



Acceso a fármacos en Europa y en nuestro entorno: Aprobación del fármaco a nivel estatal

Caridad Pontes

Servei de Farmacologia Clínica

Hospital de la Santa Creu i Sant Pau

Organizado por:  **GUARD
CONSORTIUM**

Intereses

Actuales

- Servicio de Farmacología Clínica, CEIm, Hospital de Sant Pau
- Departamento de Farmacología, Terapéutica y Toxicología, UAB
- Experta externa (Consejo científico EMA), AEMPS
- Comité Asesor para la Financiación de la Prestación , Ministerio Sanidad
- *Consell Assessor de l'Estratègia de Salut Digital*, Catsalut

Previos

- Gerente del Medicamento, Catsalut (2016-2023)
- Unitat de Farmacologia Clínica, Hospital Parc Taulí (2011-2016)
- Industria Farmacéutica (Uriach, Vita, Procter & Gamble , Palau Pharma 1996-2010)

OPINIONES PERSONALES
no representan a ninguna
organización ni comité al que
pertenezca

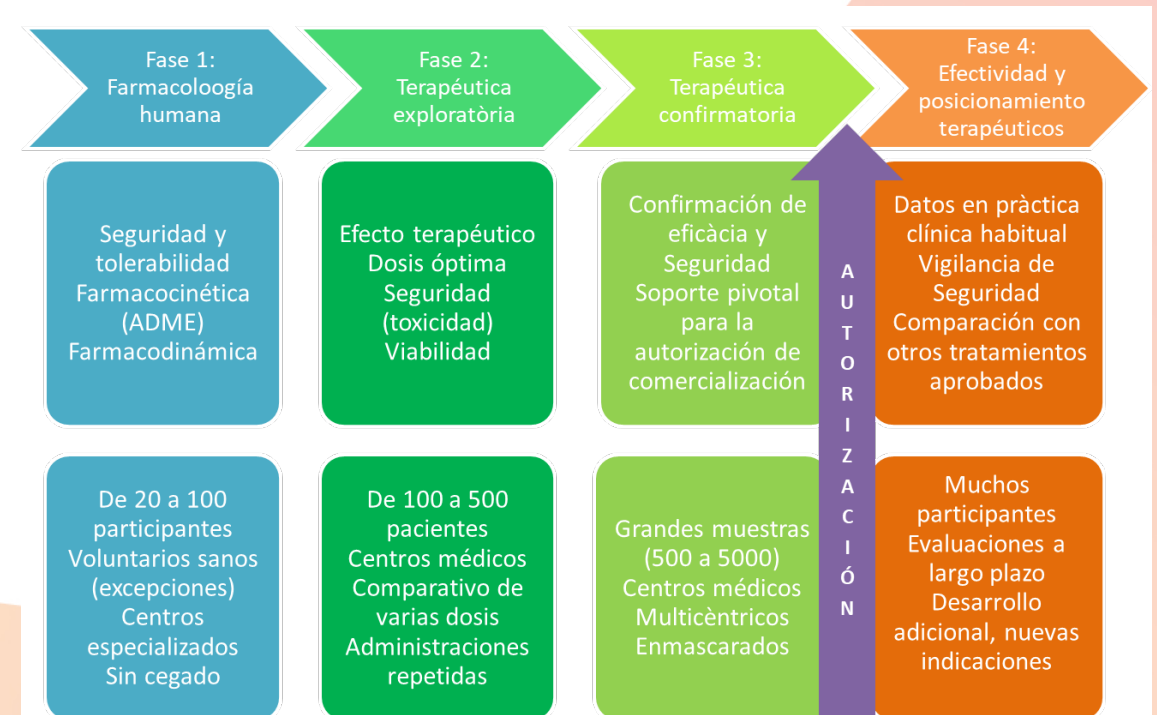
La autorización de comercialización

Un medicamento **se puede comercializar** en la Unión Europea **sólo si tiene una autorización de comercialización** expedida por un Estado miembro de la UE o por la Comisión Europea.

El producto debe cumplir con las **garantías de calidad , eficacia y seguridad , y aportar una razón de beneficio / riesgo favorable** en la **indicación clínica** para la que se desea utilizar y **con las condiciones de uso especificadas**.

Evidencia demostrativa procedente de estudios químico-farmacéuticos , preclínicos , y – especialmente – ensayos clínicos .

La autorización se concreta en la ficha técnica , que incluye el detalle de las indicaciones, las condiciones y las recomendaciones de uso legalmente autorizadas




Las decisiones de precio y financiación

La **autorización** es necesaria , pero no suficiente : hay que sumar la garantía de eficiencia

La **eficiencia** relaciona la **inversión económica** requerida con el **beneficio clínico obtenido** con una intervención sanitaria.

La **garantía de eficiencia** se concreta en la **regulación de los precios de venta** de los medicamentos y en las decisiones sobre su **financiación pública** y sus condiciones.

Agencias de evaluación de tecnologías sanitaria (HTA): sobre una **base técnica y científica** informan la toma de **decisiones** de las autoridades u organizaciones pagadoras.



El nuevo medicamento debe ser accesible a los ciudadanos y sostenible para el sistema sanitario

Fomento industrial: recompensa e incentivación de la inversión en I+D del fabricante .

Impacto en derechos fundamentales: costes de oportunidad y justicia en el uso de recursos.

La prestación farmacéutica

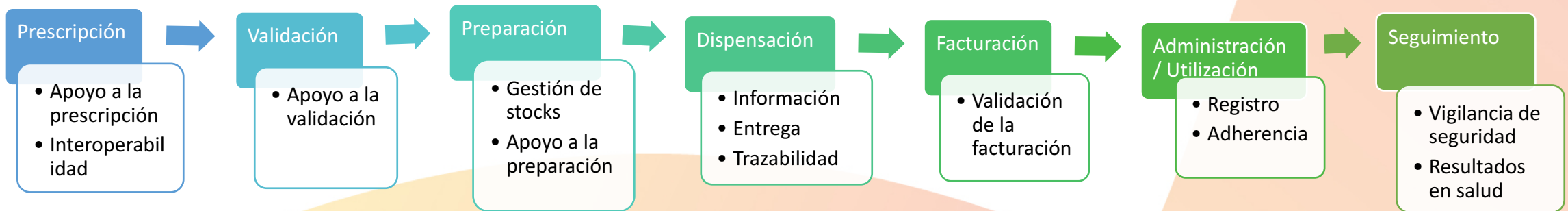
- La prestación la constituyen los medicamentos y productos sanitarios y las actuaciones necesarias para que los usuarios los reciban adecuadamente.

Oficinas de farmacia: medicación en receta

- Uso ambulatorio

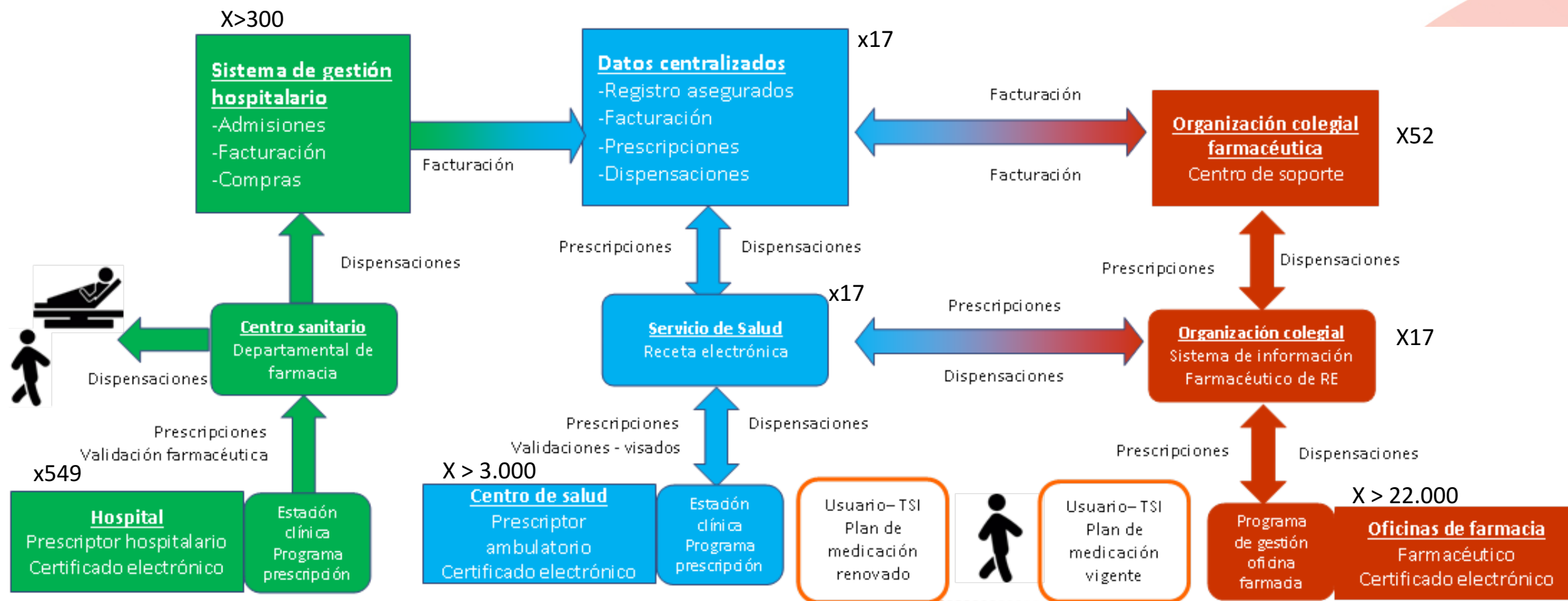
Farmacia hospitalaria: medicación paciente ingresado

- Uso interno
- Uso ambulatorio (paciente externo)



La prestación farmacéutica en España

X @GuardConsortium



Responsabilidades y niveles de decisión

La **Ley Europea** requiere garantías de calidad, eficacia y seguridad **comunes en toda Europa** mediante la evaluación de la EMA que ratifica el CE.



La **Ley Europea** establece que las garantías de eficiencia son competencia **exclusiva de los estados miembros**



Los **pagadores** deben **garantizar las prestaciones básicas**, pero deciden compra y mecanismos de prestación **según su criterio**

Diferencias evidentes entre los países europeos en los sistemas de cobertura social y modelos sanitarios, de características de la población, de PIB, y en las políticas y prioridades en la asignación de presupuestos.

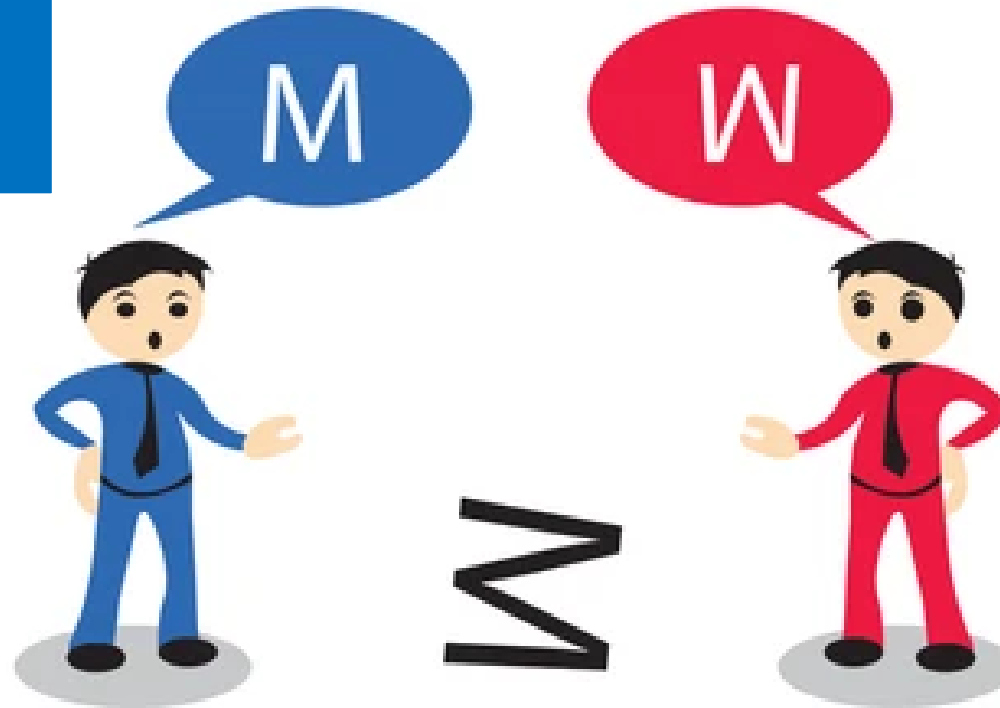
Metodologías similares, perspectivas diferentes

Regulador

- Superioridad en placebo
- Beneficio/riesgo favorable

HTA

- Beneficio/riesgo superior a las alternativas
- Eficiencia y coste asumible



Tensiones entre autorización y financiación

X @GuardConsortium

Flexibilización regulatoria

- Autorización de comercialización condicional o excepcional
- Elasticidad de la frontera de autorización, alternativa a la autorización binaria
- Evaluación precoz con datos preliminares, aceptando incertidumbres
- Soporte de “Datos de vida real”



Beneficio plausible
Necesidad médica
Gravedad

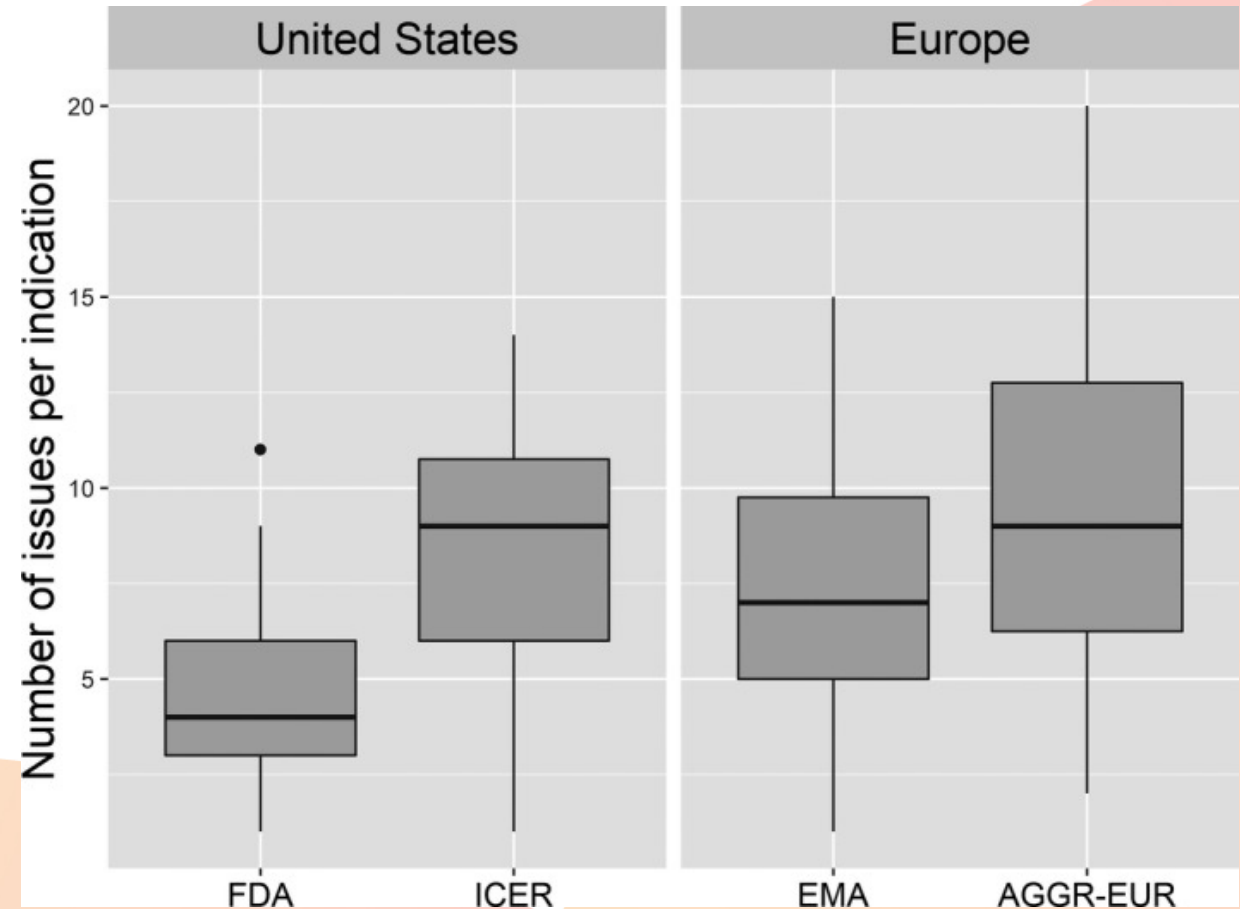
Decisiones de precio y reembolso

- Perspectivas nacionales
- Decisiones discrepantes con reguladores , e internacionalmente
- Métodos de gestión de la incertidumbre
- Tiempo de acceso, riesgos de equidad y oportunidad

Estimación de valor
Impacto económico
Coste de oportunidad

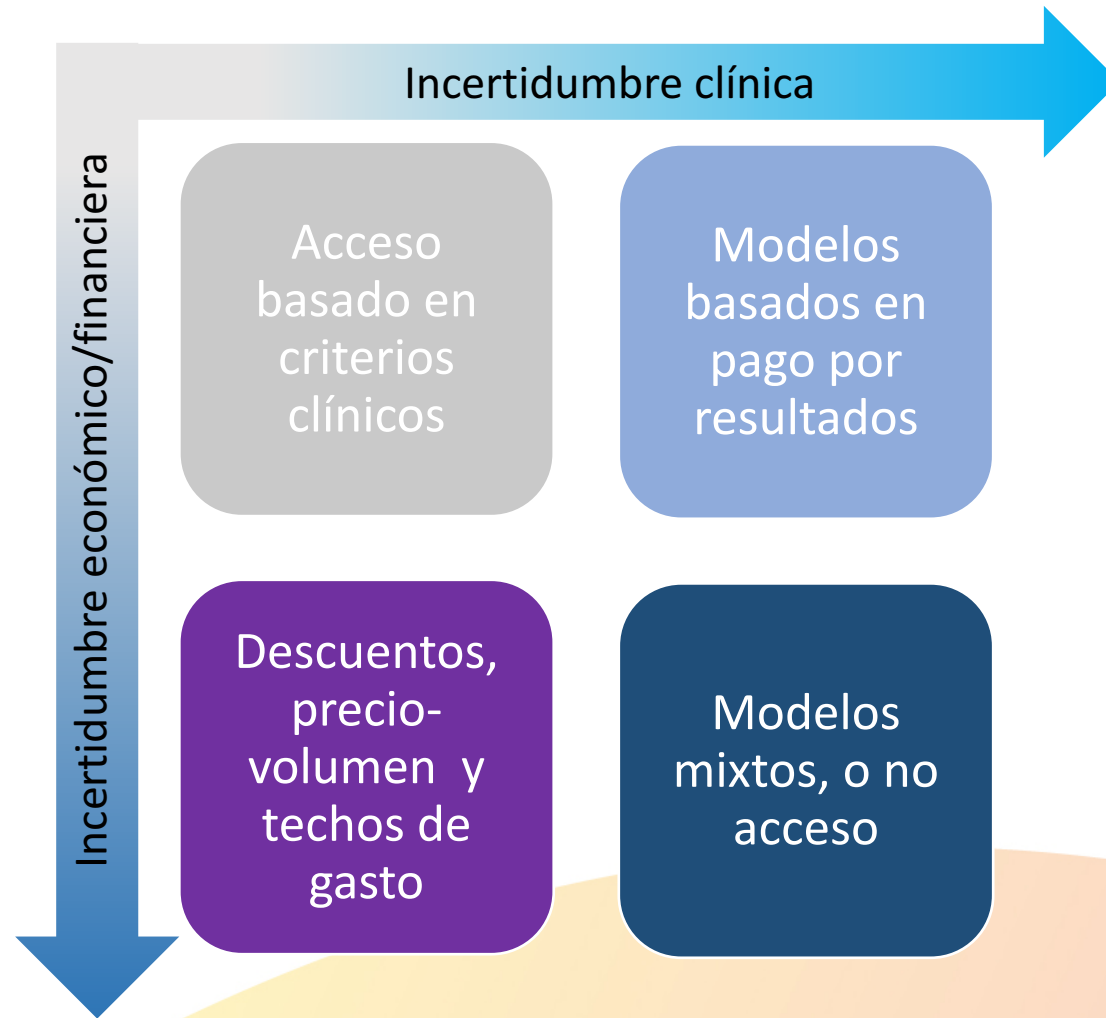
Incertidumbre gestionada por agencias y HTAs X @GuardConsortium

- **33 medicamentos, 34 indicaciones:**
- FDA y ICER
- EMA y NICE, IQWiG, ZIN, EUNetHTA
- **1.007 incertidumbres eliminando duplicados**
- Promedio de 7,4 incertidumbres (DE 3,8) por medicamento e institución
- Al menos una para cada medicamento e institución.
- **La FDA identificó 149 incertidumbres vs 286 del ICER**
- Media en la FDA 4,4 (DE 2,2) vs ICER 8,4 (DE: 2,6); diferencia media 4,2 ($P < 0,01$).
- **EMA 250 incertidumbres vs 322 de las HTA europeas combinadas**
- Media en la EMA 7,4 (DE 3,6) vs 9,5 (DE 4,4) de las HTAs europeas agregadas; diferencia media 2,1 ($P = 0,02$).



Instrumentos para gestionar incertidumbres

✕ @GuardConsortium



Limitaciones

- Sistemas de información no interoperables
- Recursos de la recogida de información
- Encaje legal de los contratos y presupuestos plurianuales
- Logística de reuniones, conciliación, reembolso

Registros (Valtermed, RPT)

- Requieren entrada manual de datos
- Si no vinculados a facturación, bajo cumplimiento
- Si vinculados a facturación, datos sesgados
- Fiabilidad como soporte a gestión de acceso?

Modelos basados en la determinación de un precio por envase, partiendo de la propuesta o expectativa industrial, y posterior negociación estatal.

Spain is different

X @GuardConsortium

Agencia reguladora : AEMPS

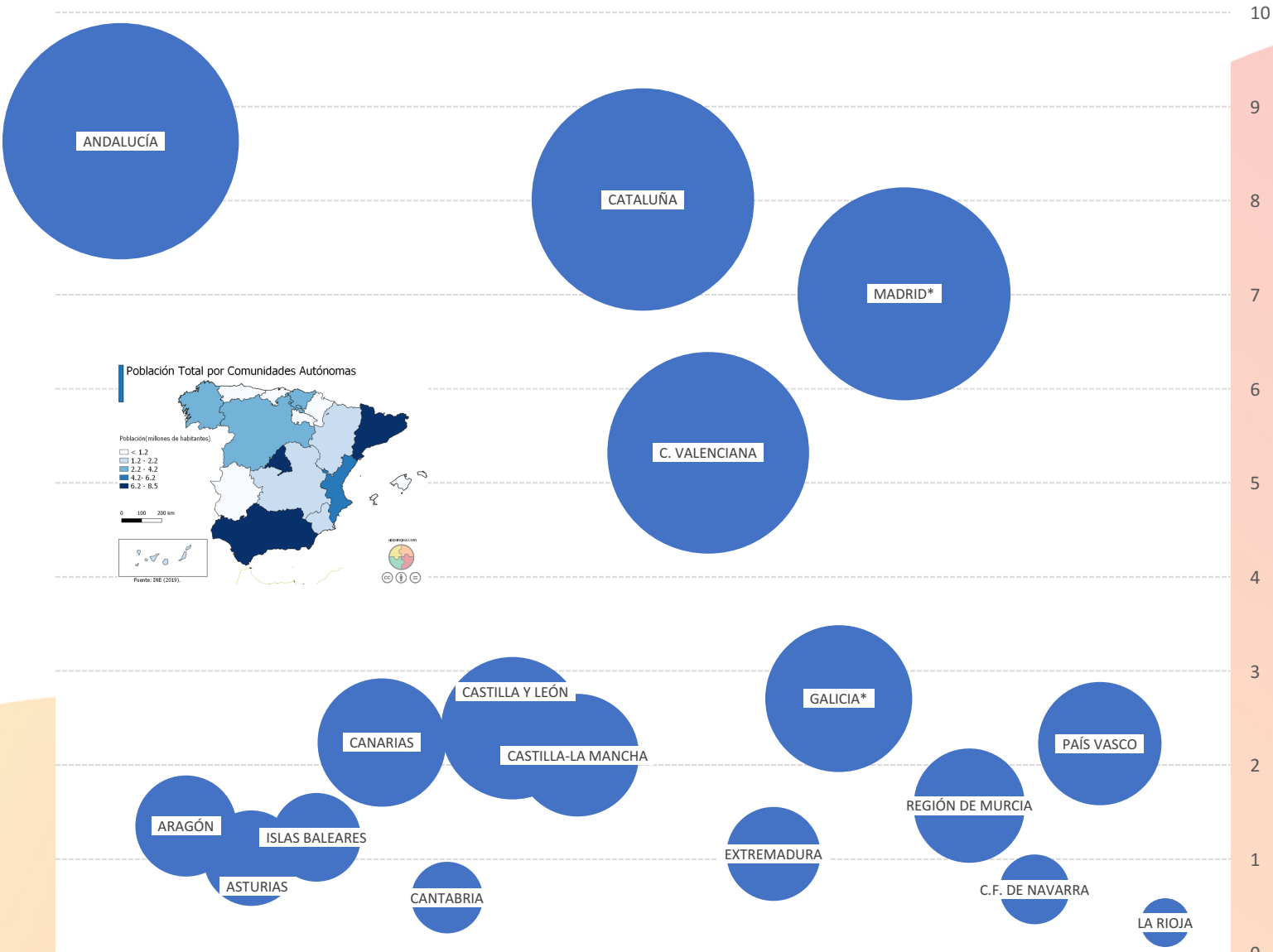
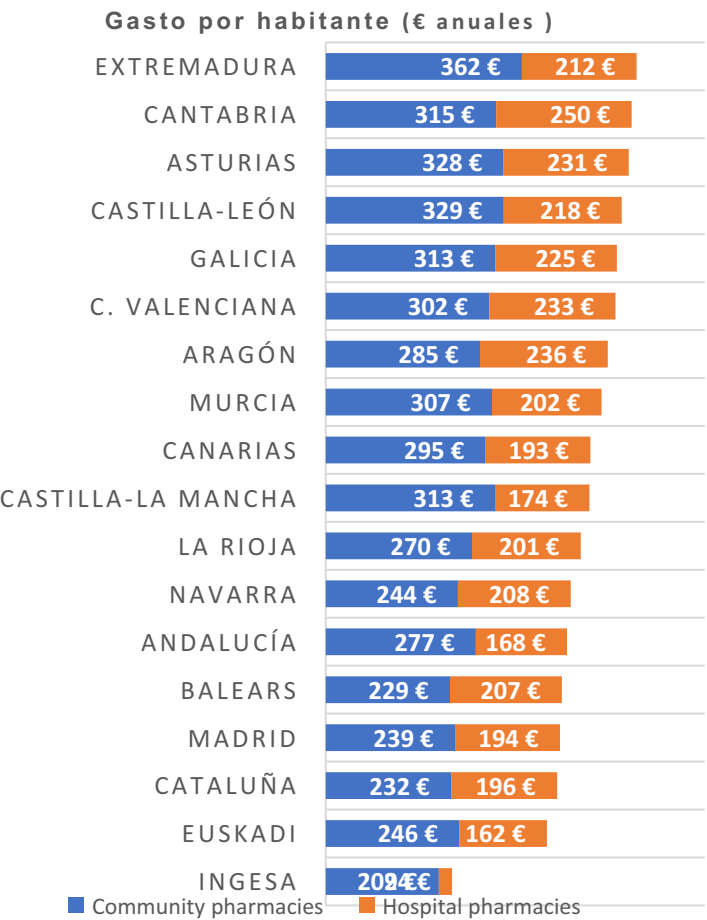
Decisión de precio y financiación : Ministerio Sanidad

17 autonomías con competencias descentralizadas para la gestión presupuestaria y organización

Coexistencia de modelos de gestión : proveedores de servicios públicos , concertados , contratación



Gasto farmacéutico por CCAA



La regulación y el acceso a España



Autorización de comercialización

centralizada EMA / nacional o descentralizada AEMPS

Decisión de precio y financiación

Ministerio de Sanidad
(Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos)

LGURM
La **financiación** de medicamentos por el SNS debe ser **selectiva y no indiscriminada**, teniendo en cuenta **criterios generales, objetivos y publicados**

a) **Gravedad, duración y secuelas** de las diferentes patologías para las que resulten indicados.

b) **Necesidades** específicas de ciertos colectivos.

c) **Valor** terapéutico y social del medicamento, **beneficio clínico incremental** y **coste-efectividad**.

d) **Racionalización del gasto** público en prestación farmacéutica e **impacto presupuestario** SNS

e) Existencia de **alternativas terapéuticas a menor precio o inferior coste** de tratamiento.

f) Grado de **innovación** del medicamento.

La evaluación de precio y financiación

Compara el nuevo medicamento y los ya disponibles

Incluye evaluación económica

Incluye aspectos de implementación y prácticos.

La planificación debe evaluar la **necesidad** que cubre el nuevo medicamento en el **contexto** de otras **necesidades** que compiten por los recursos

Debe considerar los **criterios** de equidad y protección de determinados colectivos.

El Ministerio puede

- Aceptar la propuesta de precio hecha por el fabricante
- Proponer un precio distinto que se ajuste al resultado de la evaluación
- Considerar que el producto no cumple los criterios de financiación

El fabricante puede

- Aceptar la resolución y comercializar
- Apelar y realizar nuevas propuestas
- Decidir no comercializar el medicamento en España

RD evaluación de tecnologías sanitarias

«evaluación de las tecnologías sanitarias»: un proceso multidisciplinar de evaluación comparativa de los aspectos médicos, sociales y relativos a las y los pacientes, y las cuestiones económicas y éticas relacionadas con el uso de una tecnología sanitaria de manera sistemática, transparente, imparcial y rigurosa;

Estado de tramitación avanzada

- Audiencia pública cerrada el 20 de septiembre 2024

Objeto:

- Regular las actividades de evaluación dirigidas a informar decisiones de la administración relativas a la incorporación, financiación, precio, reembolso o desinversión en tecnologías sanitarias

Estructura común de evaluación para todas las tecnologías

- Configuraciones específicas:
 - Medicamentos y productos sanitarios
 - Otro tipo de tecnologías

ETS informa, decisor decide

- Deben identificarse ambos ámbitos de trabajo, con estructuras, competencias y responsabilidades propias

Desarrollar un marco de la ETS coherente y complementario al Europeo

Desarrollar marco, normas y metodologías comunes para la ETS a nivel nacional

Desarrollar mecanismos de coordinación para trasladar las evaluaciones a las decisiones de la administración.

Marco normativo

X @GuardConsortium

Evaluación conjunta EU MyPS

- Solo si procedimiento centralizado
- Cuatro dominios clínicos
 - Descripción eficacia clínica relativa sin juicio de valor
 - EM deberá tener en cuenta
- Proceso nacional de ETS EM:
 - Análisis clínicos complementarios
 - Evaluaciones no clínicas.

Reglamento (UE) 2021/2282

Criterios generales inclusión en la prestación farmacéutica de MyPS

- Valor terapéutico y social del medicamento
- Beneficio clínico incremental
- Coste-efectividad
- Valor social
- Componente de innovación
 - Avances terapéuticos indiscutibles
 - Contribución a la sostenibilidad y al PIB

Artículo 92 LGURM

Tecnologías sanitarias

- Evaluación preceptiva previa a la utilización
- Serán sometidas a evaluación
- RedETS

Artículo 21.2 Ley 16/2003 de cohesión

Continuidad y coherencia con la evaluación conjunta europea
Orientada a las fases posteriores de decisión sobre financiación y precio,
acceso y despliegue en el sistema sanitario

RD evaluación de tecnologías sanitarias

✕ @GuardConsortium

Contexto

El desarrollo y el acceso a las tecnologías sanitarias excede el ámbito exclusivo de la salud

Fuente de investigación, innovación y conocimiento

Motor del desarrollo industrial, de la creación de empleo y del crecimiento económico.

Evaluación para informar

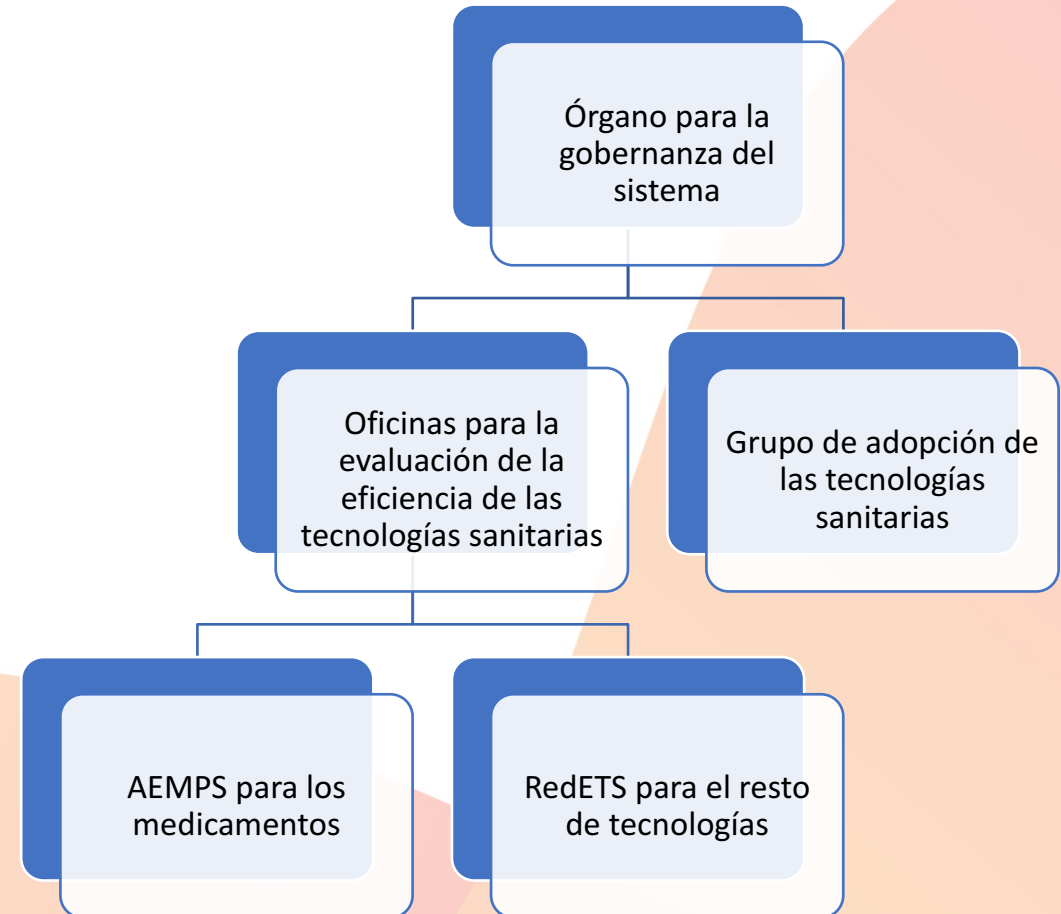
- Incorporación
- Financiación
- Precio
- Reembolso
- Desinversión

Tecnologías sanitarias

- Medidas de prevención, diagnóstico o tratamiento de enfermedades
- Medicamentos
- Productos sanitarios (PS)
- Pruebas diagnóstico 'in vitro'
- Terapias y PS digitales
- Procedimientos médicos y quirúrgicos
- Modelos organizativos

Sistema para la evaluación de la eficiencia de las tecnologías sanitarias

- Metodología común y coordinada
- Ampliar el alcance de la evaluación con aspectos de competencia exclusiva de los Estados miembros
- Categorización del efecto relativo
- Evaluación económica complementaria
- Posicionamiento de la tecnología
- Ampliable a tecnologías fuera del alcance del reglamento
- Consideración de ámbitos no clínicos
- Aspectos éticos
- Aspectos sociales
- Aspectos organizativos
- Aspectos jurídicos



Evaluación de tecnologías sanitarias



Transparencia y predictibilidad de los procesos de evaluación

Aspectos Clínicos

Identificación de un problema de salud y la tecnología sanitaria actual,

Análisis de las características técnicas de la nueva tecnología sanitaria

Seguridad relativa

Eficacia relativa

Aspectos No clínicos

Coste y evaluación económica de una tecnología

Aspectos éticos

Aspectos organizativos

Aspectos sociales

Aspectos jurídicos

Reglamento (UE) 2021/2282 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 15 de diciembre de 2021, sobre evaluación de las tecnologías sanitarias y por el que se modifica la Directiva 2011/24/UE.

Equilibrio



Incentivación

- Retornos competitivos
- Compensación de riesgos
- Dinamización del sector
- Fomento del empleo cualificado
- Impacto sobre la economía
- Resiliencia regional

Sostenibilidad

- Control de los costes de oportunidad
- Proporcionalidad al valor
- Capacidad de planificación sanitaria
- Medición del valor
- Revisión / reversibilidad de las decisiones



Globalización

Estrategias que optimizan los planes de negocio

- Las compañías trabajan en clave internacional
 - Priorización de países que asignan precios más elevados
 - Secuencia de autorización de las indicaciones para maximizar precio inicial y posteriores
 - Secreto sobre el resultado de las negociaciones y doble precio
- Política de precios marcada por la oferta, y condicionada por precedentes de productos similares
 - Estrategia por producto y por indicación que fragmenta las decisiones
 - Los precios secretos dificultan transparentar decisiones trazables, predictibles y basadas en valor.
 - Decisión dependiente de acuerdos entre Ministerio y empresa – si la empresa no comercializa, alto coste político y social.

En resumen

Los medicamentos deben contar con cuatro garantías:

- Calidad
- Eficacia
- Seguridad
- Eficiencia

La primera puerta se abre en Europa cuando se cumplen las tres primeras.

La cuarta garantía es competencia de cada país miembro, y debe considerar la organización sanitaria y los condicionantes de cada país.

La evaluación de autorización y de financiación son procesos científicos y regulados que utilizan metodologías y datos similares, pero perspectivas diferentes.

La incertidumbre dificulta la toma de decisiones, tiene costes y su gestión es compleja, aún más en un contexto sanitario descentralizado.

Estamos en un momento de desarrollo normativo destinado a homogeneizar y tecnificar los procesos de acceso.

Gracias por su atención

cpontes@santpau.cat



SANT PAU
Campus Salut
Barcelona



Hospital de
la Santa Creu i
Sant Pau



Institut
de Recerca[®]
Sant Pau



Campus
d'Aprenentatge
Sant Pau



Fundació
Privada Hospital
de la Santa Creu i
Sant Pau

¡Gracias!