

ACCESO A TRATAMIENTO DE CÁNCERES RAROS: ¿ESTÁN LOS SISTEMAS DE SALUD LATINOAMERICANOS PREPARADOS PARA LLEVAR A CABO APROBACIONES REGULATORIAS ACCELERADAS Y ASEGURAR UN ACCESO ADECUADO PARA POBLACIONES CON UNA ALTA NECESIDAD NO ATENDIDA?

- Zoltán Kaló
Professor of Health Economics
 - 1) Center for Health Technology Assessment, Semmelweis University
 - 2) Syreon Research Institute
- David Debrott Sánchez
Instituto de Análisis de Políticas Públicas y Gestión
- TIAGO FARINA MATOS
Oncoguía - Patient Association

Moderador: Melina Calderón, LATAM MA Director Janssen



1

En esta sesión:

Una visión holística respecto a los retos y oportunidades en las decisiones de reembolso para tratamientos de cánceres raros

- Entender la perspectiva de diferentes actores relacionados a la salud.
- Identificar las barreras actuales y posibles áreas de acción para asegurar el acceso a medicamentos donde existe una alta necesidad insatisfecha o no existen alternativas de tratamiento

2

Una mirada a la situación actual:

- ▶ Agencias regulatorias han establecido mecanismos para la aprobación de medicamentos que responden a necesidades no atendidas o sin alternativas de tratamiento, sin embargo el promedio de tiempo entre la aprobación regulatoria y el reembolso de estos medicamentos es más prolongado.
- ▶ Las políticas de reembolso restrictivas están frenando la difusión de nuevas tecnologías y disminuyendo la posibilidad de incrementar la calidad de la atención.
- ▶ Los cambios regulatorios solo han incrementado las disparidades entre las diferentes líneas de tiempo para la aprobación.

3

Reflexiones

¿Deben crearse, modificarse o extenderse los marcos de valor o los criterios para las decisiones de reembolso de las terapias para el tratamiento de cánceres raros?

¿Las terapias innovadoras requieren un marco legislativo diferente para las decisiones de cobertura?

¿La interacción temprana con los diferentes grupos de interés incluyendo las organizaciones de pacientes, los médicos y los pagadores pueden facilitar el acceso?

4

Regulatory Approval vs Access in Rare Cancers: Are the Latin American Healthcare Systems Prepared to Follow Fast Track Approvals and Ensure Adequate Access for High Unmet Need Populations?

- *an academic view* -

Zoltán Kaló

Professor of Health Economics

1) Center for Health Technology Assessment, Semmelweis University

2) Syreon Research Institute



syreon
Research Institute

Today's research for tomorrow's health

5

New regulatory pathways

Today's research for tomorrow's health

6

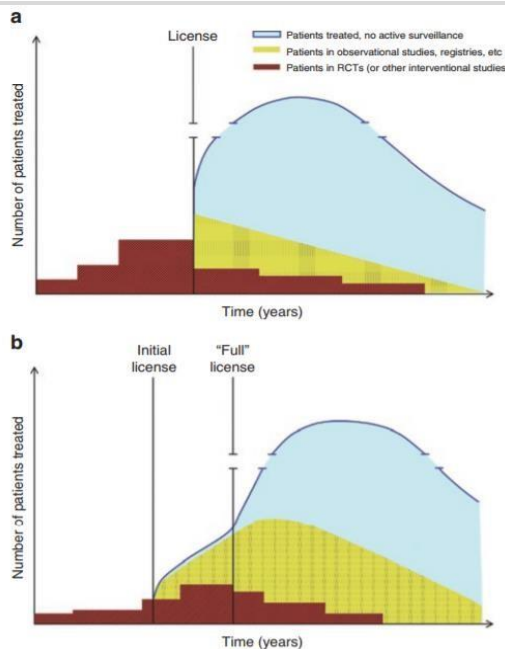
Public incentives in rare diseases

Objective: to encourage research & development (R&D) and to ensure a return on investment (ROI) for pharmaceutical manufacturers.



Today's research for tomorrow's health

7



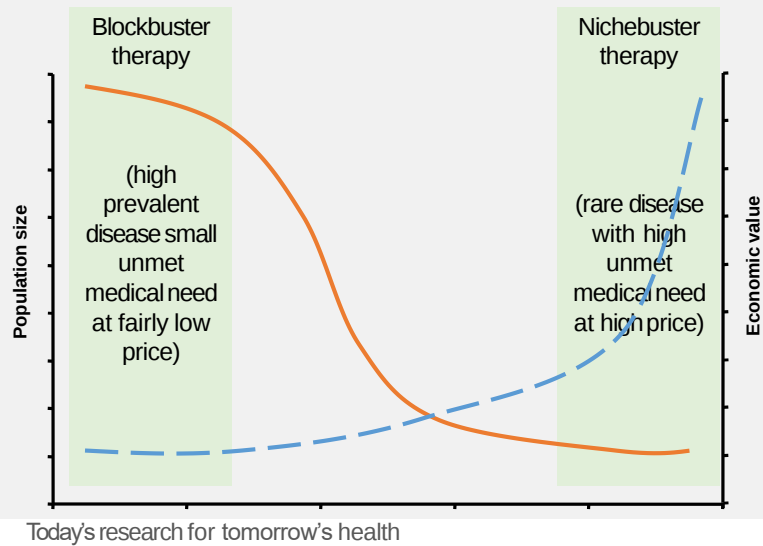
Adaptive licensing

Ref: Eichler HG, Oye K, Baird LG, Abadie E, Brown J, Drum CL, Ferguson J, Garner S, Honig P, Hukkelhoven M, Lim JCW, Lim R, Lumpkin MM, Neil G, O'Rourke B, Pezalla E, Shoda D, Seyfert-Margolis V, Sigal EV, Sobotka J, Tan D, Unger TF, Hirsch G. Adaptive Licensing: Taking the Next Step in the Evolution of Drug Approval. *Clinical Pharmacology & Therapeutics*, 2012. 91: 426-437

Today's research for tomorrow's health

8

Shift in Pharmaceutical R&D



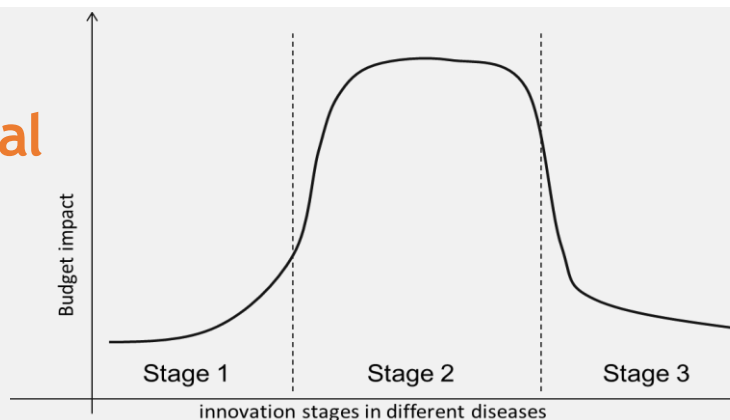
9

New pricing and reimbursement processes

Today's research for tomorrow's health

10

Stages of Pharmaceutical Innovation



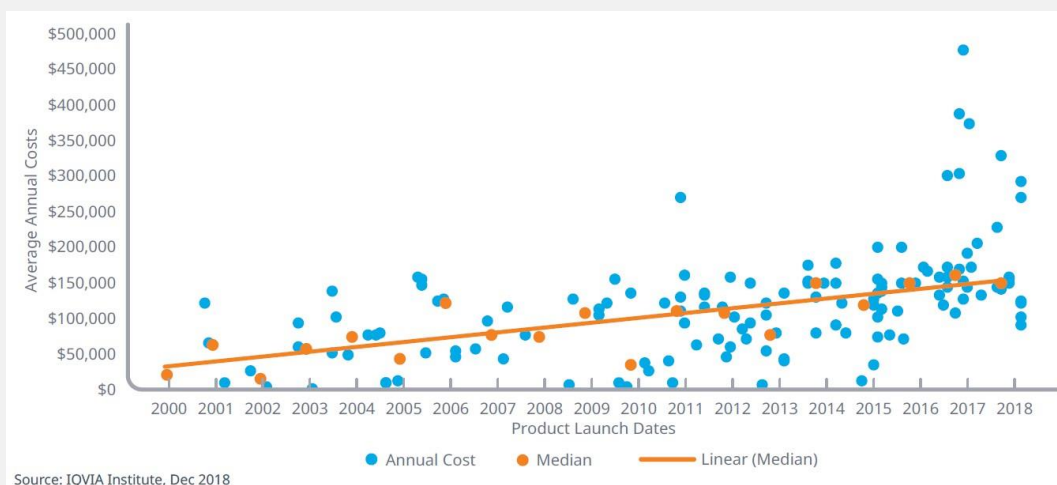
	Alzheimer's disease; rare diseases with no treatments	orphan drugs; targeted therapies for rare cancer; MS; gene therapies	hypertension, dyslipidaemia, depression, osteoporosis organ transplantation, autoimmune diseases (with biosimilars)
Availability of effective treatment	Limited	Yes (original products)	Yes (off-patent products)
Budget impact of treatment	Low	High	Low
Unmet medical need	High	Depends on accessibility	Low

Today's research for tomorrow's health

Ref: Inotai A, Petrova G, Vitezic D, Kaló Z. Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res. 2014. 14. 1. 71-79.

11

Average Annual Costs for Oncology Products by Launch Year in the United States



Source: IQVIA Institute, Dec 2018

Today's research for tomorrow's health

Ref: Global Oncology Trends, Therapeutics, Clinical Development and Health System Implications. IQVIA Institute. May 2019

12

Price premium should be high, what about price implementation?

- Return on investment is reduced, if manufacturers do not implement the optimal price in their most important market(s)
- Differential pricing is needed to maximise global patient access (and so market share)
- In the current global and local pharmaceutical policy environment there is limited room for differential pricing
 - across countries (due to external price referencing)
 - between different patient groups
 - across different indications

Today's research for tomorrow's health

13

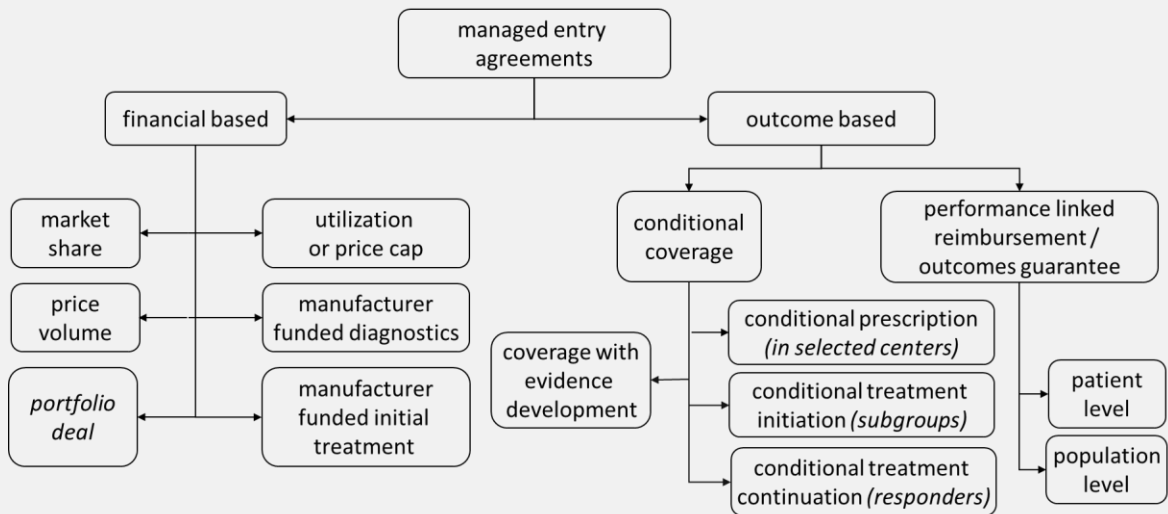
Do breakthrough therapies need different legislative framework even for coverage decisions?

- New legislative framework for pricing and reimbursement is needed to facilitate
 - the transparency of processes and decision criteria
 - the confidentiality of individual pricing and reimbursement agreements
 - solutions to facilitate evidence generation (coverage with evidence development through patient registries)
 - methodology of considering multiple decision criteria (MCDA)
 - application of alternative access schemes

Today's research for tomorrow's health

14

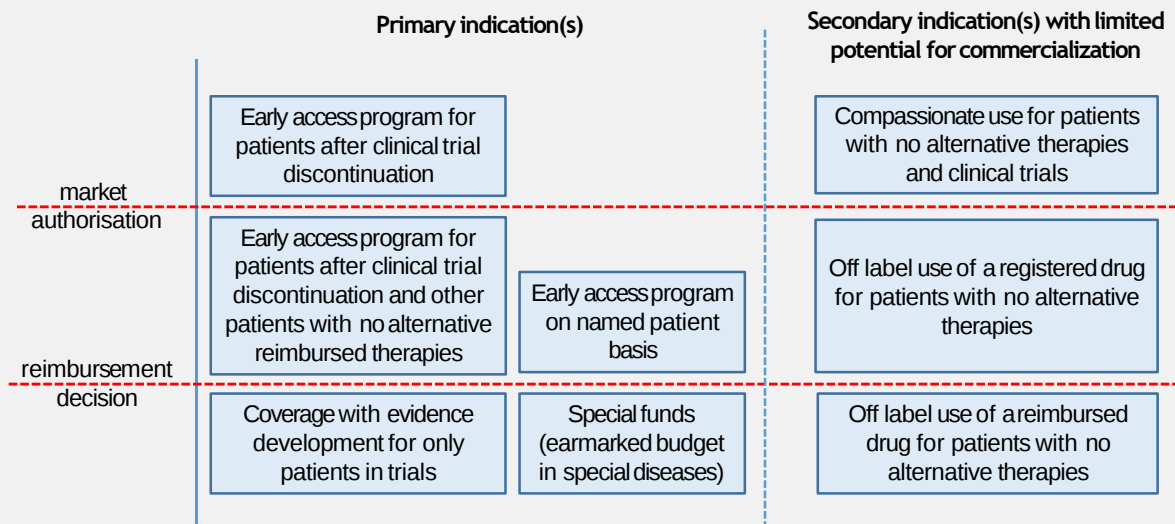
Special agreements for reimbursement on the Positive Drug List



Today's research for tomorrow's health

15

Patient access schemes outside the Positive Drug List



Today's research for tomorrow's health

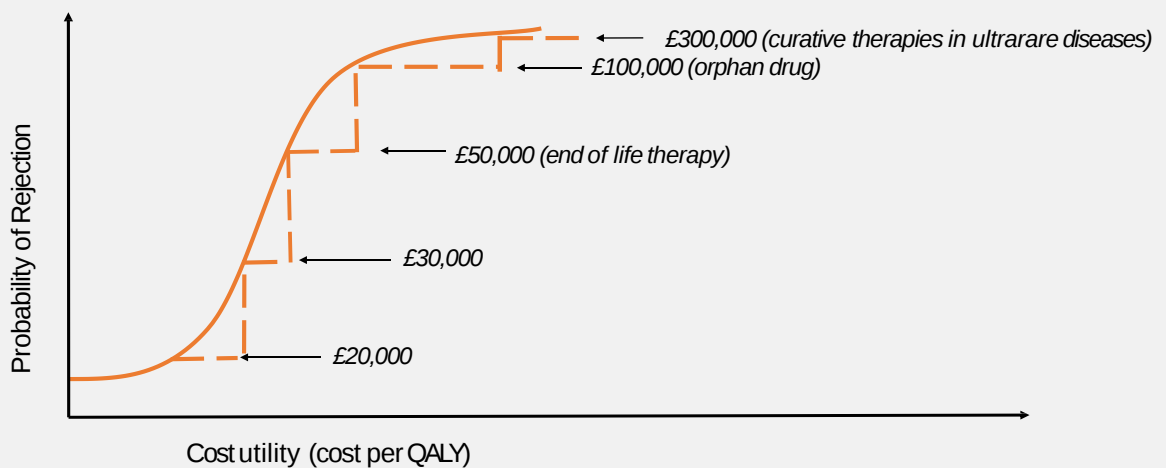
16

Special willingness to pay threshold & extension of current value frameworks for reimbursement decisions

Today's research for tomorrow's health

17

NICE approach in 2019



Today's research for tomorrow's health

18

Potential Elements of an MCDA Tool for the Reimbursement of Orphan Drugs

Criteria	Definition
Indication uniqueness	Number of approved indications of the active substance
Therapeutic alternative (unmet need)	Availability of alternative treatment options for given target group
Magnitude of health gain	From symptomatic treatments to full recovery
Availability and quality of scientific evidence for clinical effectiveness	Credibility and robustness of clinical evidence
Disease rarity	Prevalence of the condition
Disease severity	Disease prognosis without treatment
Advancement of technology	Treatment innovation (e.g. new mechanism of action)
Manufacturing technology complexity	Manufacturing process requirements
Safety and adverse effects	Impact of treatment on patients' health and comfort through reducing adverse events
Budget impact	The impact on public payer budget
Cost-effectiveness	ICER

Today's research for tomorrow's health

Adapted from: Kolasa K, Zwolinski K M, Hermanowski T, Kalo Z.
Orphanet Journal of Rare Diseases, 2016

Thank you

Acceso a Tratamiento para Cánceres Raros en Chile

¿Están los sistemas de salud latinoamericanos preparados para llevar a cabo aprobaciones regulatorias aceleradas y asegurar un acceso adecuado para poblaciones con una alta necesidad no atendida?

David Debrott Sánchez

ddebrott@yahoo.es

12-14 Septiembre, 2019 | Bogotá, Colombia

21

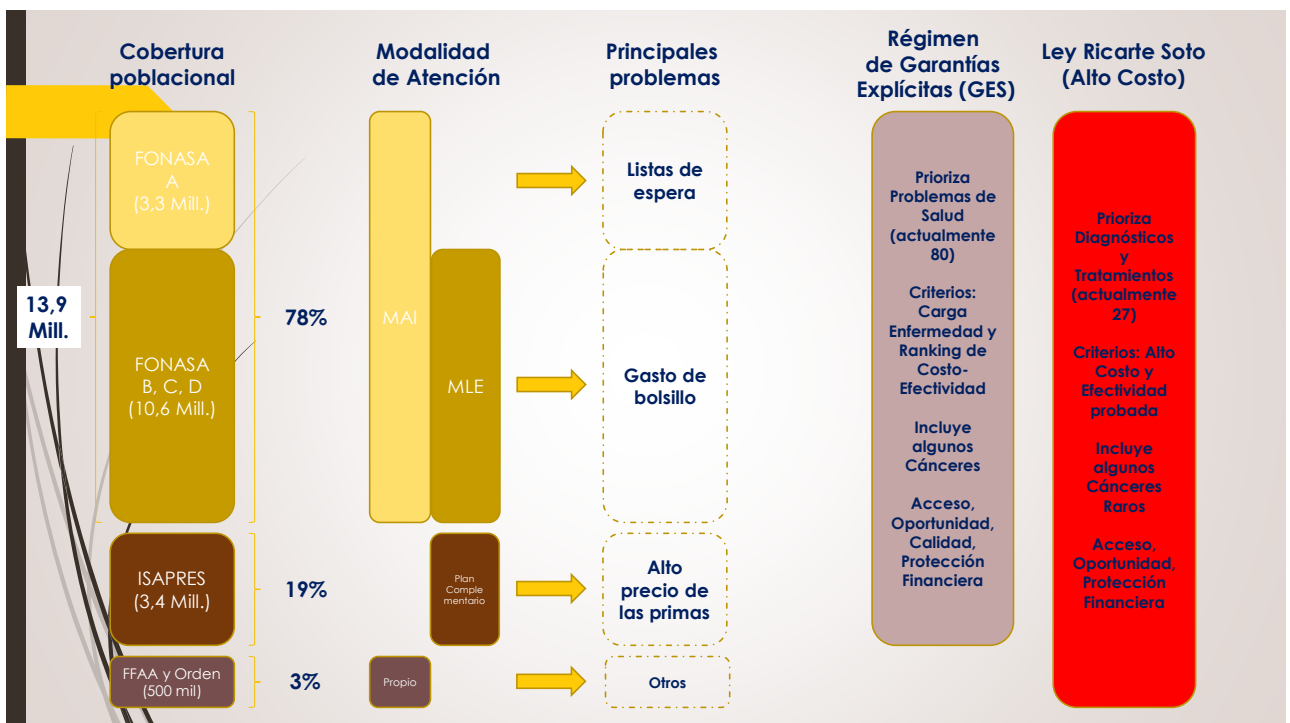
Contenidos

- Contexto
- Ley de Alto Costo
- ETESA para el Alto Costo

22

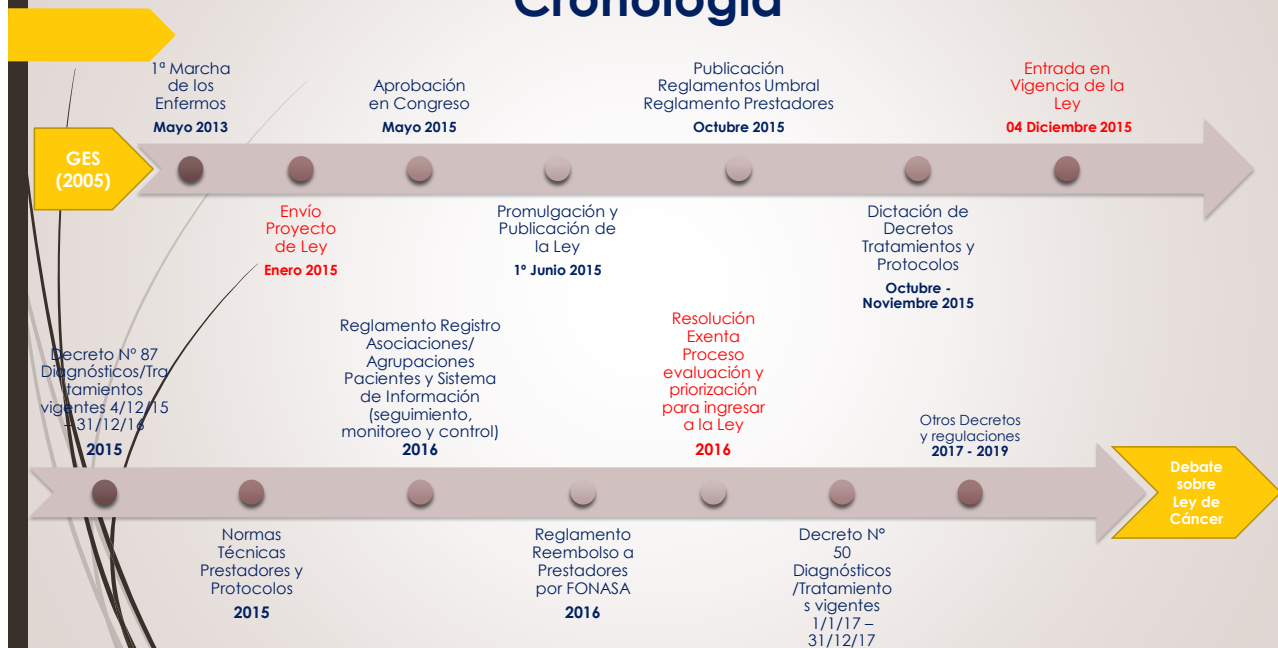
Contexto

23



24

Cronología

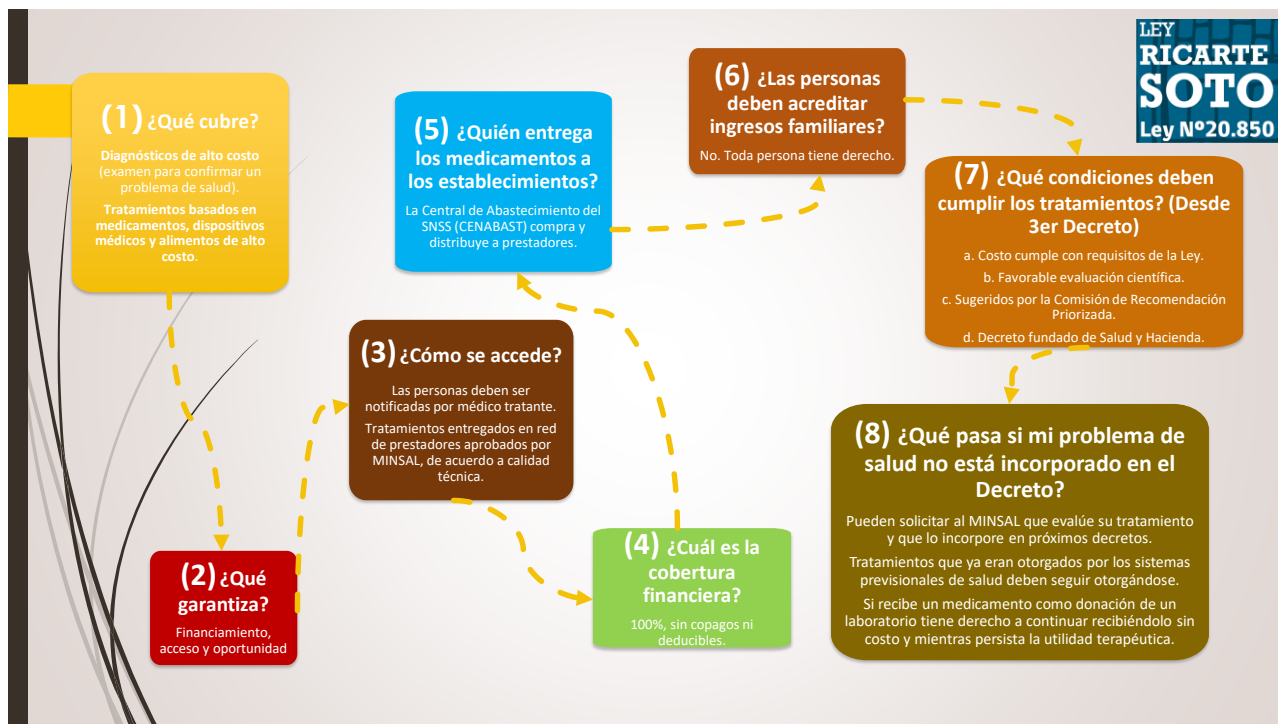


25

Ley de Alto Costo

Ricarte Soto (N° 20.850)

26



27



28

Problemas de Salud Actualmente Cubiertos

1. Mucopolisacaridosis Tipo I
2. Mucopolisacaridosis Tipo II
3. Mucopolisacaridosis Tipo VI
4. Tirosinemia Tipo I
5. Artritis Reumatoide en Adultos refractaria a tratamiento habitual
6. Esclerosis Múltiple Refractaria a Tratamiento Habitual
7. Enfermedad de Gaucher
8. Enfermedad de Fabry
9. Hipertensión Arterial Pulmonar Grupo I
10. Profilaxis virus respiratorio sincial para prematuros
11. **Cáncer de Mamas HER2+**
12. Nutrición Enteral Domiciliaria Total o Parcial para personas cuya condición de salud imposibilita la alimentación por vía oral
13. Enfermedad de Crohn grave
14. Diabetes tipo 1 inestable severa
15. Angioedema Hereditario
16. Hipoacusia sensorineural bilateral severa o profunda postlocutiva
17. **Tumores neuroendocrinos**
18. Distonía generalizada
19. Lupus
20. Mielofibrosis
21. Inmunodeficiencias primarias
22. Colitis Ulcerosa
23. Enfermedad de Huntington
24. **Tumores del estroma gastrointestinal no resecables o metastásicos – GIST**
25. Epidermolisis
26. Artritis Psoriásica
27. Esclerosis Lateral Amiotrófica Moderada o Severa – ELA

Nota: En destacado (negritas) Cánceres Raros.

29

Cánceres Raros

Cáncer de Mamas HER2+

Trastuzumab

Tumores neuroendocrinos

Sunitinib - Everolimus

Tumores del estroma gastrointestinal no resecables o metastásicos – GIST

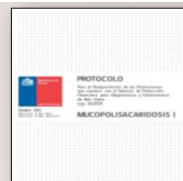
Imatinib - Sunitinib

Población Objetivo

Personas con diagnóstico confirmado de cáncer de mama que sobreexpresa el gen HER2, de acuerdo a los siguientes subgrupos: - Subgrupo 1: Personas con cáncer de mama HER2 +. Etapas I, II y III. Adyuvancia y neoadyuvancia. - Subgrupo 2: Personas con cáncer de mama HER2 + Etapa IV metastásica.

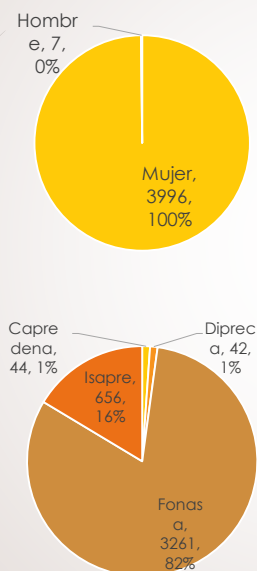
Personas de 18 años o más con diagnóstico confirmado de enfermedad progresiva de tumores neuroendocrinos pancreáticos y bien diferenciados con enfermedad irrecable, localmente avanzada o metastásica.

Personas con sospecha diagnóstica o diagnóstico confirmado de tumor del estroma gastrointestinal no resecable o metastásico.

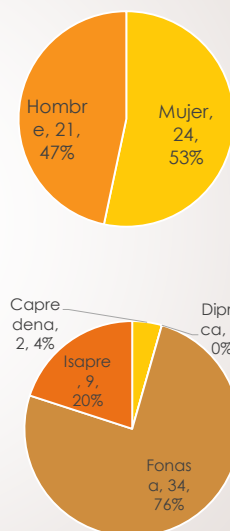


30

Cáncer de mama Gen Her2
(n=4.003)

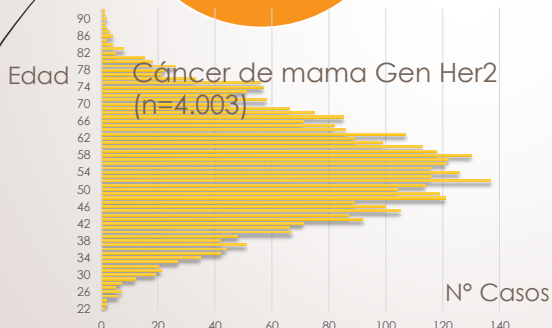
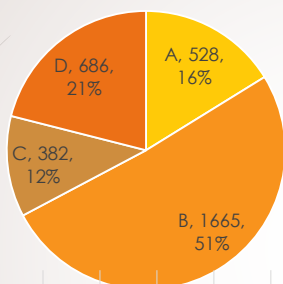


Tumores Neuroendocrinos
(n=45)

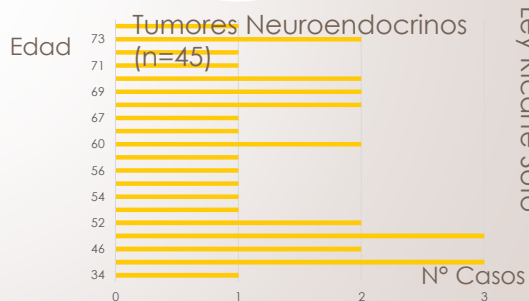
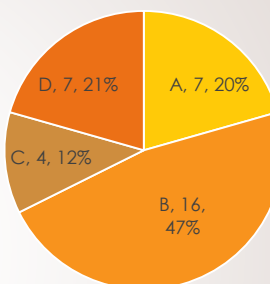


31

Cáncer de mama Gen Her2
(n= 3.261 Fonasa)



Tumores Neuroendocrinos
(n=34 Fonasa)



32

Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETESA) en Ley de Alto Costo

Ricarte Soto (N° 20.850)

33

Proceso ETESA para Alto Costo



■ Solicitud:

- Toda persona y por varias vías
- Fecha límite
- Repositorio
- Solicitudes no vinculantes; Especial tratamiento de solicitudes de **comisiones técnicas asesoras y agrupaciones de pacientes registradas**
- **Registro o autorización** en algún país con **autoridad sanitaria de alta vigilancia sanitaria**
- Costo igual o superior al umbral; no superior a 110% del fondo disponible (u 80% cuando solicita productor)

34

Proceso ETESA para Alto Costo

Evaluación:

- Valor: $> 0 =$ Umbral (en 12 meses)
- Registro/Autorización: puede estar en trámite o solicitar
- Evidencia científica: efectividad; MINSAL o externalizada (pública o privada)
- Información no divulgada
- **Análisis secuencial:** 1º) Eficacia y efectividad relativas → Seguridad → Alternativas (si las hay); 2do) Evaluación económica → Condiciones de pago (riesgo compartido) → Precio máximo industrial → Impacto presupuestario; 3ro) Implementación → Impacto en redes; 4to) Repercusiones éticas, jurídicas y sociales → Alcance y plazo de revisión de la evaluación

Recomendación:

- Comisión: analiza, prioriza y recomienda a Salud y Hacienda
- Preside Subsecretario
- Miembros: 12 especialistas y 2 representantes de agrupaciones de pacientes
- El acta final puede ser impugnada
- Recusación de sus miembros

Decisión:

- Decreto
- Regulado por Ley

35

Definiciones de evaluación LRS

- **Eficacia y efectividad:** beneficio adicional frente a alternativas en condiciones ideales (ensayos clínicos) y práctica clínica real, respectivamente
- **Seguridad:** información de efectos y reacciones adversas y alertas sanitarias
- **Evaluación económica:** análisis comparativo de 2 o más alternativas en costo y resultados
- **Solicitud de información a proveedores:** Se puede invitar a informar a proveedores (vinculante)
- **Riesgo compartido:** Contratos de provisión basados en resultados financieros y en salud
- **Precio máximo industrial:** Tope a pagar basado en precios de referencia en otros países (relevancia, eficacia, disponibilidad). No puede superar media de ofertas recibidas
- **Impacto presupuestario:** análisis financiero basado en proyecciones de población, precios y disponibilidad del Fondo
- **Implementación y redes:** Evaluación de capacidades para otorgar la prestación
- **Alcance y plazo de revisión:** para qué problema de salud y por cuánto tiempo se hace la recomendación

36

Nota Técnica – Evaluación Científica de la Evidencia: Aspectos relevantes

- **Eficacia y efectividad relativas** → Mide desenlaces de mortalidad y calidad de vida (AVAC; generales: mortalidad; específicos: n° de eventos disminuidos sobre tratados o disminución duración de síntomas)
- **Evaluación económica** → Costos nacionales; modelos adaptados a Chile; Costos directos desde perspectiva del Fondo (Guía MINSAL)
- **Mecanismo de pago basado en riesgo compartido** → Acuerdos basados en resultados financieros (poblacionales: Precio-Volumen; Participación de mercado / paciente: inicio de tratamiento; Descuentos, devoluciones y entrega gratuita; Límite en costo o cantidad utilizada); Acuerdos basados en resultados de salud (cobertura condicionada bajo búsqueda de evidencia; Continuación de tratamiento condicionada / Pago por resultados: con garantía en resultados finales, intermedios o costo-efectividad; Esquema o proceso de cuidado)
- **Precio máximo industrial** → se calcula considerando: países de referencia (varios de AL y Canadá, varios de Europa, país productor); compras conjuntas o de org. Internacionales; tipo de precio (institucional, Estado; otras); fuente (públicas y consultas directas); periodo de referencia (4 años)

37

Ensayos clínicos (Modifica el Código Sanitario)

- Autorización especial para uso provisional (ISP)
- Derecho *ex post* a tratamiento sin costo
- Libre acceso a información para ISP
- Responsabilidad por daños, incluso no previstos y productos defectuosos

38

ISPOR Latin America 2019

Acceso a Tratamiento para Cánceres Raros en Chile

Fin

David Debrott Sánchez

12-14 Septiembre, 2019 | Bogotá, Colombia

39



Provide an overview of the HTA issues for rare cancers in Brazil and highlight the opportunities for improvement.

TIAGO FARINA MATOS

40



41

Pacto

Necesitamos perseverar con un modelo regulatorio que no abandone al paciente que puede beneficiarse de las nuevas tecnologías.



42

Desafíos

Los tumores raros NO pueden seguir la misma regla de evaluación que los tumores comunes

43

Desafíos

Poca evidencia

Alto costo

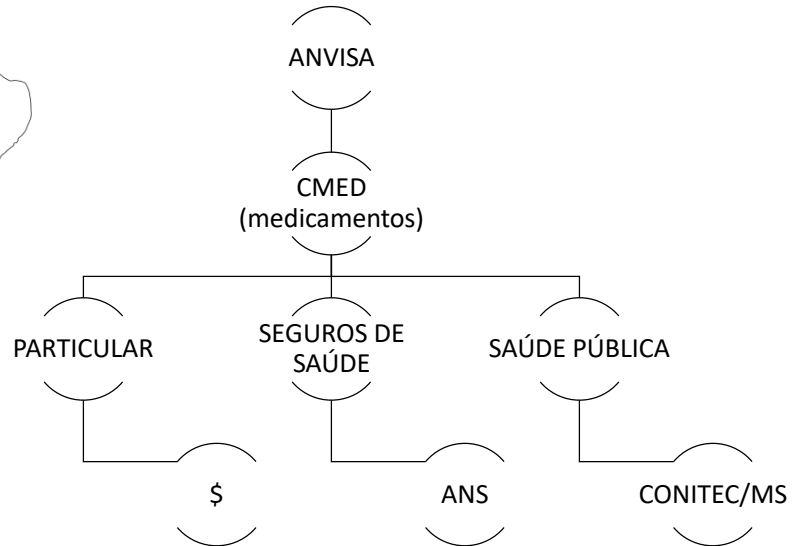
Acceso experto

44

Desafíos

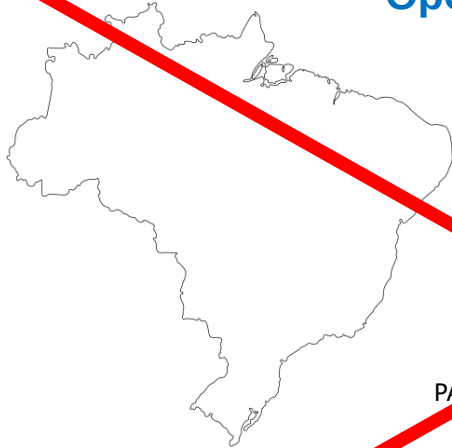


HTA

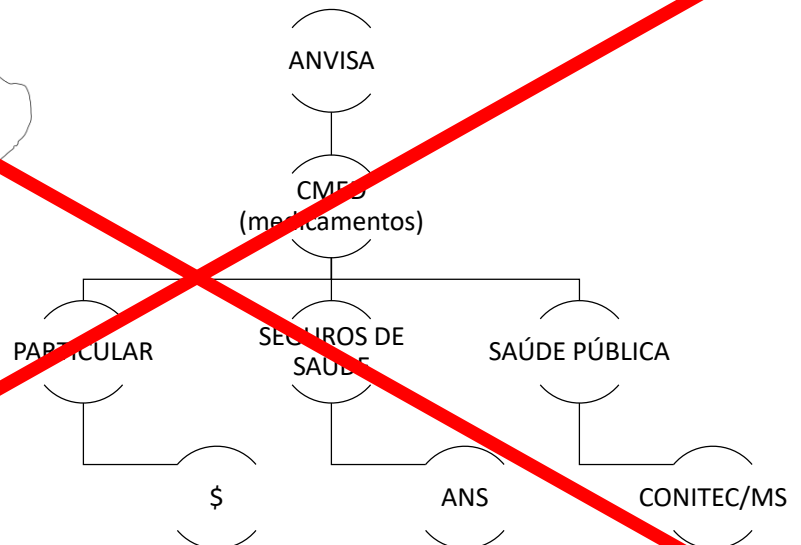


45

Oportunidades



HTA



46

Oportunidades

Nuevo modelo regulatório

Agencia Nacional de Evaluación de
Tecnología de Salud

47

Oportunidades

- Mantener lo que funciona
- Mejora lo que no funciona

48

Oportunidades

Criterios objetivos para la toma de decisiones.

49

Oportunidades

Ampliar el espectro de transparencia

50

Oportunidades

Busque alternativas regulatorias para la reducción de precios y el riesgo compartido

51

Oportunidades

Revisar modelo de financiación

52

Oportunidades

Incentivos legales para el desarrollo de medicamentos huérfanos

53

Oportunidades

Telemedicina

- Diagnóstico temprano
- Manejo del tratamiento



54

Oportunidades

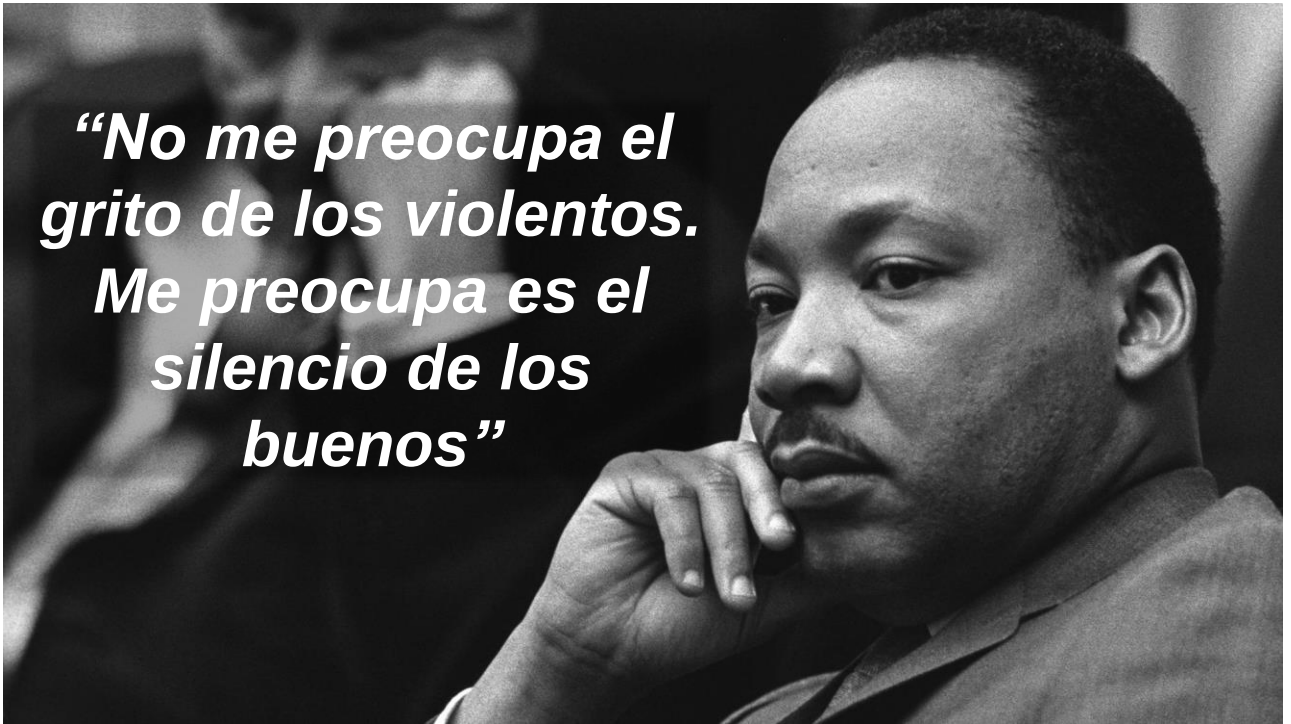
Notificación obligatoria
de cáncer

55

Oportunidades

Participación
social

56



57

**No solo confíes
en tu perspectiva**



58



59



60



61



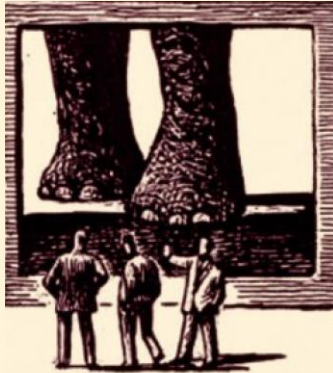
62



63



64



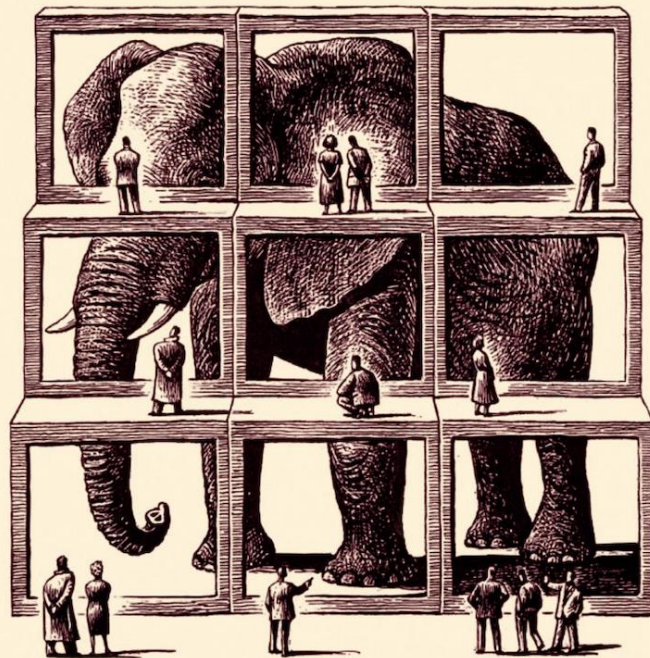
65



66



67



68

Muito obrigado!

Muchas gracias

Thank you