y financiación.
- Crecimiento notable de nuevas indicaciones, que puede ir acompañada de información inmadura o incertidumbres, que requiere priorizar y seleccionar.
- Gestión clínica basada en valor, eficiencia y resultados en salud.
- Necesidad de impulsar medidas de acceso gestionado para compartir riesgo y mejorar la sostenibilidad.
- Integración y actualización continua de registros para monitorizar, reevaluar y orientar decisiones.
- Necesidad de planificación estratégica para mantener la sostenibilidad ante terapias disruptivas.

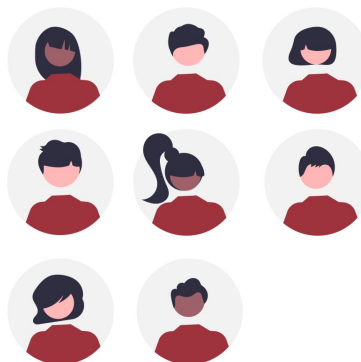
El equipo

✕ @GuardConsortium

División Uso Racional

Antoni Vallano
Manel Fontanet
Gemma Puig
Roser Vives
Laia Rosich
Lídia Blanco
Pere Agustín
Núria Puñet

Daniel Gay
Enric Lizano
Míriam Umbria
Guillermo Tarrasó
Miquel Torralba
Anna Rodriguez



Colaboradores oficinas técnicas

	<i>ICO</i>
<i>H. Sant Pau</i>	Javier Martínez
Ingrid Gasó	Cristina Ibáñez
Ángel Marcos	Agustí Albalat
Paula	
Kristopher Amaro	<i>H. SJD</i>
	Carlota Mestres
<i>H. Mar</i>	
Patrícia Diaz	<i>SIDIAP</i>
Daniel Wang	Maria Giner

Àrea del Medicament, Miembros Consejos Asesores, Subcomisión acceso, CFT-SISCAT, expertos y otros colaboradores

¡Gracias!