



**Universitat  
Pompeu Fabra**  
*Barcelona*



**Colección Health Policy Papers**  
**2022 – 16**

## **LA FINANCIACIÓN DE LAS NUEVAS TERAPIAS**

**Guillem López Casasnovas**  
**Centre de Recerca en Economia i Salut (CRES)**  
**Universitat Pompeu Fabra (UPF)**



La Colección Policy Papers, engloba una serie de artículos, en Economía de la Salud y Política Sanitaria, realizados y seleccionados por investigadores del Centro de Investigación en Economía y Salud de la Universitat Pompeu Fabra (CRES-UPF).

*"This is an Open Access article distributed under the terms of the Creative Commons Attribution License 4.0 International, which permits unrestricted use, distribution and reproduction in any medium provided that the original work is properly attributed"*



<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>

**Barcelona, noviembre 2022**

## La Financiación de las Nuevas Terapias

Guillem López Casasnovas, Centre de Recerca en Economia i Salut (CRES)

### Introducción

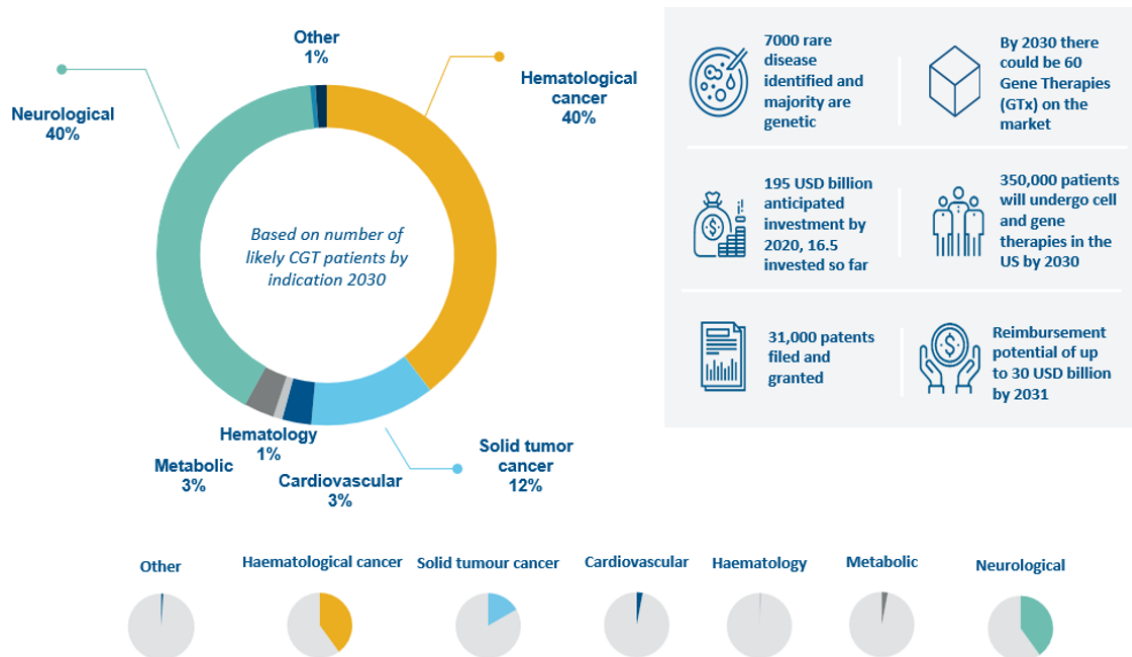
Incluimos en esta reflexión las terapias génicas, la ingeniería de tejidos, las terapias celulares somáticas, y las combinadas. Sabemos de ellas la expectativa elevada que supone su impacto *one-off* en curación y a lo largo del ciclo vital del paciente, su mayor precisión (en anticipar, predecir, ajustar el tratamiento en sus indicaciones más efectivas...) y su elevado coste.

Lejos de ser un futuro, los datos nos dicen que los tratamientos de medicina personalizada, estratificada, o cómo se les quiera llamar, están ya aquí y han venido para quedarse.

Estos son sus antecedentes.

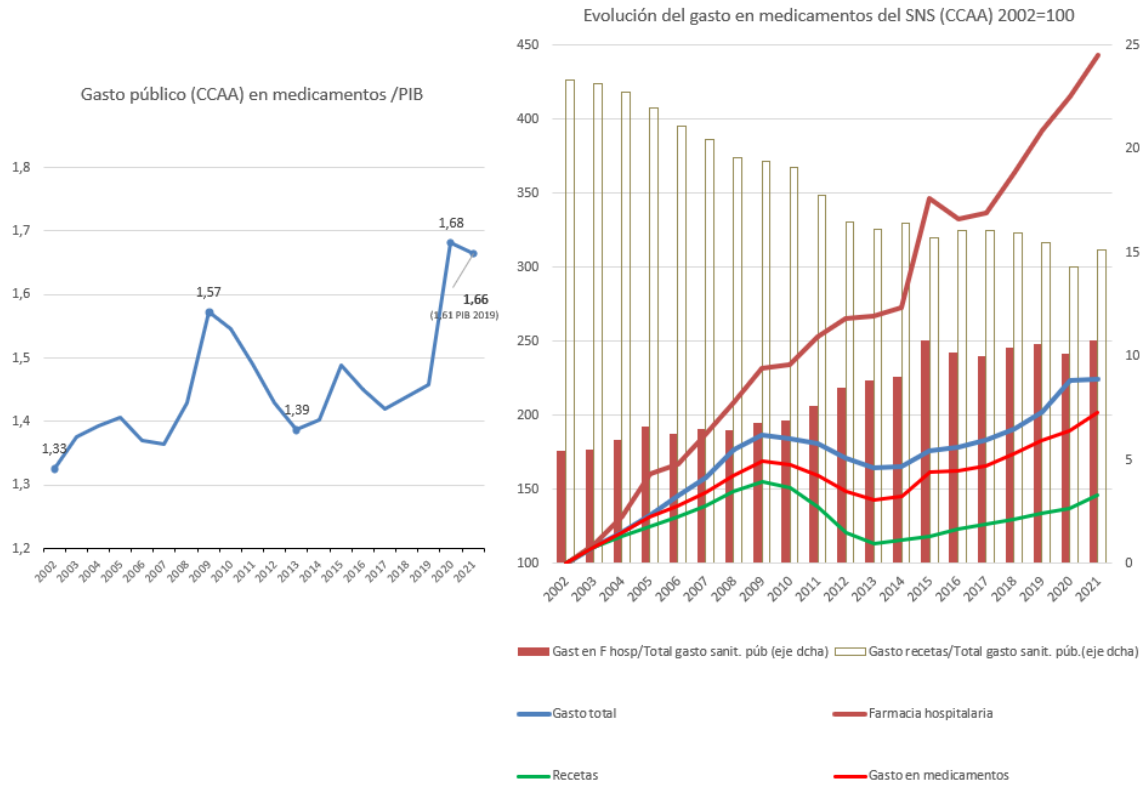
### Datos

#### Lo que viene: Nuevos accesos. Terapias génicas

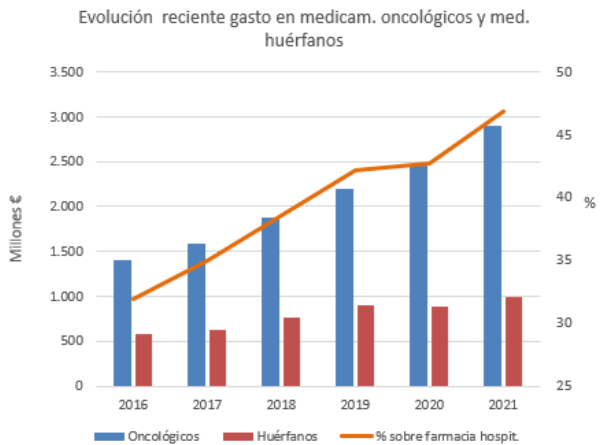
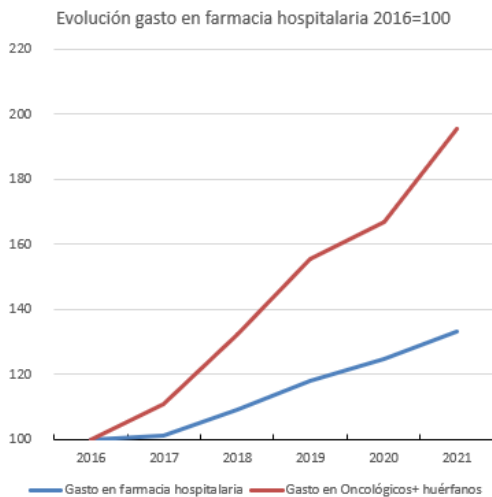


Source  
Gene therapy Market insights (3<sup>rd</sup> Edition) 2019-2030. Roots Analysis; Estimating the Clinical Pipeline of Cell and Gene Therapies and Their Potential Economic Impact on the US Healthcare system. Quinn et al. Centre of Biomedical Innovation, MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group; FoCUS October 2019 Lab Design Highlights

Todas ellas pivotando en el **gasto de farmacia hospitalaria**, en crecimiento reiterado por encima de dos dígitos:



Patología	Coste anual (€)
Mieloma múltiple	130.000
Leucemia linfática crónica	79.000
Enfermedad de pompe	400.000
Distrofia muscular espinal	400.000
Fibrosis Quística	200.000
CAR-T Cell	350.000



Y con un grueso de **terapias aún de próxima aprobación:**

**Rare birds**  
Key gene therapies for rare diseases in development or approved

- Medicines approved in any jurisdiction

Company/therapy name	Disease
BioMarin/Roctavian ●	Haemophilia a
Disease description Blood-clotting disorder	
bluebird bio/eli-cel	Cerebral adrenoleukodystrophy
Rapid loss of neurological function. Often fatal	
bluebird bio/lovo-cel	Sickle-cell disease
Atypical haemoglobin molecules lead to painful condition with wide damage to body and organs	
bluebird bio/Zynteglo* ●	Beta thalassaemia
Blood disorder with reduced levels of working haemoglobin	
CRISPR Therapeutics and Vertex Pharmaceuticals/CTX001	Sickle-cell disease
Atypical haemoglobin molecules lead to painful condition with wide damage to body and organs	
Gensight Biologics/Lumevoq	Leber hereditary optic neuropathy
Mitochondrial genetic disease that causes irreversible and severe vision loss, leading to blindness mostly in teens and young adults	

Novartis/Zolgensma ●	Spinal muscular atrophy	1,9m€
Causes weakening muscles and can be fatal		
Orchard Therapeutics/Libmeldy ●	Metachromatic leukodystrophy	2,4m€
A disorder which degrades the nervous system		
Orchard Therapeutics/Strimvelis ●	ADA-SCID	0,59m€
Inability to fight infections due to lack of white blood cells		
PTC Therapeutics/Upstaza ●	AADC deficiency	3m\$
Rare genetic disorder of nervous system, interferes with way nerve cells talk to each other		
Roche/Luxturna ●	Inherited retinal disease	0,85m€
Eye disorder that causes vision loss or blindness		
UniQure/EtranaDez†	Haemophilia b	
Blood-clotting disorder		
UniQure/Glybera* ●	Lipoprotein lipase deficiency	2,1m\$
Disease description Inability to digest fats		

\*Withdrawn from Europe †Approval expected in 2022  
Source: *The Economist*  
The Economist

EL PAÍS

Sociedad

SUSCRIBETE

MEDICAMENTOS >

## Sanidad negocia la adquisición del medicamento más caro del mundo: 2,47 millones por una única dosis

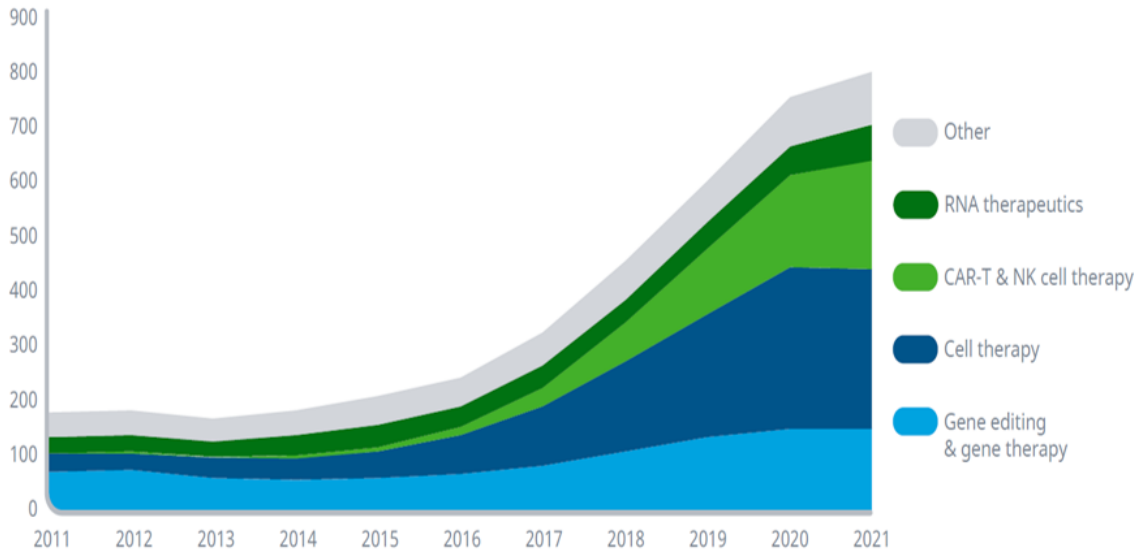
El Libmeldy puede curar por completo la leucodistrofia metacromática, una rara enfermedad genética mortal que frena el desarrollo de los niños al dañar las conexiones neuronales

					SKYSONA	BREYANZI® (lisocabtagene maraleucel)	Ciltacabtagene autoleucel
Indicación	Atrofia muscular espinal	Linfoma manto	Leucodistrofia metacromática	Mieloma múltiple	Adreno - leucodistrofia cerebral	Linfomas	Mieloma múltiple
Titular AC							
Terapia	Génica	CAR-T	Génica	CAR-T	Terapia génica	CAR-T	CAR-T
Evaluación							

Medicamento ya autorizado por la Comisión Europea, en fase de evaluación de oferta de precio y condiciones de financiación en España (Ministerio de Sanidad)

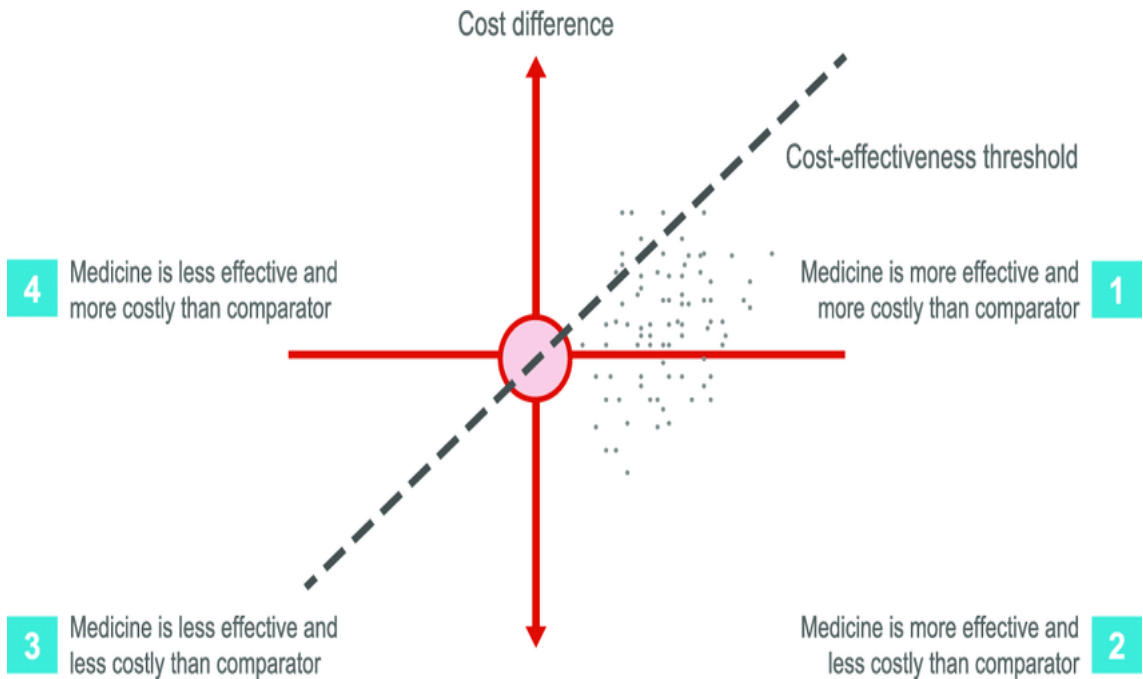
Medicamento pendiente de autorización por la Comisión Europea, en fase de evaluación de eficacia/seguridad/calidad en Europa (Agencia Europea de Medicamentos)

# Medicamentos de terapias avanzadas en fase 1



Source: IQVIA Pipeline Intelligence, Dec 2021; IQVIA Institute, Jan 2022.

Y todo ello sin capacidad aún para identificar sus valores incrementales como **algoritmos de aprobación**:



El tema de la **financiación y reembolso** aparece pues como clave en este análisis. Se ofrecen aquí unas reflexiones al hilo de diversos artículos recientes (Koleva-Kolarova et al., 2022).

## Reflexiones

- 1- Sólo con financiación pública la tarea de introducir nuevas terapias a reembolsar en el sistema público no pensamos que vaya a ser factible. Pero sin ingenuidad hemos de prever qué rendimientos indirectos va a requerir la colaboración privada. Primero aclaremos qué se puede entender aquí por colaboración: participar en la incertidumbre de los resultados compartiendo riesgos de no financiación si éstos no se confirman; aprovechar abierta y contractualmente los beneficios de la investigación pública en estos territorios o colindantes; acceder al sistema sanitario en registros y práctica clínica; favorecerse de nueva inversión pública en investigación básica infactible para la iniciativa privada sin el escalado y la gama de la pública. Y directamente la colaboración mutua incluiría la búsqueda de nueva evidencia en registros, test de biomarcadores, datos para caracterización de geno- y fenotipos (incluyendo datos de estilos de vida poblacionales), focalizando futuras innovaciones; interés en la gestión aseguradora privada y de riesgo inversor para compañías de *venture capital* (por ejemplo la alianza del *Center for Therapeutic Target Validation* de GSK con la UCL), o de focalización de enfermedades raras o huérfanas para instituciones sin ánimo de lucro.
- 2- Todo ello abre una gran diversidad de intereses en casos concretos y heterogeneidad de medidas que pueden facilitar o entorpecer la aprobación de estas nuevas terapias: regulaciones, licencias, derechos de propiedad, acuerdos financieros, en protección de datos, etc.
- 3- Los modelos de reembolso se pueden basar en acuerdos financieros ex ante, o ex post basados en resultados, o en la óptima combinación de ambos. Entre los primeros: leasing según precio de equipamiento; riesgo compartido en resultados a fechas diferentes; fijación de precio por uso según coste plus; sobre precio de tratamientos anteriores aumentados x% (en actividad, ya desde un *bundling*, o en base a un HRG o DRG); acuerdos precio/volumen con descuentos; pagos del financiador 'up front' con un tanto alzado y *paybacks* o devoluciones en su caso; su variante modelo 'Netflix' con suscripción y acceso limitado. Y entre los segundos, los denominados *value-based* o basados en el valor probado.
- 4- Son elementos facilitadores de dichos acuerdos el que se comparta la evidencia de modo transparente, y los contratos a varios años (así se dice en las *Accountable Care Organisations* o ACOs americanas) y con coberturas ampliables o revisables gradualmente.
- 5- Son cuestiones entorpecedoras de los acuerdos el anclaje a la evaluación basada en AVACs (al ser tratamientos *one-off* y de impacto en el ciclo vital del beneficiario, menos aprehensibles en la evaluación coste-utilidad convencional); los costes de



transacción en recogida de datos para la validez de los acuerdos y a menudo la credibilidad de los compromisos políticos incluso en el corto plazo; y para el financiador público que el coste de oportunidad social de la priorización se desvanezca ante el coste de oportunidad del paciente concreto en disyuntiva más dura de erradicación de su problema vital.

- 6- Una ventaja a considerar en este caso es que la tarificación de dichos tratamientos o la diversidad de los acuerdos que se establezcan resisten mejor en un mundo global el comercio paralelo y el arbitraje, con una discriminación de precios que puede no dejar completamente atrás ningún país. Y también los incentivos conductuales para las compañías pueden jugar un nuevo papel por el lado del prestigio y reputación con los beneficiarios como sus mejores embajadores.

## Referencias

1. Quinn, C., Young, C., Thomas, J., & Trusheim, M. (2019). Estimating the clinical pipeline of cell and gene therapies and their potential economic impact on the US healthcare system. *Value in Health*, 22(6), 621-626. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.03.014>
2. The Economist (2022, August 25). *Gene therapies must become miracles of medicine*. Retrieved November 22, 2022, from <https://www.economist.com/briefing/2022/08/25/gene-therapies-must-become-miracles-of-medicine>
3. Güell, O. (2022, July 26). *Sanidad Negocia La Adquisición del Medicamento Más Caro del Mundo: 2,47 millones por una única dosis*. El País. Retrieved November 22, 2022, from <https://elpais.com/sociedad/2022-07-26/la-sanidad-publica-negocia-la-financiacion-de-libmely-el-nuevo-medicamento-mas-caro-del-mundo-247-millones-por-su-unica-dosis.html#:~:text=El%20precio%20de%20salida%20del,1%2C95%20millones%20de%20euros.>
4. IQVIA Institute for Human Data Science (2022, February). *Global Trends in R&D: Overview through 2021*.
5. Koleva-Kolarova, R., et al (2022). Financing and reimbursement models for personalised medicine: A systematic review to identify current models and future options. *Applied Health Economics and Health Policy*, 20(4), 501–524. <https://doi.org/10.1007/s40258-021-00714-9>

## Últimos Títulos de la Colección Health Policy Papers

López-Casasnovas, G; Maynou-Pujolràs, L.; Sáez-Zafra, M; **"Health and Random Shocks: Self-Perceived Health in Spain and in Some European Countries During the Financial Crisis"** Health Policy Papers Collection 2022-15\_GL\_LM\_MS

Castaño Riera, E; **"El Relato: VII Programa Experto en Política Sanitaria y Farmacoeconomía"** Health Policy Papers Collection 2022-14\_EC

Ortún Rubio, V; **"¿Sirve el instrumental de evaluación económica convencional para la innovación actual y futura?"** Health Policy Papers Collection 2022-13\_VO

Ibern Regàs, P; **"Perspectivas económicas sobre la medicina de precisión."** Health Policy Papers Collection 2022-12\_PI

Peiró Moreno, S; **"Modelos de estratificación poblacional de la cronicidad."** Health Policy Papers Collection 2022-11\_SP

López-Casasnovas, G; **"La privatización de la sanidad. Que viene el lobo."** Health Policy Papers Collection 2022-10\_GL

Serrano-Alarcón, M; Hernández-Pizarro, H; López-Casasnovas, G; Nicodemo, C; **"Effects of long-term care benefits on healthcare utilization in Catalonia"** Colección Health Policy Papers 2022-09\_GL.

López-Casasnovas, G; **"Los beneficios fiscales del aseguramiento sanitario privado"** Colección Health Policy Papers 2022-08\_GL

López-Casasnovas, G; **"Como veo la evolución de los tratamientos farmacológicos"** Colección Health Policy Papers 2022-07\_GL.

López-Casasnovas, G; **"Petita crònica de les propostes de la comissió d'experts per a la reforma fiscal, amb especial referència final a la fiscalitat indirecta de la sanitat privada."** Colección Health Policy Papers 2022-06\_GL.

López-Casasnovas, G; **"La Subvenció pública en el món de les Arts. Teatre i economia."** Colección Health Policy Papers 2022-05\_GL.

López-Casasnovas, G; **"La economía de la salud 'en cuerpo y alma."** Colección Health Policy Papers 2022-04\_GL.

López-Casasnovas, G; **"A political economy analysis of the Spanish Health System and its reform."** Colección Health Policy Papers 2022-03\_GL.

López-Casasnovas, G; **" Envelliment, salut i activitat econòmica i empresarial"** Colección Health Policy Papers 2022-02\_GL.

López-Casasnovas, G; **"Análisis de economía política del Sistema de Salud Español"** Colección Health Policy Papers 2022-01\_GL.

López-Casasnovas, G; **"Les desigualtats socials a l'entorn urbà centre-perifèria de Barcelona"** Colección Health Policy Papers 2021-18\_GL.

López-Casasnovas, G; **"Farmacoeconomía y evaluación de medicamentos: ¿Quo vadis?"** Colección Health Policy Papers 2021-17\_GL.

López-Casasnovas, G; **"A propósito del debate Marmot-López sobre desigualdades en salud."** Colección Health Policy Papers 2021-16\_GL.

<https://www.upf.edu/web/cres/health-policy-papers>

