5º CONGRESO de Oncología y Farmacia Médica Oncológica

23-25 noviembre 2017

Evaluación de tratamientos y tecnología sanitaria: nuevos horizontes

Fernando Ignacio Sánchez Martínez

Departamento de Economía aplicada. Universidad de Murcia

Viernes 24 de noviembre | MESA 6 – EL SOPORTE NECESARIO: "SUBIR A POR AIRE"

CONTENIDOS

- Introducción
- La importancia de la evaluación (económica)
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- Epílogo: primero, la efectividad

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

CONTENIDOS

- **Introducción**
- La importancia de la evaluación (económica)
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- Epílogo: primero, la efectividad

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

"Subir a por aire"

Necesitamos un respiro,

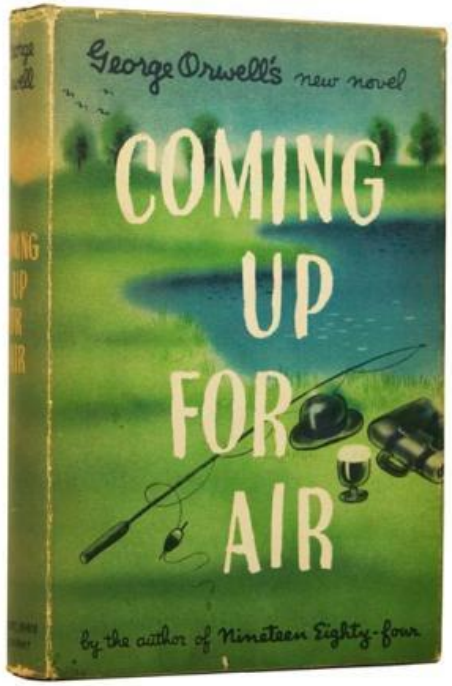
salir a tomar aire,

pensar,

…

…

y actuar



Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

Costes sanitarios del cáncer y su tratamiento

- Un **6 %** del gasto sanitario de la UE se destina al cáncer.
- El gasto en medicamentos representa cerca de la **cuarta parte** del gasto sanitario en oncología.
- Casi un **50 %** de los ensayos clínicos de la industria se realizan en oncología.

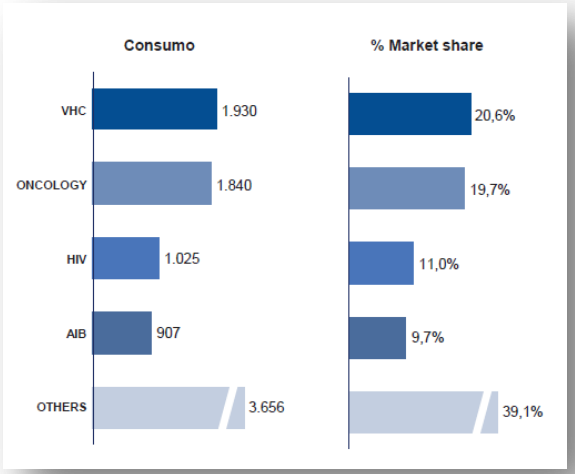
- El gasto en medicamentos oncológicos ascendió en España a 1.656 millones € en 2014 (datos de Farmaindustria)
  - ≈ **10 %** del gasto público en medicamentos
  - ≈ **30 %** del gasto farmacéutico hospitalario
  - ≈ **2,7 %** del gasto sanitario público total

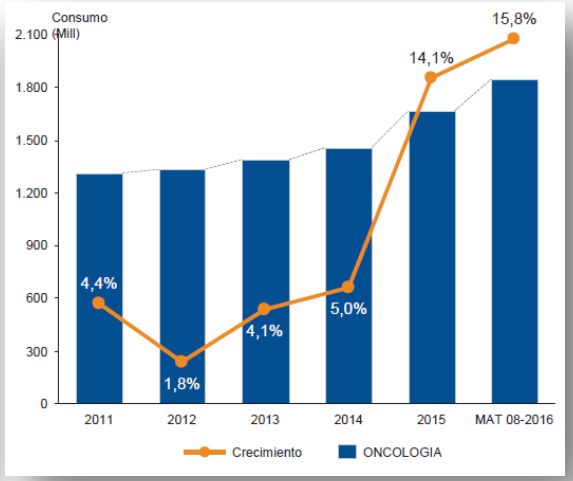
En 2016 unos 1.850 millones €

"Subir a por aire"

La oncología en el gasto hospitalario

- Segunda área terapéutica tras la Hepatitis C
- Reciente dinamismo del gasto
- Que se acentuará en los próximos años.





Eventos que dirigen el crecimiento

- **Lanzamiento de nuevos fármacos dirigidos a dianas moleculares específicas:**

  Las terapias dirigidas cobran cada vez mayor importancia por su selectividad de acción tanto en **tumores sólidos** (mama, ovario, pulmón, melanoma…) como en **tumores hematológicos** (LLC, mieloma múltiple…)

- **Lanzamiento de fármacos Inmuno-oncológicos:**

  Fármacos dirigidos, en este caso a dianas inmunológicas, que han demostrado resultados exitosos en tumores nicho (melanoma, pulmón, renal) y que actualmente se están estudiando en otros tumores

- **Aprobación de nuevas indicaciones:**

  Aumento de las opciones de tratamiento en cada indicación para los pacientes afectados

- **Aumento de la esperanza de vida y avances que permiten un diagnóstico más temprano:**

  Todo ello incrementa la población susceptible de poder beneficiarse de un tratamiento oncológico

Fuente: QuintilesIMS. Evolución y tendencias del mercado farmacéutico español. 2016.

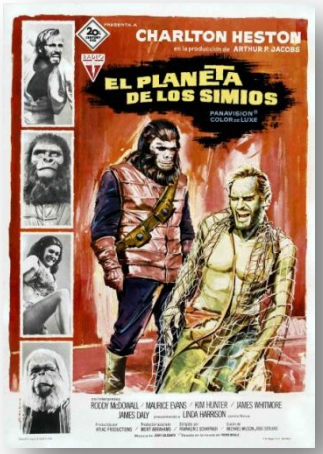
"Subir a por aire"

Prevenir un cáncer no tiene precio

¿Qué significado tiene el concepto de alto o bajo coste cuando nos referimos a medidas de salud?

¡Quita tus sucias manos de encima, ~~moro~~ asqueroso!

economista



La salud SÍ tiene precio

- *Desgraciadamente, el único paciente que no cuesta dinero es el que ya ha fallecido.*

"La asistencia sanitaria no es esencialmente diferente de otros bienes y servicios de la economía. La oferta de médicos, de residencias, de camas hospitalarias y de otros servicios es limitada. Las demandas de la población son muy superiores a los recursos existentes."

Paul A. Samuelson
Premio Nobel de Economía 1970

Introducción

"Subir a por aire"

Precios reales y oficiales de medicamentos para el cáncer, para dosis mínimas comunes en 15 países europeos.

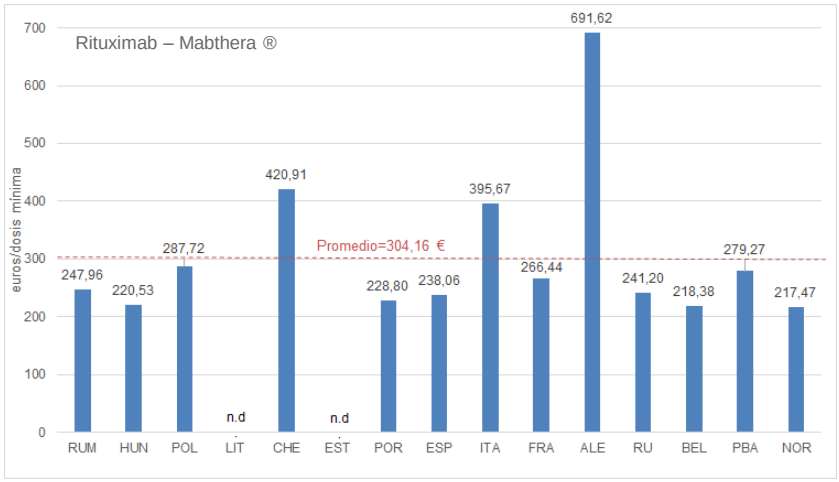
	País	Rumanía	Hungría	Polonia	Lituania	R. Checa	Estonia	Portugal	España*	Italia*	Francia*	Alemania*	R. Unido	Bélgica*	P. Bajos**	Noruega
	PIBpc (€)	7.500	10.500	10.700	12.400	14.700	14.800	16.600	22.800	26.600	32.200	32.500	34.500	36.000	39.300	73.400
Herceptin® 1 vial/150 mg (€) Trastuzumab	Precio real	563,14	516,47	n.d.	476,56	481,82	674,80	n.d.	506,88	557,70	542,43	670,00	562,71	517,92	605,25	497,74
	Precio oficial	585,26	630,38	537,99	476,56	502,73	n.d.	509,13	573,58	913,45	542,43	718,33	562,71	536,76	606,49	523,50
Perjeta® 1vial/420 mg (€) Pertuzumab	Precio real	2.677,24	2.594,37	n.d.	n.d.	2.590,91	2.762,00	n.d.	2.590,18	2.850,81	5.891,10	5.440,00	3.308,01	2.754,72	3.000,00	n.d.
	Precio oficial	2.677,24	n.d.	2.419,94	n.d.	2.649,10	n.d.	2.761,64	2.910,58	4.113,44	2.891,10	2.580,83	3.308,01	2.840,66	3.000,00	2.474,58
Mabthera® 1 vial/100 mg (€) Rituximab	Precio real	238,19	n.d.	n.d.	n.d.	n.d.	295,27	n.d.	210,56	262,36	266,44	n.d.	241,16	210,38	271,13	210,80
	Precio oficial	247,96	220,53	287,72	n.d.	420,91	n.d.	228,80	238,06	395,67	266,44	691,62	241,20	218,38	279,27	217,47
Avastin® 1 vial/100 mg (€) Bevacizumab	Precio real	283,67	n.d.	176,53	237,12	n.d.	345,26	n.d.	278,01	300,33	250,65	n.d.	335,16	312,26	321,54	260,93
	Precio oficial	297,47	274,65	317,73	237,12	261,82	n.d.	266,41	328,67	412,86	250,65	286,88	335,16	322,89	321,08	286,58
Yervoy® 1 vial/50 mg (€) Ipilimumab	Precio real	4.024,29	n.d.	n.d.	5.500,00	3.150,91	4.237,38	n.d.	2.338,83	2.684,92	3.536,50	3.200,00	n.d.	4.250,00	4.144,00	3.143,06
	Precio oficial	4.024,29	3.251,40	4.340,73	5.500,00	3.682,73	n.d.	2.975,00	4.086,54	5.754,84	3.536,50	3.273,25	5.179,56	4.380,80	4.250,00	5.191,65
Glivec® 1 tab/100 mg (€) Imatinib	Precio real	15,05	n.d.	n.d.	17,93	15,80	7,06	n.d.	18,26	16,35	18,23	24,00	19,85	19,37	20,96	17,51
	Precio oficial	15,12	16,46	17,60	17,93	15,86	n.d.	18,05	18,98	25,10	19,02	24,56	19,85	20,31	20,96	17,74
Sutent® 1 cap/12,5 mg (€) Sunitinib	Precio real	37,52	n.d.	n.d.	38,48	34,03	38,16	n.d.	39,33	42,50	41,44	n.d.	n.d.	43,38	36,56	37,85
	Precio oficial	37,52	37,02	44,89	38,48	36,18	n.d.	42,38	40,80	66,01	45,39	52,72	38,70	46,45	43,91	38,19
Zelboraf® 1 tabl/240 mg (€) Vemurafenib	Precio real	38,96	n.d.	34,88	27,15	29,22	n.d.	n.d.	33,61	34,94	29,01	26,00	n.d.	30,21	29,32	23,16
	Precio oficial	38,96	37,35	37,67	27,15	29,22	n.d.	27,92	39,66	55,61	30,48	27,42	43,16	34,82	37,81	34,12
Xtandi® 1 vial/40 mg (€) Enzalutamide	Precio real	27,77	n.d.	19,30	n.d.	25,79	n.d.	n.d.	21,77	21,51	27,75	n.d.	n.d.	27,50	27,50	n.d.
	Precio oficial	27,77	n.d.	n.d.	n.d.	25,79	n.d.	26,98	21,10	45,61	28,62	29,98	33,73	28,35	27,50	29,00

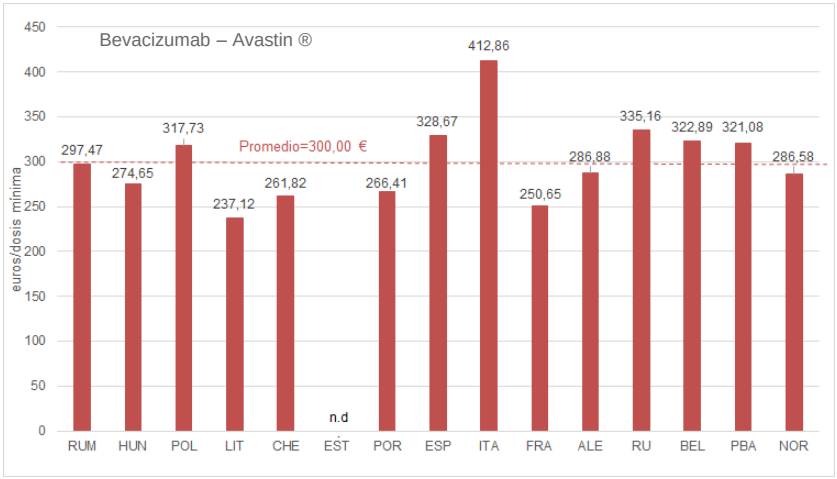
Precios sin IVA en euros por dosis mínima proporcionados por uno, dos (*) o tres (**) centros de cada país. "n.d." = no disponible.
Para los países que no enviaron sus precios en euros se aplicaron los tipos de cambio en la fecha del análisis (los mismos para los precios reales y oficiales/publicados).
Fuente: van Harten , et al. (2016).

Introducción

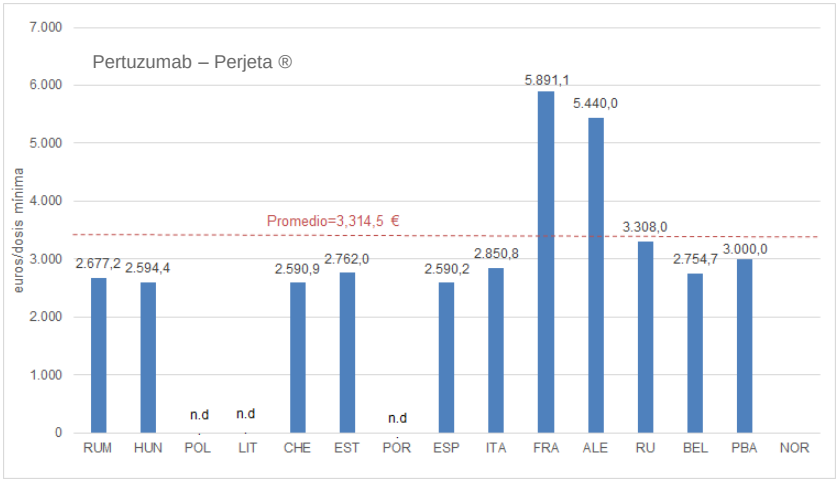
"Subir a por aire"

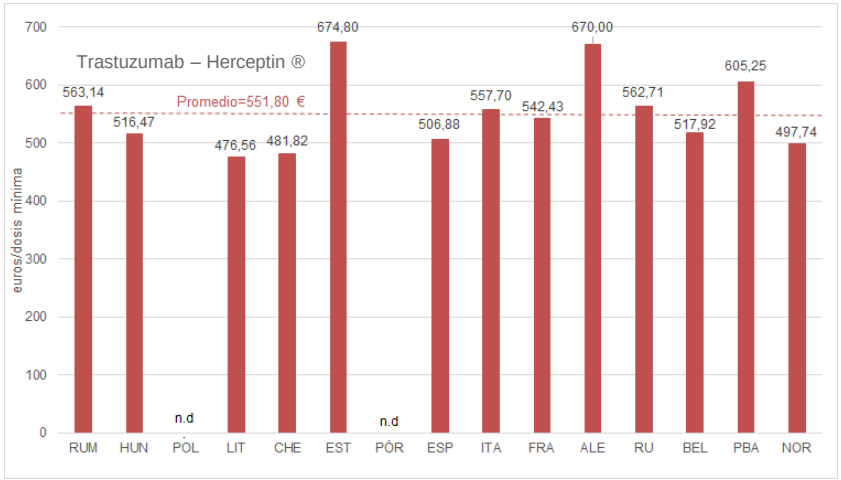
PRECIOS OFICIALES





PRECIOS REALES





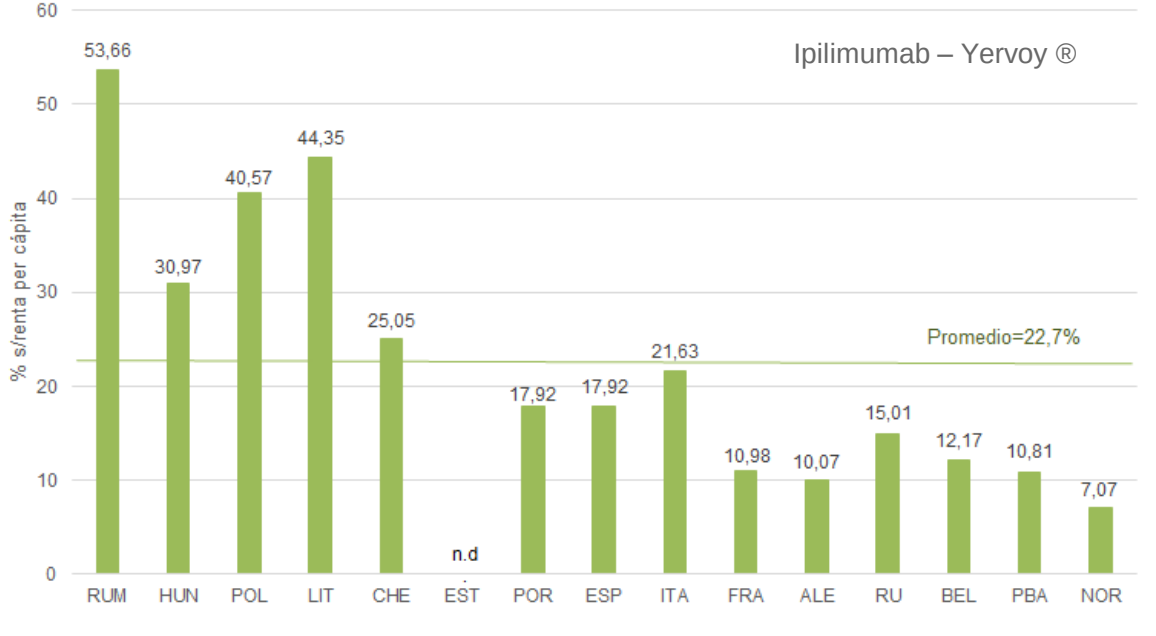
Fuente: Elaboración propia a partir de los datos de van Harten , et al. (2016).

"Subir a por aire"

confirming what they have long suspected: drug prices are typically driven by what the market will bear.[3]

Fojo & Lo (2016).

- ¿Existe una relación precio-renta (PIB per cápita)?



Fuente: Elaboración propia a partir de los datos de van Harten , et al. (2016).

Introducción

"Subir a por aire"

- In 2014, all new US Food and Drug Administration (FDA)—approved cancer drugs were priced above $120,000 per year of use[4]

Fuente: Mayo Clin Proc. August 2015; 90(8): 996-1000.

Yescarta ® - Gilead

TREATMENT SUPPORT FOR YESCARTA™ (axicabtagene ciloleucel) Suspension for IV infusion

$ 373.000

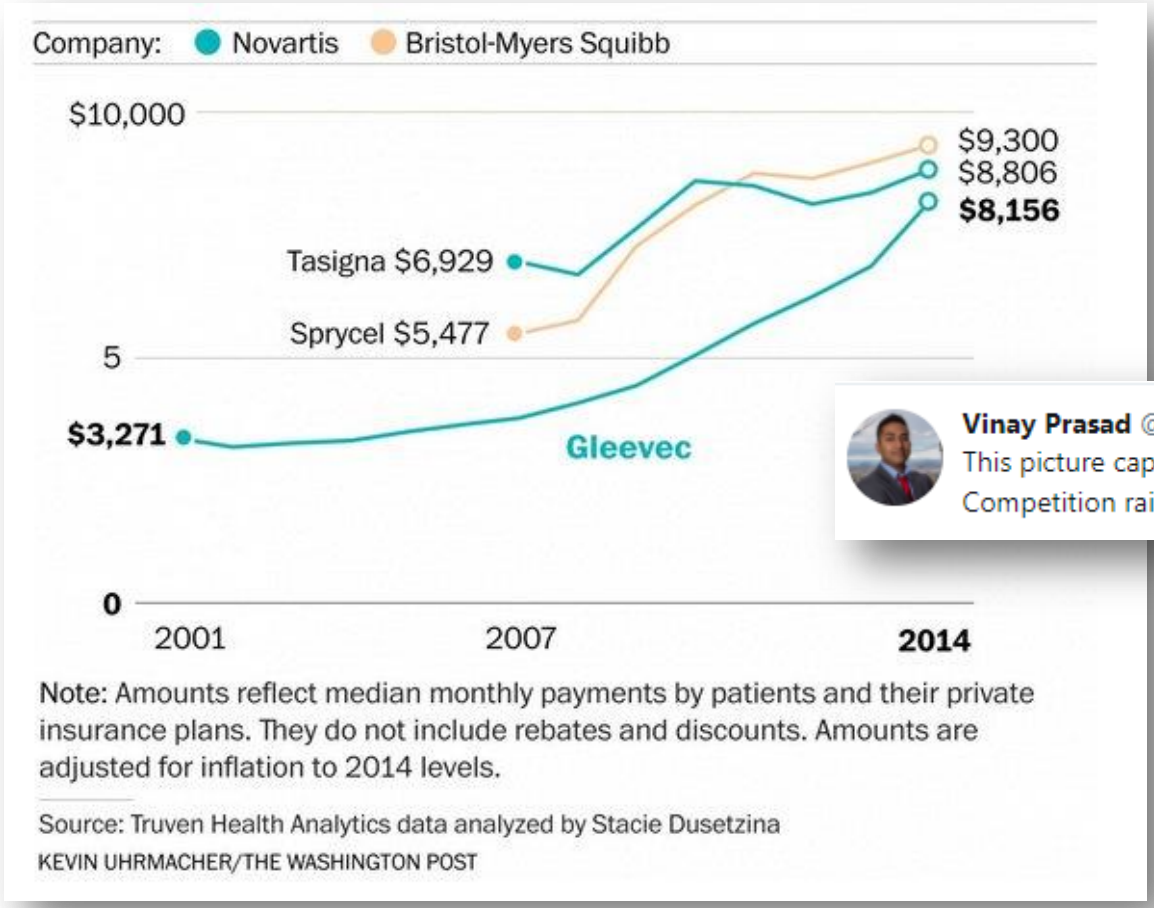
Kymriah ® - Novartis

$ 475.000

NO ES SANO PREGUNTA A GILEAD Y A NOVARTIS POR QUÉ SUS NUEVOS TRATAMIENTOS RONDAN LOS 400 MIL DÓLARES

Introducción

"Subir a por aire"



Introducción

"Subir a por aire"

«Pero George, ¡esto es muy serio! Realmente, no sé lo que vamos a hacer. No sé de dónde vamos a sacar el dinero. Es que me parece que no te das cuenta de lo serio que es, George...».

George Orwell. *Coming up for air*. 1939.
(cita de la edición en castellano de 1983: *Subir a por aire*. Ediciones Destino, pág. 15).

CONTENIDOS

- Introducción
- **La importancia de la evaluación (económica)**
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- Epílogo: primero, la efectividad

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

La necesidad de evaluar

- Necesidad de comparar los beneficios (en salud) de una decisión con su coste de oportunidad, esto es, con los beneficios que se sacrifican.

> "*¿Qué vamos a dejar de comprar para poder comprar estos fármacos?*" (O. Brawley, MD)

- La lógica de la evaluación económica (farmacoeconomía)

  – Una nueva tecnología sanitaria (intervención, tratamiento, fármaco, programa) **¿vale lo que cuesta?**

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

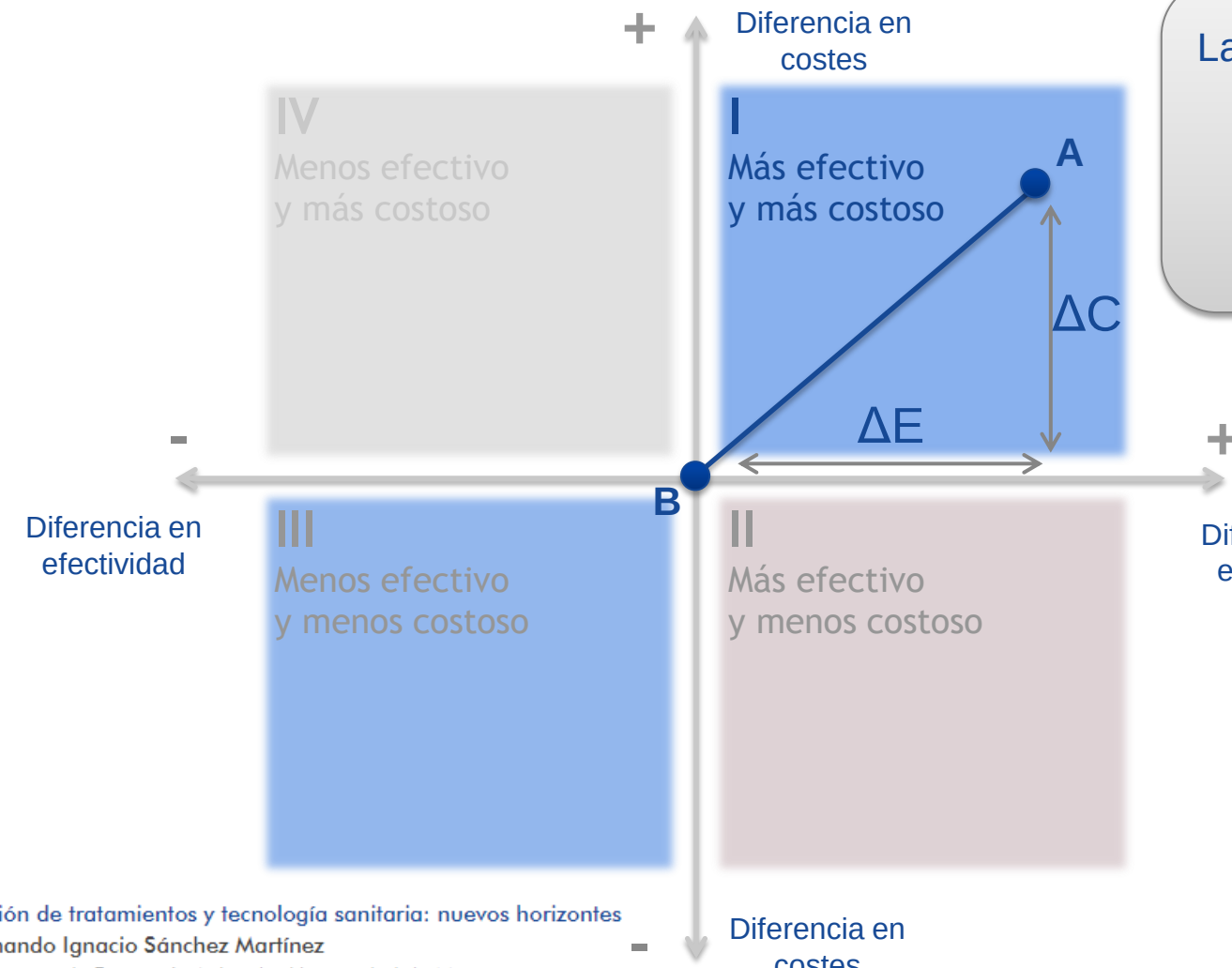
El plano coste-efectividad

- Los métodos de evaluación económica miden el grado de eficiencia de las tecnologías sanitarias comparando los costes adicionales que generan con el beneficio incremental que aportan.

El plano coste-efectividad

- Los métodos de evaluación económica miden el grado de eficiencia de las tecnologías sanitarias comparando los costes adicionales que generan con el beneficio incremental que aportan.

La ratio coste-efectividad (RCEI)



La ratio coste-efectividad incremental (RCEI)

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

La lógica de la evaluación económica

Un ejemplo: **ABIRATERONA EN CÁNCER DE PRÓSTATA METASTÁSICO (INFORME GÉNESIS-SEFH, ABRIL 2014)**

	ABIRATERONA		Placebo		Diferencia	
Coste	45.292 €	−	0 €	=	45.292 €	**ΔC**
Efectividad (SG)	35,3 meses	−	30,1 meses	=	5,2 meses (0,43 años)	**ΔE**

RATIO COSTE-EFECTIVIDAD INCREMENTAL

¿compensa? ¿merece la pena?

$$RCEI = \frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{45.292}{0,43} = \mathbf{105.330\ €/AVG}$$

¿VALE LO QUE CUESTA?

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

CONTENIDOS

- Introducción
- La importancia de la evaluación (económica)
- **¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?**
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- Epílogo: primero, la efectividad

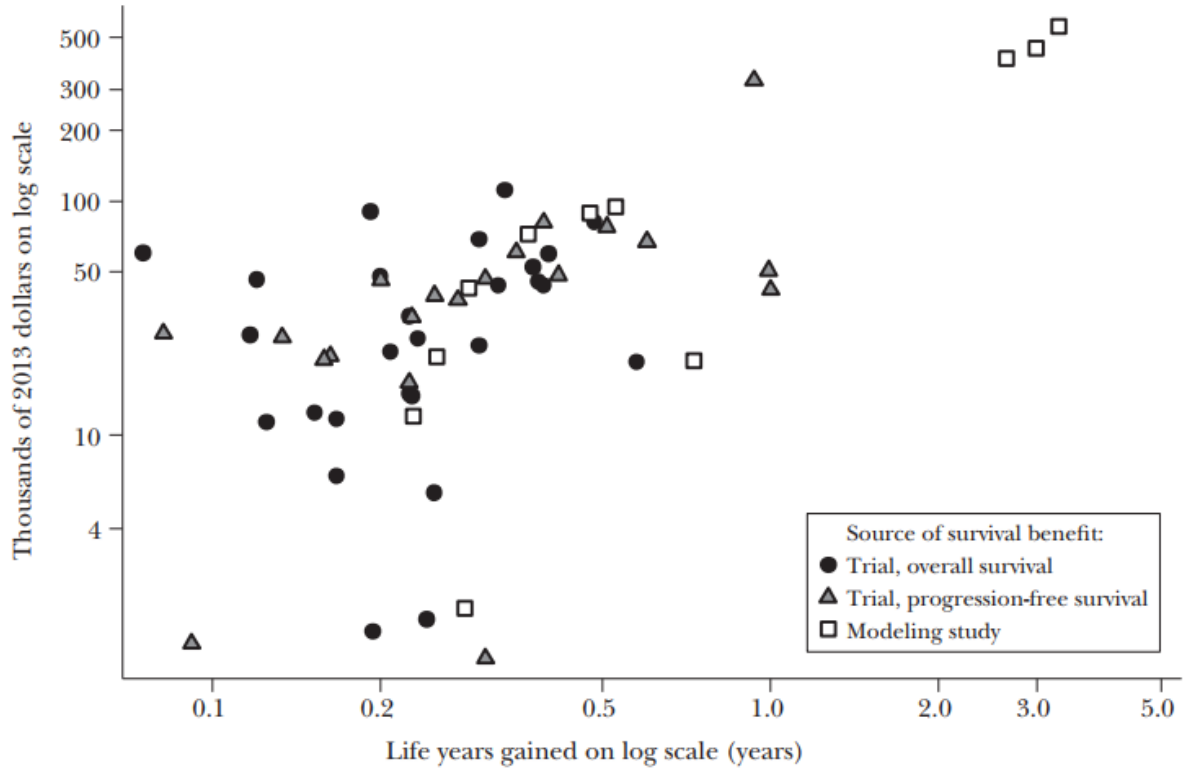
Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Estamos comprando valor?

A más resultados (supervivencia), más precio

Figure 1

Drug Prices versus Life Years Gained



Fuente: Howard, et al. (2015). Datos de Estados Unidos.

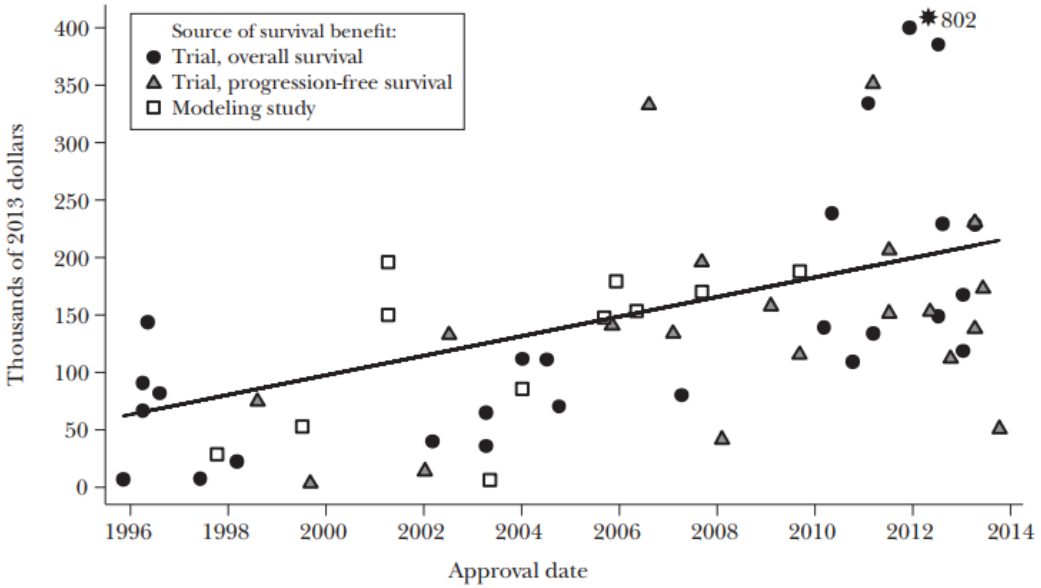
¿Cuándo una tecnología es "coste-efectiva"?

¿Estamos comprando valor?

¿Cuanto más nuevo, más "caro"?

Figure 2

Drug Price per Life Year Gained versus Drug Approval Date

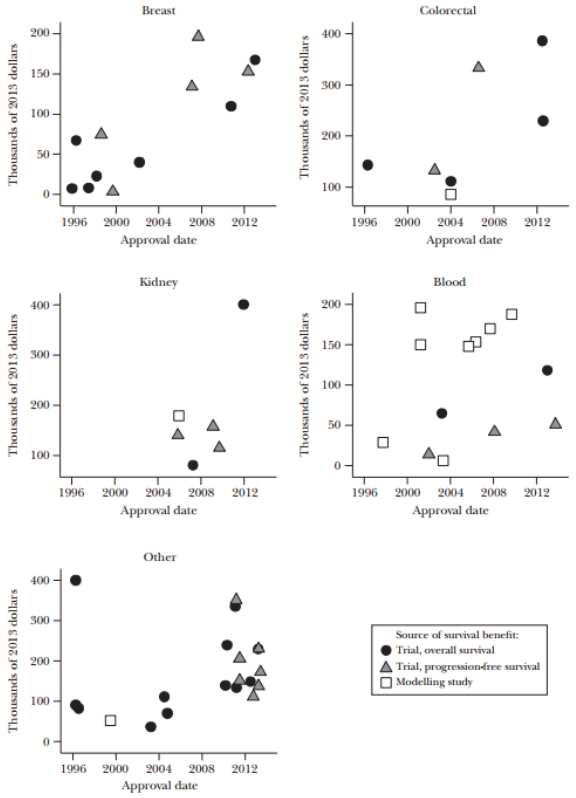


Source: Authors.

Notes: The best fit line is: Price per life year gained = $54,100 + $8,500 × Approval Year. Approval Year = 0 for 1995, 1 for 1996, . . . 19 for 2014. For purposes of display, we recoded one value from $802,000 to $400,000.

Figure 3

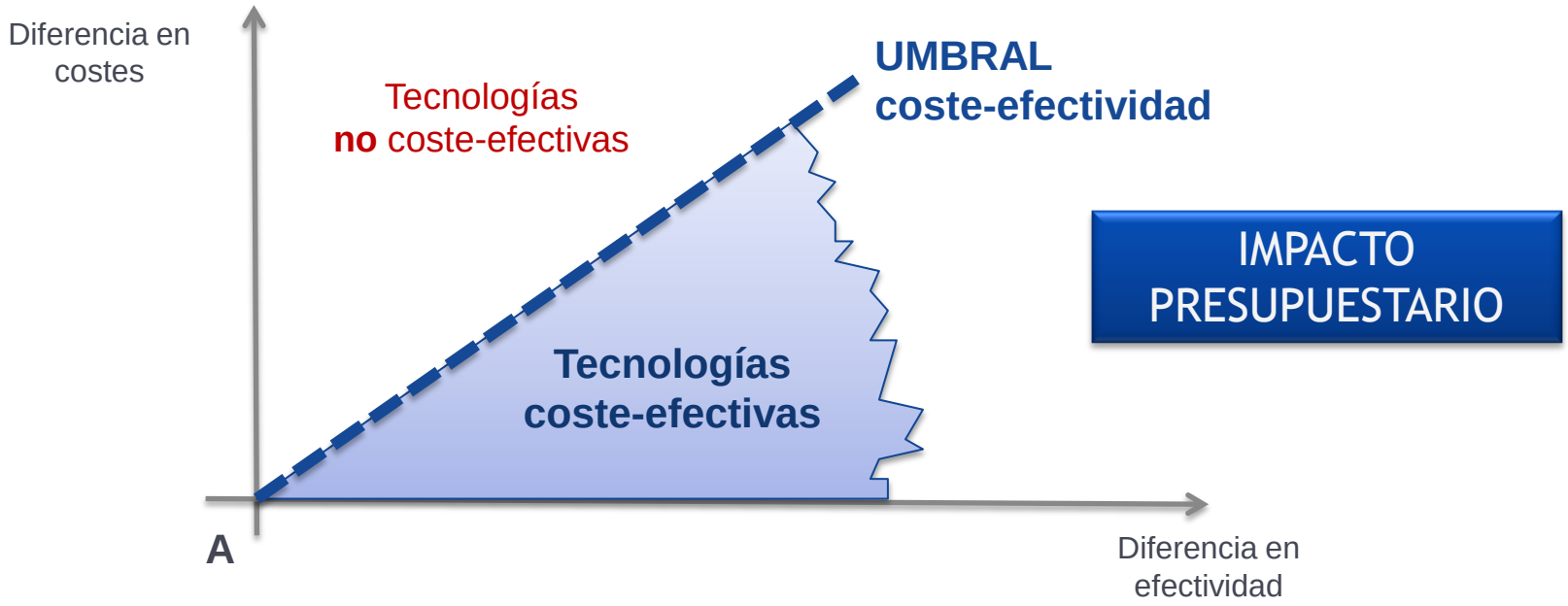
Drug Price per Life Year Gained versus Drug Approval Date by Indication



Fuente: Howard, et al. (2015). Datos de Estados Unidos.

¿Cuándo una RCEI es aceptable?

- ¿Cuánto "merece la pena" gastar en una mejora en la salud (por ejemplo, en prolongar un año la vida de un paciente)?



El umbral coste-efectividad

¿Cuándo una RCEI es aceptable?

- ¿Cuánto "merece la pena" gastar en una mejora en la salud (por ejemplo, en prolongar un año la vida de un paciente)?

¿30.000 €?

¿50.000 €?

¿100.000 €?

Clin Transl Oncol (2014) 16:914–920
DOI 10.1007/s12094-014-1170-1

RESEARCH ARTICLE

Social value of a quality-adjusted life year (QALY) in Spain: the point of view of oncologists

C. Camps-Herrero · L. Paz-Ares · M. Codes · R. López-López · A. Antón-Torres · P. Gascón-Vilaplana · V. Guillem-Porta · A. Carrato · J. J. Cruz-Hernández · C. Caballero-Díaz · A. Blasco-Cordellat · J. A. Moreno-Nogueira · E. Díaz-Rubio

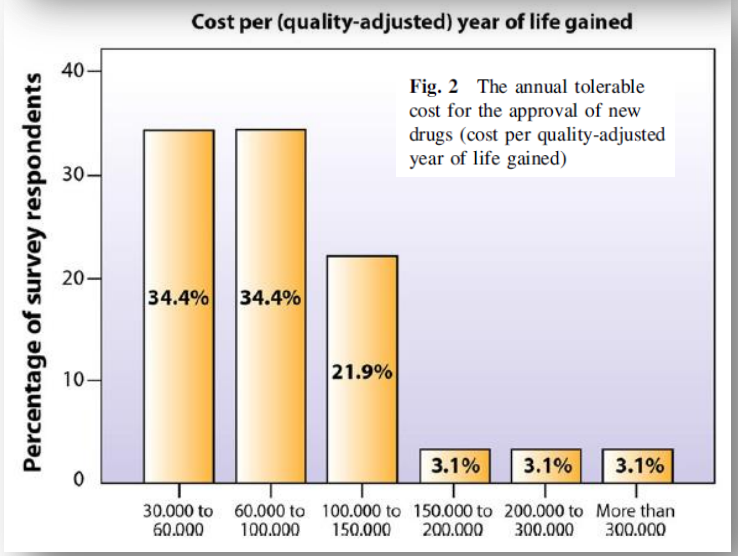


Fig. 2 The annual tolerable cost for the approval of new drugs (cost per quality-adjusted year of life gained)

CONTENIDOS

- Introducción
- La importancia de la evaluación (económica)
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- **¿Son los oncológicos un "caso especial"?**
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- Epílogo: primero, la efectividad

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

Medida de la efectividad: los AVAC

- La supervivencia no es el único resultado relevante de un tratamiento sanitario (incluso en oncología)
  - Existen tratamientos que:
    - No aumentan supervivencia, pero mejoran calidad de vida.
    - Aumentan supervivencia, *a costa de* reducir CV.
- Necesidad de disponer de una medida de resultados que combine supervivencia con calidad de vida:
  - Los **A**ños de **V**ida **A**justados por la **C**alidad (AVAC).

$$AVAC = U(Q,T) = T \times V(Q)$$

Utilidades o "pesos" de calidad de vida
$V(Salud\ perfecta) = 1$
$V(Muerte) = 0$

  - Un año de vida en perfecta salud es igual a 1 AVAC.
  - Si $V(H) = 0.5$ ⇨ 1 año en el estado H equivale a medio año con salud perfecta, esto es, 0.5 AVAC.

Medida de la efectividad: los AVAC

Un ejemplo: **ABIRATERONA EN CÁNCER DE PRÓSTATA METASTÁSICO (INFORME GÉNESIS-SEFH, ABRIL 2014)**

	ABIRATERONA		Placebo		Diferencia	
Coste	45.292 €	−	0 €	=	45.292 €	**ΔC**
Efectividad (SG)	35,3 meses	−	30,1 meses	=	5,2 meses (0,43 años)	**ΔE**

RATIO COSTE-EFECTIVIDAD INCREMENTAL

$$RCEI = \frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{45.292}{0,43} = \mathbf{105.330\ €/AVG}$$

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

Medida de la efectividad: los AVAC

Un ejemplo: **ABIRATERONA EN CÁNCER DE PRÓSTATA METASTÁSICO (INFORME GÉNESIS-SEFH, ABRIL 2014)**

	ABIRATERONA		Placebo		Diferencia	
Coste	45.292 €	−	0 €	=	45.292 €	**ΔC**
Efectividad (SG)	35,3 meses	−	30,1 meses	=	5,2 meses (0,43 años)	**ΔE**

RATIO COSTE-EFECTIVIDAD INCREMENTAL

Suponiendo calidad de vida: $V(Q) = 0.5$

$$RCEI = \frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{45.292}{0,43} = \mathbf{105.330\ €/AVG}$$

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

Medida de la efectividad: los AVAC

Un ejemplo: **ABIRATERONA EN CÁNCER DE PRÓSTATA METASTÁSICO (INFORME GÉNESIS-SEFH, ABRIL 2014)**

	ABIRATERONA		Placebo		Diferencia	
Coste	45.292 €	−	0 €	=	45.292 €	**ΔC**
Efectividad (SG)	35,3 meses	−	30,1 meses	=	5,2 meses (0,43 años)	**ΔE**

RATIO COSTE-EFECTIVIDAD INCREMENTAL

¿compensa? ¿merece la pena?

Suponiendo calidad de vida: $V(Q) = 0.5$

$$RCEI = \frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{45.292}{0,215} = \mathbf{210.660\ €/AVAC}$$

¿VALE LO QUE CUESTA?

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

¿Sirven los AVAC en oncología?

*Los AVAC **NO** son una medida de resultados apropiada*

1. Coast & Lavender (2009): Los pacientes con una EV reducida son muy diferentes del resto.
   - A veces no hay ganancias en supervivencia.
   - El estado de salud es menos importante.
   - Preferencias inestables en el tiempo.
   - **El tiempo se valora de modo distinto al final de la vida.**
2. Hughes (2005), Normand (2009): Hay una serie de intervenciones que se consideran deseables, tanto por la población, como por los decisores, pero que no generan suficientes AVAC para ser coste-efectivas.

*Los AVAC **SÍ** son una medida de resultados apropiada*

1. Round (2012): El criterio coste/AVAC sigue siendo el mejor método para asegurar que los recursos se asignan según las preferencias.
2. Las virtudes del AVAC (su capacidad para integrar cambios en morbilidad y mortalidad en una medida única) son tan aplicables en estos pacientes como en cualesquiera otros.

- Puede que resulte necesario
  - Mejorar **métodos de valoración de CV;**
  - **extender la medida de los beneficios.**
- Puede que sea conveniente "**ponderar**" los AVAC en ciertos casos (oncológicos, EERR).

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

Ponderando los AVAC al final de la vida

Porque ¿un AVAC *es* un AVAC en cualquier circunstancia?

El caso de los pacientes con reducida expectativa de vida.

- Perspectiva individual: Las personas valoran más una ganancia de salud (en particular, una mayor supervivencia) cuanto menor es su horizonte de vida.
  - Coste de oportunidad del dinero, argumento de la "esperanza" (valor de opción), no linealidad de la función de utilidad del tiempo de vida.
- Perspectiva social: La sociedad puede valorar más las mejoras en la salud de quienes tienen una esperanza de vida más corta.
  - Criterios de equidad: argumento de la "gravedad", criterio del potencial.
  - Puede estar justificado dar prioridad a determinados pacientes aun a costa de no maximizar el total de AVAC ganados.

Estas consideraciones pueden avalar que en la evaluación económica se de un tratamiento preferencial a las terapias e intervenciones dirigidas a pacientes oncológicos (en particular, a los que tienen una expectativa de vida reducida). No obstante, se requiere de **evidencia empírica** que apoye tales argumentos.

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

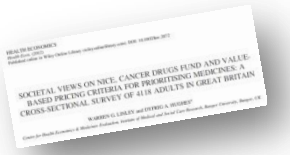
Evidencia empírica sobre preferencias sociales

¿"Vale" más la salud al final de la vida?

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

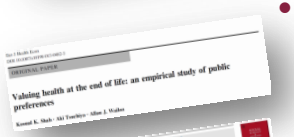
Evidencia empírica sobre preferencias sociales

¿"Vale" más la salud al final de la vida?


SOCIETAL VIEWS ON NICE, CANCER DRUGS FUND AND VALUE-BASED PRICING CRITERIA FOR PRIORITISING MEDICINES: A CROSS-SECTIONAL SURVEY OF 4118 ADULTS IN GREAT BRITAIN

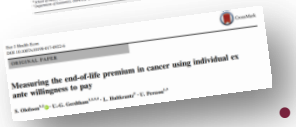
Social Science & Medicine

Valuing QMWs at the end of life


Valuing health at the end of life: an empirical study of public preferences

Social Science & Medicine

Valuing health at the end of life: A stated preference discrete choice experiment


Measuring the end-of-life premium in cancer using individual ex ante willingness to pay

ScienceDirect

Priority to end of life treatments? Views of the public in the Netherlands

- Linley & Hughes (2013):
  - No encuentran evidencia robusta de que la población esté dispuesta a priorizar a los pacientes con una expectativa de vida corta o con cáncer.
- Pinto, Sánchez, Corbacho & Baker (2014):
  - Las ganancias de salud al final de la vida se valoran más (individual y socialmente).
    - En situaciones de *final de la vida* se valora más una mejora en la calidad de vida que un aumento en la supervivencia equivalente.
- Shah, Tsuchiya & Wailoo (2014, 2015):
  - Existe evidencia débil a favor de dar prioridad a tratamientos al final de la vida.
    - En situaciones de *final de la vida* se prefiere destinar recursos a prolongar la vida de los pacientes que a mejorar su calidad de vida.
- Olofsson et al. (2017):
  - Las ganancias en supervivencia cuando la esperanza de vida es corta se valoran más individualmente (disposición a pagar).
- Wouters, van Exel, Baker & Brouwer (2017) :
  - No hallan evidencia de que la población considere que las ganancias de salud en pacientes terminales sean más valiosas que las del resto de pacientes.

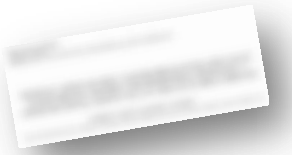
La evidencia es escasa y las conclusiones no coincidentes, pero algunos resultados podrían avalar un tratamiento "preferencial" de los fármacos oncológicos.

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Son los oncológicos un "caso especial"?

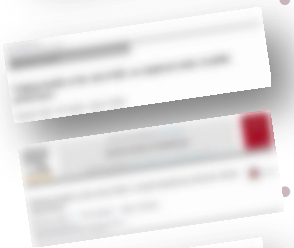
Evidencia empírica sobre preferencias sociales

¿"Vale" más la salud al final de la vida?



- Linley & Hughes (2013):
  - No encuentran evidencia robusta de que la población esté dispuesta a priorizar a los pacientes con una expectativa de vida corta o con cáncer.

- Pinto, Sánchez, Corbacho & Baker (2014):
  - Las ganancias de salud al final de la vida se valoran más (individual y socialmente).
    - En situaciones de *final de la vida* se valora más una mejora en la calidad de vida que un aumento en la supervivencia equivalente.



- Shah, Tsuchiya & Wailoo (2014, 2015):
  - Existe evidencia débil a favor de dar prioridad a tratamientos al final de la vida.
    - En situaciones de *final de la vida* se prefiere destinar recursos a prolongar la vida de los pacientes que a mejorar su calidad de vida.
- Olofsson et al. (2017):
  - Las ganancias en supervivencia cuando la esperanza de vida es corta se valoran más individualmente (disposición a pagar).
- Wouters, van Exel, Baker & Brouwer (2017) :
  - No hallan evidencia de que la población considere que las ganancias de salud en pacientes terminales sean más valiosas que las del resto de pacientes.

La evidencia es escasa y las conclusiones no coincidentes, pero algunos resultados podrían avalar un tratamiento "preferencial" de los fármacos oncológicos.

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

CONTENIDOS

- Introducción
- La importancia de la evaluación (económica)
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- **Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos**
- Epílogo: primero, la efectividad

La experiencia del NICE

Los criterios *End-of-Life* (EoL) del NICE (2009)

- La esperanza de vida de los pacientes es reducida (**< 24 meses**).
- El tratamiento ofrece un beneficio "sustancial" (aumento en la supervivencia **> 3 meses**).
- El tratamiento está indicado para un grupo de pacientes relativamente reducido (generalmente **< 7.000 pacientes**).
- La ratio coste-efectividad (RCEI) del tratamiento supera el umbral de £30.000/AVAC.

- La evaluación bajo los criterios EoL: El Comité considerará:
  - El impacto que conlleva suponer que las ganancias en supervivencia se disfrutan con perfecta salud: $V(Q)=1$.
  - La **ponderación adicional necesaria** para que la RCEI resultante no supere el umbral de £30.000/AVAC .
    - Además los comités se asegurarán de que (1) las estimaciones de supervivencia son robustas y se pueden inferir de la supervivencia libre de progresión (FPS) o de la supervivencia global (OS), y (2) los supuestos del modelo económico son objetivos.

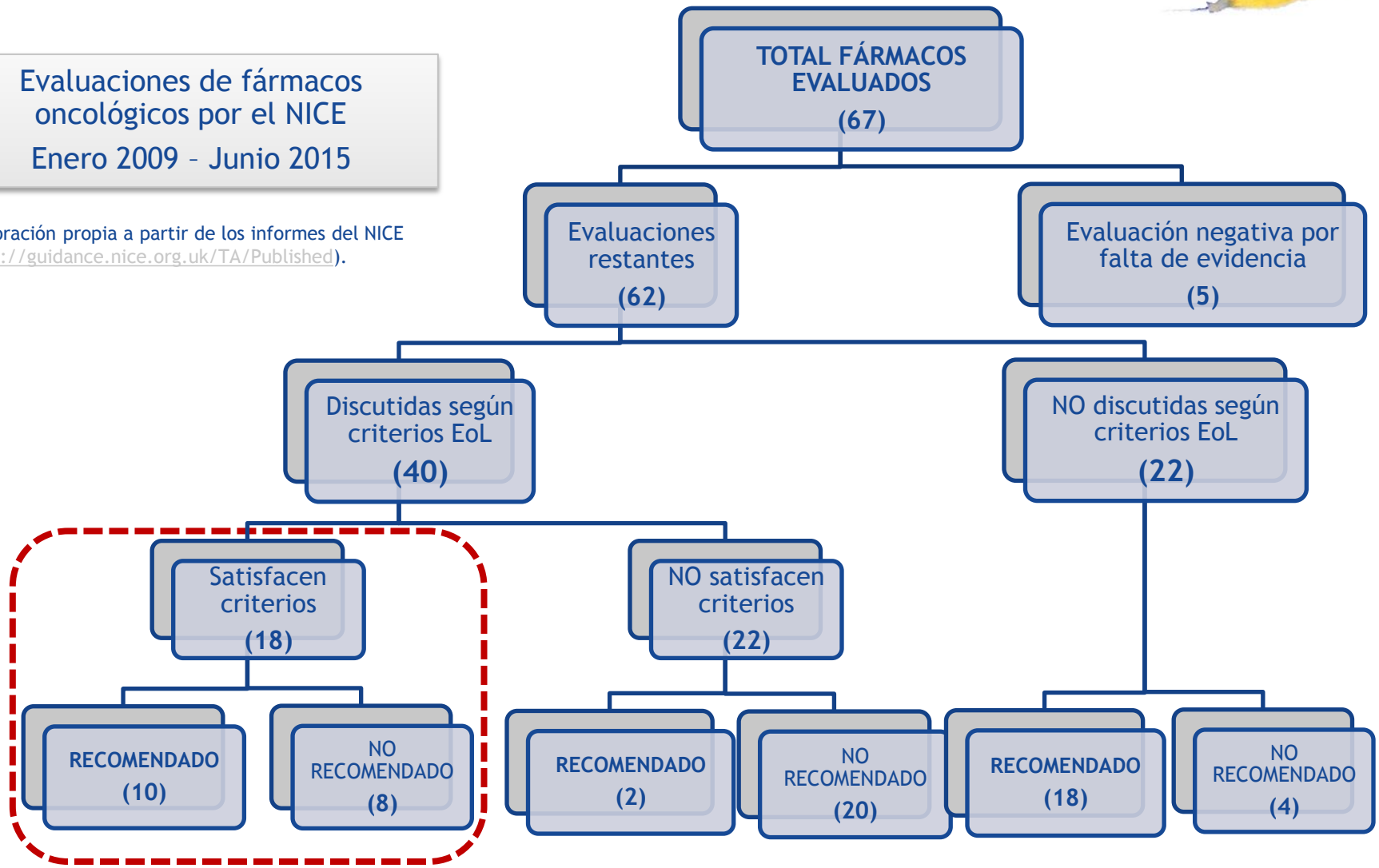
Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos

La experiencia del NICE

Evaluaciones de fármacos oncológicos por el NICE

Enero 2009 – Junio 2015

Elaboración propia a partir de los informes del NICE (http://guidance.nice.org.uk/TA/Published).



Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

El *Cancer Drugs Fund*

- Introducido en **2011** para financiar medicamentos con recomendación negativa del NICE.
- Solución **temporal** (fin previsto en 2014) como "puente" a la espera del nuevo sistema de Precios Basados en Valor (VBP).
- Ampliado hasta 2016 debido al "fracaso" del proyecto VBP.
- Presupuesto inicial de **£200m** que alcanzó los £340m en 2015/16 (superado desde 2013/14: en 2015/16 el gasto fue de **£466m**).
- **Nuevo CDF en 2016**, integrado en los procedimientos del NICE, contempla criterios de entrada y salida.

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

El *Cancer Drugs Fund*

- Objetivos del nuevo CDF:
  - Aumentar la probabilidad de que nuevos oncológicos prometedores lleguen a los pacientes del NHS.
  - Generar evidencia del "mundo real" sobre la efectividad y el coste-efectividad de los medicamentos oncológicos.
  - Operar dentro del presupuesto asignado.
- Mejora sustancial respecto al sistema original, pero …
  - … su mera existencia implica un coste de oportunidad (£340m = 26.000 AVAC).
    - Mantenimiento del "onco-excepcionalismo" (lotería del código postal vs. lotería del diagnóstico) + garantía de la (¿injusta?) prima *end of life* + desincentivo a la industria para desarrollar tecnologías a precios sostenibles.

El *Cancer Drugs Fund*

- Nuevo CDF. El resultado de la evaluación del NICE en el caso de medicamentos oncológicos podrá ser:
  - Recomendado – SÍ
  - No recomendado – NO
  - Recomendado para uso dentro del CDF
    - *Cuando el fármaco tenga un potencial "plausible" de satisfacer los criterios de recomendación rutinaria (ICER≤£30.000), pero exista demasiada incertidumbre sobre los datos clínicos y, en consecuencia, sobre las estimaciones de coste-efectividad para tal recomendación.*
- ¿Qué significa que el potencial de satisfacer los criterios usuales sea "plausible"?

Reformas del Scottish Medicines Consortium (SMC) en 2014

- Clasificación *End of life* y/o *Rarity* (*orphan*/*ultra-orphan*)
  - *End of Life* = esperanza de vida ≤ 3 años
  - *Orphan*: menos de 2.500 pacientes (1 / 20.000)
    - *Ultra-orphan: 1 / 50.000 o menos*
- Introducción del *Patient And Clinical Engagement (PACE) meeting*: para aclarar el valor percibido por pacientes y clínicos que no captura totalmente el AVAC
- Opción a que el fabricante proponga un *Patient Access Scheme (PAS)* modificado en la etapa *PACE*

- Este proceso únicamente se pone en marcha si la decisión inicial del SMC fue negativa ("no financiar").

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos

La experiencia del Scottish Medicines Consortium

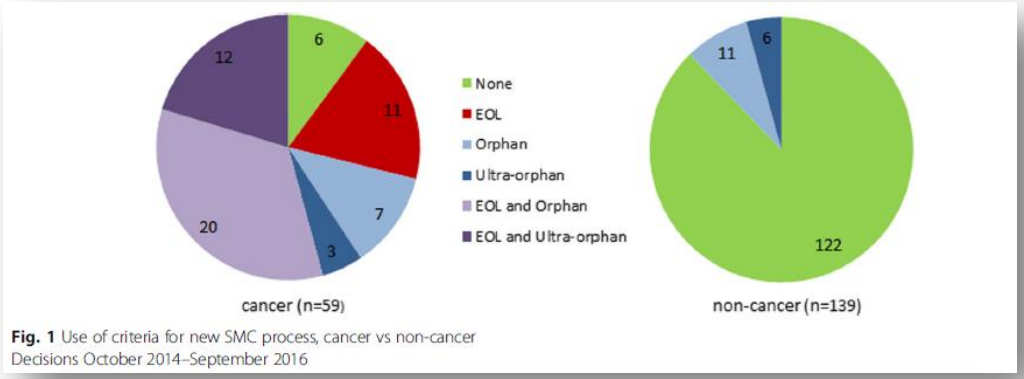


Fig. 1 Use of criteria for new SMC process, cancer vs non-cancer Decisions October 2014–September 2016

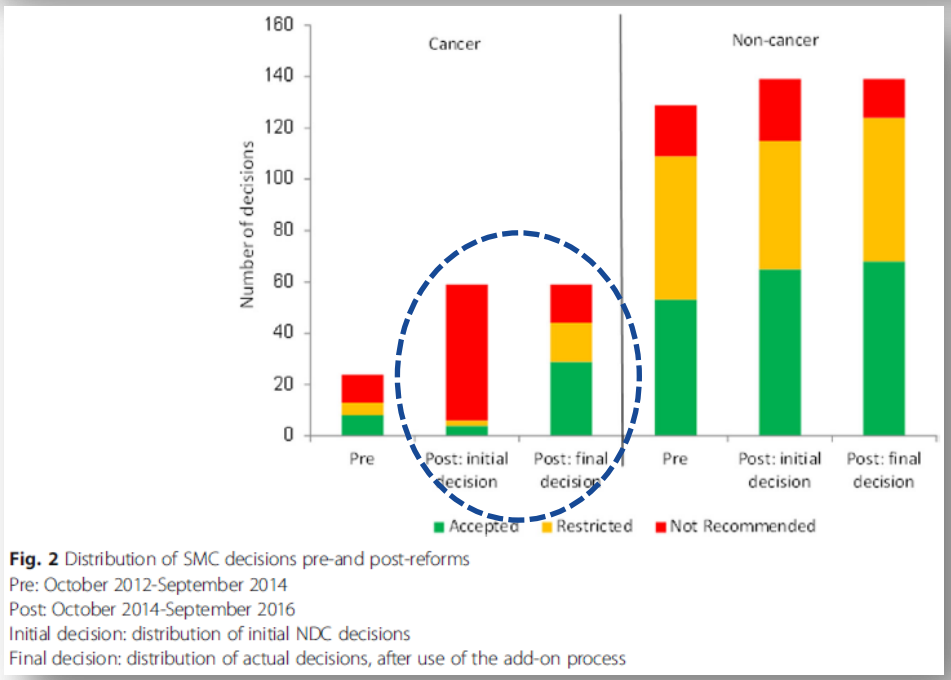


Fig. 2 Distribution of SMC decisions pre-and post-reforms
Pre: October 2012-September 2014
Post: October 2014-September 2016
Initial decision: distribution of initial NDC decisions
Final decision: distribution of actual decisions, after use of the add-on process

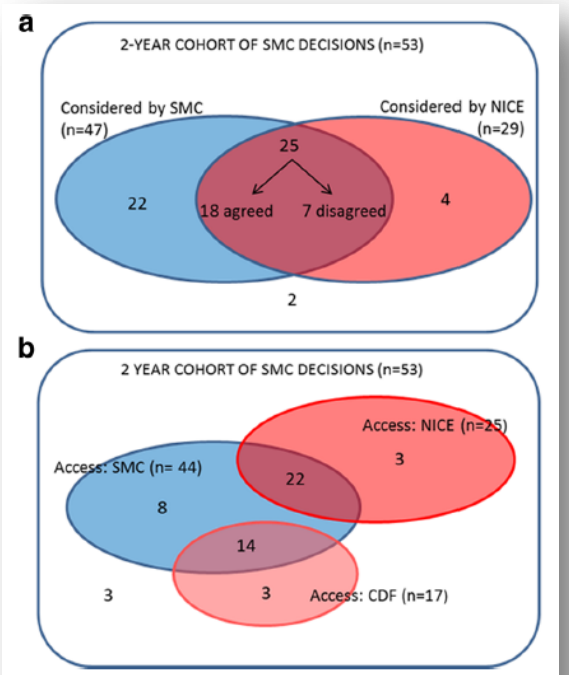


Fig. 3 Comparison of SMC and NICE recommendations for EOL designation and access
a. Comparison of EOL designation: number of submissions considered for granting of EOL/rare status by SMC (blue) and NICE (red), and level of agreement where both agencies gave a designation
b. Comparison of access to drugs: number of drugs funded in Scotland (blue) and England (red), via SMC, NICE and CDF decisions

Fuente: Morrell, et al. (2017).

¿Dónde estamos y hacia dónde debemos ir?

- No existe un ***HispaNICE***

  … ¿o sí?

Red Española de Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Prestaciones del Sistema Nacional de Salud

Instituto de Salud Carlos III

Osteba

Agència de Qualitat i Avaluació Sanitàries de Catalunya

avalia-t
Axencia de Avaliación de Tecnoloxías Sanitarias de Galicia

JUNTA DE ANDALUCIA
CONSEJERÍA DE SALUD Y BIENESTAR SOCIAL

IACS Instituto Aragonés de Ciencias de la Salud

Servicio Canario de la Salud

Dirección General de Planificación, Investigación y Formación
CONSEJERÍA DE SANIDAD
Comunidad de Madrid

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Podría funcionar la Red como un *HispaNICE*?

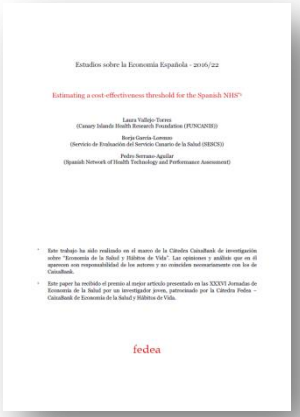
- Integridad:
  - TODAS las tecnologías sanitarias (inc. medicamentos):
    - ¿Por qué funcionan los IPT y no el Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica (RDL 16/2012)?
- Independencia
- Transparencia
  - Oportunidad de participación a todas las partes: opiniones, evidencias, alegaciones, …
- Rigor
  - Estándares metodológicos: *reference case* (medidas de resultados, umbral, …)
- Vinculación

Dr. Fernando Ignacio Sánchez Martínez
Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Murcia

¿Estamos preparados para un umbral €/AVAC?

- No disponemos de un umbral coste-efectividad.

  … ¿o sí?


Estudios sobre la Economía Española - 2016/22

Estimating a cost-effectiveness threshold for the Spanish NHS*

Laura Vallejo-Torres
(Canary Islands Health Research Foundation (FUNCANIS))

Borja García-Lorenzo
(Servicio de Evaluación del Servicio Canario de la Salud (SESCS))

Pedro Serrano-Aguilar
(Spanish Network of Health Technology and Performance Assessment)

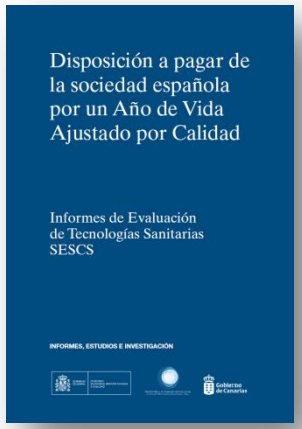
* Este trabajo ha sido realizado en el marco de la Cátedra Caixabank de investigación sobre "Economía de la Salud y Hábitos de Vida". Las opiniones y análisis que en él aparecen son responsabilidad de los autores y no coinciden necesariamente con los de Caixabank.

* Este paper ha recibido el premio al mejor artículo presentado en las XXXVI Jornadas de Economía de la Salud por un investigador joven, patrocinado por la Cátedra Fedea – Caixabank de Economía de la Salud y Hábitos de Vida.

fedea

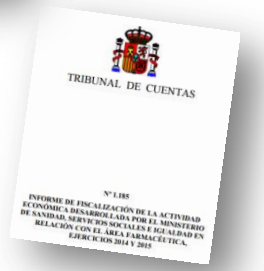
Vallejo et al. (2016a): **21.000€ - 24.000€**
(basado en el "coste de oportunidad").

Vallejo et al. (2016b): **10.000€ - 30.000 €**
(basado en "disposición a pagar").



- ¿Estarían los decisores dispuestos a aplicarlo?

para los que sea necesario prescripción médica, que se dispensen en territorio español. La CIPM debería haber tenido en consideración los informes que elaborase el Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (CAFPF) y los análisis coste-efectividad y de impacto presupuestario; sin embargo, este órgano a la fecha de finalización de la fiscalización no se había llegado a constituir, a pesar del tiempo transcurrido desde que su creación fue prevista en el artículo 90 bis del Real Decreto-Ley 16/2012, de 20 de abril, de medidas


TRIBUNAL DE CUENTAS

Nº 1.185

INFORME DE FISCALIZACIÓN DE LA ACTIVIDAD ECONÓMICA DESARROLLADA POR EL MINISTERIO DE SANIDAD, SERVICIOS SOCIALES E IGUALDAD EN RELACIÓN CON EL ÁREA FARMACÉUTICA. EJERCICIOS 2014 Y 2015

¿Dónde estamos y hacia dónde deberíamos ir?

- ¿Tratamiento especial para los oncológicos?
  - Siempre que tengamos evidencia de que ello responde a las preferencias sociales.
    - Umbral coste-efectividad más elevado y/o ponderación de los AVAC al final de la vida.

- ¿Un fondo especial para financiar medicamentos contra el cáncer? (un "CDF español")
  - No parece buena idea
    - Desde el punto de vista de la eficiencia: no se garantiza que los recursos se emplean allí donde más valor generan.
    - Desde la óptica de la equidad: se prima a unos pacientes frente a otros que merecen tanto o más un tratamiento.

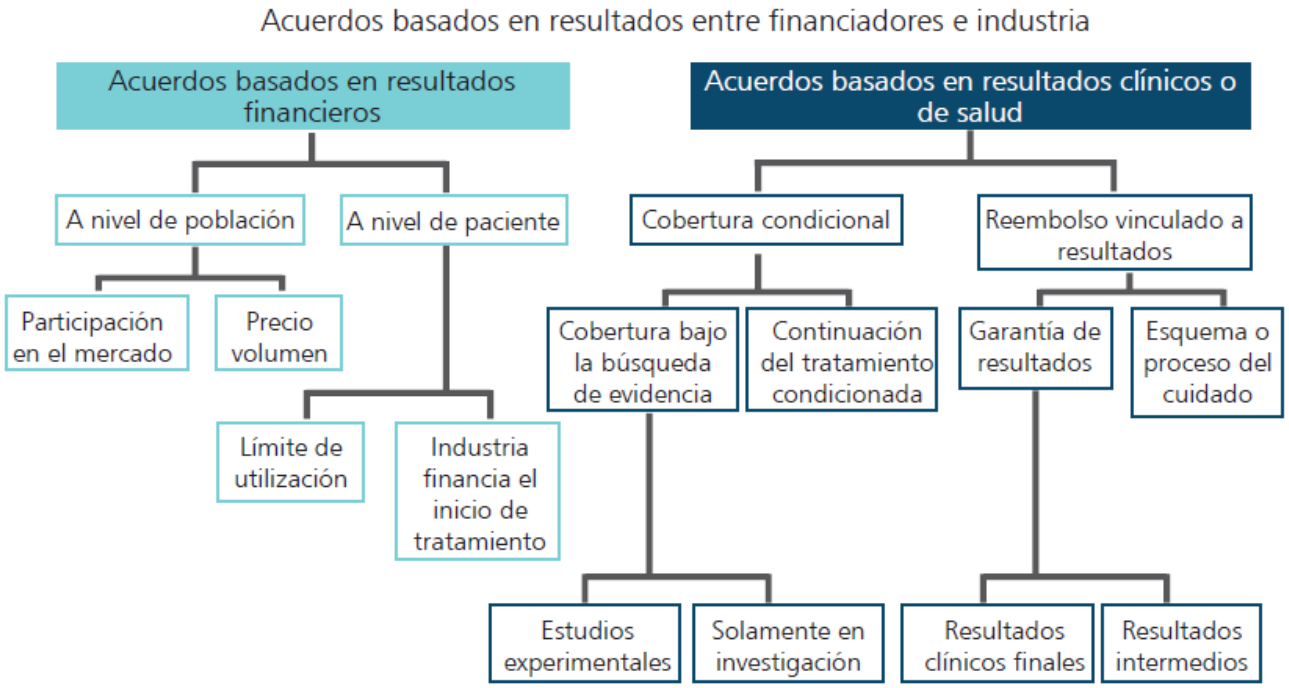
El discutible argumento del "onco-excepcionalismo" (McCabe, et al., 2016)

¿Y mientras tanto …?

- Fijación de precios mediante negociación, basada en el valor, y en la que exista
  - Transparencia
  - Participación (regulador, financiador, proveedor, clínicos, pacientes)
  - Mecanismos de seguimiento y revisión
- Compra de innovación basada en valor
  - Esquemas de pagos por resultados / Acuerdos de riesgo compartido
    - Dificultad para su diseño
    - Problemas de control

Pagos por resultados (ARC)

TIPOS DE ACUERDOS DE RIESGO COMPARTIDO



Fuente: Carlson *et al.*, 2010. La traducción al español en Espín, Oliva y Rodríguez Barrios, 2010.

Reproducido en Lobo (2017).

Pagos por resultados (ARC)

A FAVOR	EN CONTRA
• Reducción de incertidumbre y reparto de riesgos • Acceso al fármaco de la población diana • Satisfacción de los clínicos (menor incertidumbre) • Limitación del impacto presupuestario (no efectivo) • Otros: difusión de resultados en práctica clínica, incentivos a la industria para mejorar calidad, lazos de confianza	• Requerimientos de información • Carga burocrática; costes administrativos y financieros • Elevada complejidad • Limitados a tratamientos con efectos en el corto plazo

Basado en Clopés et al.
(en SEFH, 2017)

Pagos por resultados (ARC)

CATALUÑA. ACUERDOS DE RIESGO COMPARTIDO. 2011-2015
(17 ARC, 9 MEDICAMENTOS, 29 HOSPITALES, 9 EMPRESAS FARMACÉUTICAS)

Área terapéutica	*Medicamento*	*Indicación*	*Laboratorio*	*Hospital*	*Fecha inicio*	*Estado*
Oncología	Gefitinib (Iressa®)	Cáncer de pulmón no microcítico (CPNM)	AstraZeneca	Xarxa ICO	Jul. 2011	En curso
	Bevacizumab (Avastin®)	Gliobastoma multiforme (GBM)	Roche	Xarxa ICO	Nov. 2012	En curso
	Bevacizumab (Avastin®)	Cáncer colorectal metastático (CCR m) 1a L	Roche	Xarxa ICO	Dic. 2013	En curso
	Bevacizumab (Avastin®)	CCR m 2a L	Roche	Xarxa ICO	Dic. 2014	En curso
	Cetuximab (Erbitux®)	CCR m 1a L	Merck SL	Xarxa ICO	Dic. 2013	En curso
	Panitumumab (Vectibix®)	CCR m 1a L	Amgen	Xarxa ICO	Jul. 2014	En curso
	Aflibercept (Zaltrap®)	CCR m 2a L	Sanofi	Xarxa ICO	Dic. 2014	En curso
Hematología	Lenalidomida (Revlimid®)	Mieloma múltiple (MM) (con recaída o refractario)	Celgene	Xarxa ICO	Dic. 2014	En curso
Reumatología	Certolizumab (Cimzia®)	Artritis reumatoide (AR) de moderada a grave (debutantes)	UCB	H. Clinic	Nov. 2012	Finalizado
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	H. de Bellvitge	May. 2013	En curso
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	H. Vall d'Hebron	Jun. 2014	En curso
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	H. Mutua de Terrassa	Jun. 2014	En curso
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	H. Sant Rafael	Jun. 2014	En curso
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	H. Viladecans	Jun. 2014	En curso
		AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	UCB	Consorci Sanitari Integral	Oct. 2014	En curso
Reumatología	Golimumab (Simponi®)	AR de moderada a grave (debutantes y cambio de tratamiento)	Merck Sharp&Dhome (MSD)	H. Sant Joan de Reus	Ene. 2015	En curso
Oncología	Afatinib (Giotrif®)	Cáncer de pulmón no microcítico (CPNM)	Boehringer Ingelheim	Xarxa ICO	Ene. 2015	En curso

Fuente: Gilabert (2015).

Reproducido en Lobo (2017).

Pagos por resultados (ARC)

Respiratory

Financial consequences of a payment-by-results scheme in Catalonia: gefitinib in advanced EGFR-mutation positive non-small-cell lung cancer

Ana Clopes, Montse Gasol, Rosana Cajal, **Luis Segú**, Ricard Crespo, Ramón Mora, ...show all

Pages 1-7 | Received 19 Mar 2016, Accepted 19 Jul 2016, Accepted author version posted online: 21 Jul 2016, Published online: 03 Aug 2016

JME 11 Journal

Journal of Medical Economics

Volume 20, 2017 - Issue 1

- RESULTADOS
  - Resultados clínicos iguales a los del ensayo pivotal.
  - Reducción de un 4 % en el coste del tratamiento (=retorno económico de los fracasos).
  - **Intangibles**:
    - Alineamiento de agentes (profesionales, financiadores y proveedor) hacia resultados → incentivos a la eficiencia;
    - Mejoras para la organización (ICO, CatSalut).

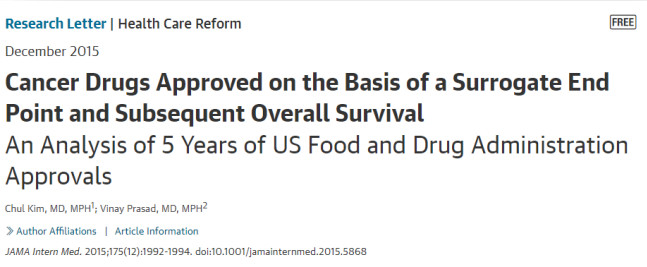
CONTENIDOS

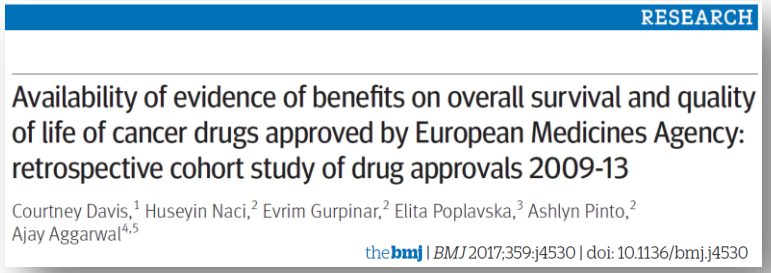
- Introducción
- La importancia de la evaluación (económica)
- ¿Cuándo una tecnología es coste-efectiva?
- ¿Son los oncológicos un "caso especial"?
- Nuevos horizontes en la evaluación de oncológicos
- **Epílogo: primero, la efectividad**

Epílogo

Primero, la efectividad

- ¿En qué momento del "ciclo vital" de un medicamento oncológico debería quedar demostrado que aporta mejoras en supervivencia o en calidad de vida?
  - Antes de su comercialización.
  - Después de su comercialización (aprobación provisional basada en variables subrogadas: tasa de respuesta, supervivencia libre de progresión).
  - ¿Nunca?





Primero, la efectividad

¿Mejoran los oncológicos supervivencia y CV?

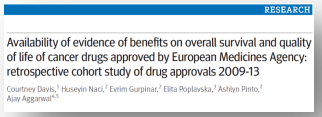
Research Letter | Health Care Reform

December 2015

Cancer Drugs Approved on the Basis of a Surrogate End Point and Subsequent Overall Survival
An Analysis of 5 Years of US Food and Drug Administration Approvals

23/54 (43%)

- Kim & Prasad (2015):
  - 67% (36/54) de fármacos contra el cáncer aprobados por la FDA entre 2008 y 2012 **no** tenían evidencia de mayor supervivencia o mejora en la CV.
  - De los 36, solo 5 (14%) demostraron mejoras en supervivencia ya en el mercado (mediana de seguimiento 4,4 años).


RESEARCH

Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13

Courtney Davis,[1] Huseyin Naci,[2] Evrim Gurpinar,[1] Elita Poplavska,[3] Ashlyn Pinto,[1] Ajay Aggarwal[4,5]

36/68 (53%)

- Davis, et al. (2017):
  - 57% (39/68) de indicaciones aprobadas por la EMA en 2009-2013 **no** mostraron evidencia favorable antes de entrar en el mercado.
  - Sólo en 7 de esas 39 (18%) se hallaron mejoras en supervivencia o calidad de vida tras comercialización (mediana 5,4 años).
  - De 23 indicaciones con ganancia en supervivencia puntuadas con ESMO-MCBS, el beneficio fue clínicamente significativo en 11 (48%).

¿Mejoran los oncológicos supervivencia y CV?

- Cuidado con los modelos
  - Incertidumbre en las estimaciones (de supervivencia) de los modelos y posible sobrevaloración de las ganancias.
- Eficacia ≠ Efectividad
  - Representatividad de las muestras de pacientes.
  - (Ir)relevancia de las mejoras marginales en el mundo real.
- Problemas con el uso de variables subrogadas
  - En ocasiones no existe correlación con resultados finales (supervivencia y calidad de vida) o es débil (o no probada).
  - La ausencia de evaluación post-comercialización hace que nunca se disponga de datos sobre SG y CVRS.

Epílogo

Primero, la efectividad

MAYO CLINIC

COMMENTARY

The UK Cancer Drugs Fund Experiment and the US Cancer Drug Cost Problem: Bearing the Cost of Cancer Drugs Until It Is Unbearable

Vinay Prasad, MD, MPH, and Sham Mailankody, MB, BS

- Sólo deberíamos pagar por aquello que es razonable y necesario, cuestionándonos los tratamientos que únicamente mejoran medidas subrogadas en grupos de pacientes que, por edad y comorbilidad, son claramente distintos de aquellos a quienes vamos a tratar.
- Si los fármacos oncológicos fuesen verdaderamente efectivos (en supervivencia y/o calidad de vida), su relación coste-efectividad mejoraría y los elevados precios estarían justificados.
- Esto no (siempre) es así, y para que se justifique socialmente el uso de estos tratamientos su precio debería bajar.

> The price of cancer drugs is bearable until it is not. It seems that we have reached that point.

5º CONGRESO de Oncología y Farmacia Médica Oncológica

23-25 noviembre 2017

Muchas gracias por su atención

Fernando I. Sánchez Martínez
fernando@um.es
www.um.es/esyec/**gtes**

Facultad de Economía y Empresa
Campus de Espinardo, Murcia - 30100
+34 868 883740