ObserveMHe
OBSERVATORIO DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Revisión de artículos

Comparative policy analysis of national rare disease funding policies in Australia, Singapore, South Korea, the United Kingdom and the United States: a scoping review

Ng QX, Ong C, Chan KE, Ong TSK, Lim IJX, Tang ASP, Chan HW, Koh GCH Health Econ Rev. 2024 Jun 19;14(1):42

https://doi.org/10.1186/s13561-024-00519-1

Dra. Mariló Edo Solsona

Farmacéutica especialista, Servicio de Farmacia, Hospital La Fe de Valencia

Dr. José Luis Poveda

Jefe de Servicio de Farmacia, Hospital La Fe de Valencia

Resumen

Las enfermedades raras (EERR) plantean inmensos desafíos para los sistemas de salud debido a su baja prevalencia, las discapacidades que provocan y los costes de tratamiento asociados. A lo largo de las últimas décadas, fundamentalmente desde la aprobación de la legislación de medicamentos huérfanos (MMHH) en varios países, se ha promovido la investigación y el desarrollo de este tipo de fármacos poniendo en jaque a los formuladores de políticas sanitarias que deben equilibrar el imperativo ético de brindar acceso a tratamientos que salvan vidas con las limitaciones prácticas de los presupuestos de atención médica.

Son diversas las estrategias que diferentes países han adoptado para gestionar estos desafíos, por lo que los autores de este artículo se propusieron como objetivo comparar y contrastar los enfoques empleados por cinco países con sistemas de salud de alto rendimiento (Australia, Singapur, Corea del Sur, Reino Unido y EEUU) para financiar los MMHH. Pretendían identificar las mejores prácticas, puntos de aprendizaje y áreas potenciales de mejora para garantizar el acceso equitativo al tratamiento para pacientes con EERR examinando las políticas, los procesos de aprobación y los mecanismos de reembolso existentes en los cinco países mencionados mostrándose los hallazgos a continuación.

En **Australia** tienen un sistema nacional de financiación de pagador único (Medicare) que proporciona seguro médico universal financiado con fondos públicos estando complementado por el Plan de Beneficios Farmacéuticos (PBS) que ayuda a cubrir los gastos de ciertos medicamentos. El Comité Asesor del PBS, un organismo externo independiente designado por el gobierno, emplea criterios específicos, incluida la rentabilidad, para evaluar la elegibilidad de un medicamento para su inclusión en el PBS. En 1995 se creó el Programa de medicamentos que salvan vidas (LSDP) con el objetivo de ampliar el acceso a medicamentos de alto coste destinados al tratamiento de EERR, encontrándose actualmente 17 MMHH subvencionados a través de este plan. PBS y LSDP suelen utilizar acuerdos de riesgo compartido para gestionar los riesgos e incertidumbres de los MMHH. Estos acuerdos mutuos entre patrocinadores y gobierno son confidenciales, siendo la mayoría de ellos acuerdos financieros precio-volumen, rebajas o descuentos, aunque también son posibles los híbridos de acuerdos financieros y basados en resultados y los basado en resultados únicamente, sobre todo para el LSDP.

Resumen (cont.)

Los MMHH que se encuentran en el LSDP se someten a revisiones periódicas 24 meses después de su inclusión para evaluar su uso correcto, los beneficios clínicos y los impactos financieros. Las recomendaciones tras la revisión pueden implicar modificar los criterios de elegibilidad, ajustar los acuerdos de distribución de riesgos, alterar los alcances de la recopilación de datos, remitir el medicamento al comité asesor del PBS para su consideración en la lista o incluso eliminarlo de la lista del LSDP.

El gobierno de **Singapur** lanzó, en 2019, un Fondo benéfico para apoyar a los niños con EERR financiando cinco MMHH para tres EERR. Con una dotación inicial de 70 millones de dólares de Singapur, el fondo funcionaba combinando retribuciones del gobierno con donaciones comunitarias: por cada dólar donado por el público, el gobierno aporta tres. El enfoque que da importancia a la acción colectiva y la responsabilidad compartida es la posición que el gobierno promueve para aumentar las donaciones, particularmente de personas con alto patrimonio, fundaciones y patrocinadores colectivos para asegurar fondos adicionales para los pacientes con EERR. A partir de 2023, el Fondo benéfico cubre cinco enfermedades y siete medicamentos, y ha ayudado a aliviar la carga financiera médica a nueve pacientes. Existen otras vías como Medisave, MediShield Life y MediFund, para ayudar a la mayoría de las personas con EERR cubriendo tratamientos y facturas médicas, sin embargo, el alcance de apoyo financiero a través de estas vías sigue siendo limitado y sujeto a límites anuales.

En **Corea del Sur**, la atención sanitaria gira entorno al NHIS, un programa de seguro público gestionado por el Ministerio de Salud y Bienestar. Tras un cambio en su sistema de reembolso de medicamentos en 2007, sólo los medicamentos con rentabilidad confirmada pasaron a ser elegibles para reembolso, lo que dificultó el acceso a los MMHH. Entre 2007 y 2020, de los 168 MMHH aprobados en Corea del Sur, solo 94 fueron financiados. Para mejorar el acceso, en el país se han creado vías de reembolso para MMHH sin alternativas. La vía de la exención de evaluación farmacoeconómica, introducida desde mayo de 2015, aplica a los MMHH considerados esenciales (ED) o a aquellos incluidos en las categorías de exención farmacoeconómica (PEW). Los criterios que definen los medicamentos ED son: disponibilidad de alternativas, gravedad de la enfermedad, recuento de pacientes y eficacia clínica, mientras que los medicamentos PEW deben demostrar simultáneamente necesidad clínica y desafíos de evidencia, y estar incluidos en más de tres países A7 (EEUU, Reino Unido, Italia, Alemania, Japón Suiza y Francia) para clasificarse como tal.

Resumen (cont.)

Por otra parte, la vía del acuerdo de riesgo compartido fue diseñada específicamente para medicamentos contra el cáncer y contra EERR que carecen de alternativas u opciones terapéuticamente equivalentes y están destinados a abordar enfermedades críticas potencialmente mortales. En cada vía, el precio de reembolso lo decide el Comité del Servicio de Revisión y Evaluación del Seguro Médico (HIRA), donde se negocia el precio con el NHIS para acordar su impacto presupuestario. En la actualidad, en Corea del Sur no existe ningún fondo especial para EERR, sin embargo, muchos de los MMHH están cubiertos por el NHIS.

El **Servicio Nacional de Salud** (NHS) es el sistema de salud financiado con fondos públicos del Reino Unido, que opera según los principios básicos de universalidad y acceso gratuito a la atención sanitaria. Dentro del marco del NHS, el NICE valora las tecnologías sanitarias evaluando la evidencia de su eficacia, seguridad y rentabilidad. El papel de NICE es determinar si los gastos de atención médica propuestos dentro del NHS ofrecen un valor superior en comparación con tratamientos alternativos. Su evaluación implica analizar el coste y el beneficio de nuevos tratamientos en relación con los existentes, considerando a menudo intervenciones que cuestan menos de £20.000-30.000 por año de vida ajustado por calidad (AVAC) como rentables. En particular, una vez que NICE aprueba un tratamiento, el NHS tiene el mandato de proporcionarle financiación. Específicamente en el caso de las EERR, la obtención de la aprobación de costosos MMHH a menudo enfrenta obstáculos debido a la falta de evidencia para una aprobación fluida por parte del NICE. En 2021, el Marco de Enfermedades Raras de Inglaterra se propuso abordar esta desigualdad perfeccionando el proceso de aprobación de tecnología. Los cambios dentro del Programa de Tecnologías Altamente Especializadas dan más importancia a los beneficios para la salud en condiciones graves, ofrecen flexibilidad cuando la generación de evidencia es un desafío y ofrecen un umbral de rentabilidad más alto de £ 300 000 por AVAC. Además, el Fondo de Medicamentos Innovadores (FMI), inspirado en el reformado Fondo de Medicamentos Contra el Cáncer (CDF), apoya el acceso temprano a tratamientos prometedores para cualquier afección, incluidas las EERR. Con una subvención anual de £340 millones, el FMI proporciona financiación provisional para medicamentos cuya rentabilidad clínica y costo-efectividad son inciertas.

Resumen (cont.)

Finalmente, el enfoque de Estados Unidos implica una combinación de programas federales y estatales, seguros privados, iniciativas de compañías farmacéuticas y organizaciones sin fines de lucro. Una iniciativa emblemática fue la Ley de Medicamentos Huérfanos de 1983, que permitió a la FDA otorgar a ciertos medicamentos o productos biológicos una designación de medicamento huérfano. Esto proporciona incentivos como créditos fiscales para la investigación clínica, subvenciones, asistencia en el diseño de la investigación clínica y siete años de exclusividad en el mercado tras la aprobación de medicamentos utilizados para tratar EERR. Los Institutos Nacionales de Salud (NIH) de EEUU, particularmente a través del Centro Nacional para el Avance de las Ciencias Traslacionales (NCATS) y su Oficina de Investigación de Enfermedades Raras (ORDR), también desempeñan un papel importante en la financiación y realización de investigaciones sobre EERR. Todos estos esfuerzos garantizan una innovación y una línea constante de desarrollo de fármacos para cambiar el curso de las EERR. Por otra parte, el seguro médico privado contribuye de manera importante a cubrir los costes de los MMHH. Sin embargo, la cobertura y los "costes de bolsillo" (aquellos que el paciente tiene que pagar) pueden variar significativamente entre los sistemas de salud de los diferentes estados. Un análisis del gasto de bolsillo en MMHH encontró una tendencia creciente (casi duplicándose de 2013 a 2018) y una mayor carga para los pagadores y las familias a pesar de la cobertura del seguro privado. En cuanto a los programas de seguro médico financiados por el gobierno (Medicaid y Medicare), estos brindan cobertura a ciertas personas, incluidas aquellas con discapacidades y personas mayores, siendo posible que cubran algunos tratamientos para EERR, según el estado y los detalles específicos de la póliza.

En particular, la Ley de Atención Médica Asequible (ACA), también conocida como Obamacare, tiene disposiciones que afectan a los pacientes con EERR, como la de prohibir a las compañías de seguros negar cobertura debido a condiciones preexistentes, que incluyen muchas EERR. Sin embargo, los criterios de ingreso a Medicaid se basan en los ingresos y activos familiares que varían de un estado a otro. Finalmente, vale la pena mencionar las numerosas organizaciones sin ánimo de lucro que en los EEUU brindan apoyo a la investigación de EERR y defienden a los pacientes. Estas organizaciones a menudo recaudan fondos para apoyar la investigación, aumentar la conciencia y ayudar a los pacientes a acceder y pagar los tratamientos.

Comentario

La comparación de enfoques de estos cinco países con sistemas de salud de alto rendimiento con respecto a la financiación de MMHH revela un delicado acto de equilibrio entre proporcionar acceso a los medicamentos y sopesar los impactos presupuestarios. Si bien algunos países cuentan con políticas y mecanismos de reembolso bien documentados para EERR, otros carecen de estudios detallados sobre la eficacia y sostenibilidad de sus modelos de financiación. El enfoque de Singapur se asemeja a la práctica de Corea del Sur de eximir a ciertos MMHH del análisis de rentabilidad. Existen desafíos compartidos al realizar tales análisis para medicamentos de alto coste para EERR, dada la poca frecuencia de estas. Sin embargo, el sistema de Singapur, a diferencia del de Corea del Sur, parece lento a la hora de agregar medicamentos a su lista y carece de transparencia para seleccionar MMHH dentro de su RDF. A nivel internacional, países como Australia, el Reino Unido y Corea del Sur utilizan distintos acuerdos de riesgo compartido, que el marco de Singapur no emula actualmente. Además, es cierto que la dependencia del RDF de la buena voluntad pública y de las donaciones crea inestabilidad en la financiación, y la ausencia de un mecanismo de acceso temprano o un sistema de seguimiento de datos del mundo real para los MMHH prolonga los procesos de aprobación, en contraste con las prácticas en otros lugares. Todo esto da lugar a desigualdades, especialmente para los pacientes con EERR cuyos tratamientos no están incluidos en el fondo benéfico. De manera similar, en EEUU, el sistema de salud fragmentado da como resultado un acceso variado y altos costes de bolsillo, a pesar de la sólida financiación para la investigación y la Ley de Medicamentos Huérfanos que ofrece incentivos para el desarrollo de medicamentos.

Excepto **Singapur**, el resto de los países se benefician de la implementación de acuerdos de riesgo compartido con compañías farmacéuticas para abordar la incertidumbre sobre la eficacia y los costes. Un factor importante de incertidumbre es la sostenibilidad de la remisión, ya que podría variar desde un año hasta efectos de por vida. Un enfoque de acuerdo de riesgo compartido implica que el gobierno o los proveedores de atención médica negocien con los fabricantes de medicamentos para acordar términos que vinculen el pago de los medicamentos con su desempeño en el mundo real. Dada la escasez de datos sobre la eficacia a largo plazo de los MMHH, condicionar los pagos futuros a los resultados de salud reales y a los ahorros de costes logrados sería un enfoque financieramente prudente para los gobiernos.

Comentario (cont.)

Además, los fabricantes farmacéuticos y los pagadores públicos han manifestado su interés en este tipo de acuerdos entendiendo su papel a la hora de facilitar el acceso oportuno al mercado para los pacientes que lo necesitan, siempre que estuvieran cuidadosamente diseñados para garantizar el valor. La principal ventaja de este modelo radica en su potencial para hacer que las terapias costosas sean más accesibles y, al mismo tiempo, gestionar los riesgos financieros. Estos acuerdos se pueden estructurar de varias maneras, como pagar por un medicamento sólo si cumple con ciertos puntos de referencia de eficacia o distribuir el coste a lo largo del tiempo en función del beneficio continuo para el paciente. Esta estrategia alinea los intereses de los sistemas de salud públicos, los pacientes y las compañías farmacéuticas, asegurando que el pago esté supeditado al valor real proporcionado por el tratamiento. Además, un método de pago a plazos, que se ha contemplado en otros lugares, ayuda a distribuir el coste de estas terapias costosas durante un período de tiempo, aliviando así el impacto inmediato en los presupuestos sanitarios. No obstante, la fijación de precios basada en los resultados traslada algunos riesgos financieros a los fabricantes de medicamentos, quienes tal vez solo reciban el pago completo si se demuestra la eficacia del tratamiento. Este riesgo podría dar lugar a un precio inicial más alto o a una reticencia de los fabricantes a seguir investigando y desarrollando terapias para otras EERR. Del mismo modo, los modelos de fijación de precios basados en resultados requieren ciertas modificaciones en las prácticas tradicionales de seguros de salud, que pueden resistirse al cambio debido a los protocolos establecidos y la aversión al riesgo. Definir resultados razonables que reflejen con precisión la efectividad del tratamiento también puede ser un desafío, especialmente cuando se trata de terapias genéticas donde los estudios aún están en curso y los efectos a largo plazo aún no se comprenden completamente. La carga administrativa adicional para los proveedores de atención médica y las aseguradoras que tienen que seguir y monitorizar minuciosamente los resultados de los pacientes también podría impedir la eficiencia general del sistema de salud. Sin embargo, y a pesar de estos desafíos, los beneficios potenciales de los acuerdos de riesgo compartido en la gestión de la carga financiera de los costosos tratamientos de EERR los convierten en una opción convincente para la mayoría de los sistemas de salud de alto rendimiento. Ofrecen un enfoque pragmático para equilibrar los costes, el acceso y la innovación en la atención médica. Para el futuro, los países deberían compartir sus mejores prácticas y datos a través de las fronteras, ya que esto puede mejorar la comprensión global de la gestión y la financiación de las EERR. Los esfuerzos colaborativos pueden impulsar mejor la innovación y armonizar los procesos de aprobación y reembolso, beneficiando a los pacientes de todo el mundo.