



Artículos seleccionados

- Gutiérrez L, Patris J, Hutchings A, Cowell W. Principles for consistent value assessment and sustainable funding of orphan drugs in Europe. *Orphanet J Rare Dis.* 2015; 10: 53. Doi: 10.1186/s13023-015-0269-y. Disponible en: <http://www.ojrd.com/content/pdf/s13023-015-0269-y.pdf>
- Schey C, Milanova T, Hutchings A. Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe: 2010-2020. *Orphanet J Rare Dis.* 2011; 6: 62. Disponible en: <http://www.ojrd.com/content/pdf/1750-1172-6-62.pdf>

Mejoras de la regulación de los medicamentos huérfanos y predicciones de su impacto presupuestario en Europa

Carlos Campillo-Artero

Servei de Salut de les Illes Balears. Centre de Recerca en Economia i Salut. Universitat Pompeu Fabra

En el primer artículo se proponen, desde la perspectiva de una compañía farmacéutica, diez medidas destinadas a mejorar la congruencia, efectividad y sostenibilidad de los procedimientos utilizados para establecer el valor de los medicamentos huérfanos (MH) en Europa. Numerosos factores explican que en la esfera de las enfermedades raras (ER) sea mucho más singular y más complejo lograr un conocimiento suficiente sobre su etiopatogenia, desarrollar MH más eficaces y seguros con umbrales de incertidumbre razonables, y fijar precios que, a un tiempo, reflejen un valor terapéutico añadido, estimulen la innovación, sean asumibles por sistemas de salud con restricciones presupuestarias intensificadas por la crisis, no menoscaben su sostenibilidad ni solvencia, y garanticen su accesibilidad. Por ello, es crucial que los estudios y la vigilancia poscomercialización reduzcan la incertidumbre sobre su eficacia y seguridad (derivada, sobre todo, del bajo número de pacientes que participan en los ensayos clínicos, cuando se realizan, y del uso insuficiente o deficiente de los diversos diseños existentes) y ayuden a ajustar indicaciones, precios y reembolsos con las evidencias que se obtengan paulatinamente.

Los autores plantean diez medidas en tres frentes: establecimiento del valor terapéutico de los nuevos MH, innovación y precio, y sostenibilidad del modelo regulatorio europeo. Ninguna medida es novedosa, y pueden parecer indiscutibles *prima facie*. Pero la bibliografía es pródiga en escrutinios de todas ellas, así como de otras no mencionadas. Por ello, deben matizarse si queremos ser rigurosos y si se pretende preservar la eficiencia social.

En suma, es determinante considerar muchos hechos adicionales. Sólo algunos ejemplos: la formulación de algunos estándares de evidencia en las directivas regulatorias es vaga o controvertida (raro, clínicamente relevante o beneficio significativo); existe un amplio margen de mejora en la utilización de diferentes diseños de ensayos clínicos con muestras pequeñas y que reducen la brecha entre estimación de efecto en grupos y estimación en individuos, así como en registros internacionales; carecemos de umbrales de incertidumbre socialmente consensuados; la fijación de precios actual ni traduce el valor terapéutico añadido ni es dinámica para ajustarlos a nuevas evidencias de efectividad y seguridad (el desarrollo de la efectividad comparada y, sobre todo, su influencia en las decisiones son aún insuficientes); tampoco es transparente; los criterios de autorización y reembolso siguen sin ser armónicos; los conflictos de interés modulan la regulación; los incentivos a la I+D+i son ineficientes (lo expresa, por ejemplo, la paradoja de la innovación), y en los análisis a menudo se soslayan costes de oportunidad de las decisiones.

El segundo artículo presenta, desde la misma perspectiva, un análisis del impacto presupuestario de los MH: estima un aumento continuo de la cifra acumulada de enfermedades raras para las cuales se apruebe un MH y que su coste como porcentaje del gasto en farmacia total en Europa se mantendrá constante de 2016 a 2020.

Elementos clave como la utilización de la ER como unidad de análisis en lugar del MH, la única inclusión de los medicamentos que tienen una designación de huérfano (y la omisión de otros MH), y resultados basados exclusivamente en un análisis de sensibilidad determinístico (cuando, por ejemplo, el tiempo entre designación de MH y la aprobación, el porcentaje de designados que se autoricen y los precios a buen seguro pueden cambiar simultáneamente), lo convierten en un ejercicio puntual interesante, pero cuya validez y capacidad predictiva son debatibles. Los MH no deben analizarse aisladamente, y no hay que olvidar que la eficiencia y el bienestar sociales dependen del equilibrio que se alcance entre todos los sectores, no sólo en el de la salud. Incluso los análisis de equilibrio parcial son siempre parciales.

Dr. Julio Martínez

Coordinador clínico. Jefe del Servicio de Farmacia. Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona

No es de extrañar que a todo el mundo le preocupe el tema de las enfermedades raras y su tratamiento con medicamentos huérfanos. Preocupa a los pacientes, a los reguladores, a los planificadores, a los financiadores, a los proveedores, a los profesionales; en fin, a todo el mundo. Una de las cuestiones que mayor inquietud despiertan es la sostenibilidad y el incremento del impacto presupuestario futuro de estos tratamientos, que pueden llegar a costar más de 300.000 € por paciente al año, tras la aplicación de la normativa europea de estímulo a la investigación en medicamentos huérfanos, lo que puede conducir a un incremento exponencial del número de moléculas que llegarían al mercado.

En el artículo de Schey et al. se presentan los resultados de un estudio de 2011 realizado por una compañía farmacéutica con experiencia en el campo de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, en el que se ofrece una previsión del impacto presupuestario que estos medicamentos tendrán en el año 2020. Con los datos disponibles en el momento y haciendo unas asunciones razonables para el año 2010, efectúan una extrapolación del impacto económico que tendrán estos tratamientos en el periodo comprendido hasta el 2020 en la Unión Europea. Los resultados predicen un crecimiento del porcentaje de gasto en MH sobre el total del gasto farmacéutico des un 3,3% en 2010 hasta un 4,6% en 2016; a partir de esta fecha y hasta el 2020 el gasto se estabilizará, debido principalmente a la finalización del periodo de patente de algunos de estos medicamentos. Aunque estas predicciones no parecen alarmantes, en este análisis no se tienen en cuenta ni la posible llegada de cambios cualitativos en este tipo de tratamientos (la terapia génica, por ejemplo), ni el éxito de las políticas sanitarias, que permitirían un mayor acceso de pacientes al diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras.

En el otro artículo, publicado en 2015, se aborda el tema del precio y la financiación de los medicamentos huérfanos. El marco regulatorio europeo para los medicamentos huérfanos ha estimulado con éxito la investigación en este campo, lo que ha dado como resultado la autorización de nuevos tratamientos en la Unión Europea. Mientras que el procedimiento de designación y autorización de medicamentos huérfanos se realiza a nivel central, las decisiones sobre el precio y el reembolso se toman a nivel local. Desgraciadamente, en los países que integran la Unión Europea no existe un consenso sobre cómo medir el valor que aportan estos medicamentos, lo que ha conducido a situaciones de inequidad en el acceso a ellos entre los diferentes países. Debido a este hecho, numerosos planificadores de las políticas sanitarias están considerando reformas para mejorar la accesibilidad. En este artículo se plantean, desde el punto de vista de la industria farmacéutica, diez principios que los planificadores deberían tener en cuenta a la hora de acometer dichas reformas. Además de continuar con las actuales políticas de estímulo, se propone un mayor alineamiento entre la financiación y el marco regulatorio, con un modelo de evaluación del valor en el que se contemplen las características particulares de esta población y estos tratamientos, que las decisiones de precio y financiación tengan en cuenta también estas características especiales, que se despliegue un modelo de financiación que no dificulte el acceso a estos medicamentos, y que la financiación a largo plazo se realice basándose en *real world data* procedentes de la experiencia acumulada registrada con el paso de los años y que aclaren las dudas sobre el beneficio de estos tratamientos en el momento de la autorización de comercialización.

Puntos clave

- Las previsiones del impacto presupuestario de los medicamentos huérfanos indican que no crecerá de forma desmesurada en los próximos años.
- Para evitar dificultades de acceso a estos medicamentos, hay que diseñar un marco europeo de consenso en la fijación de precio y financiación adecuado a las características especiales de la población y los medicamentos huérfanos.
- Deben generarse registros que permitan comprobar, con *real world data*, los beneficios y los riesgos a largo plazo.

