

# HTAi 2023 Foro de Políticas en Evaluación de Tecnologías Sanitarias en Latinoamérica

## ¿Cómo los nuevos esquemas de acceso, incluyendo los acuerdos de riesgo compartido, pueden contribuir a las decisiones de cobertura?

VIII Foro de Políticas en Evaluación de Tecnologías Sanitarias en Latinoamérica (Latam Policy Forum). Chile, agosto 2023.

*Este documento ha sido elaborado por: Sebastián García Martí, Andrea Alcaraz, Lucas Perelli, Federico Augustovski y Andrés Pichon Riviere*

*Instituto Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS) - Argentina*

*Agradecemos a Manuel Espinoza, Presidente del Latin American Policy Forum 2023 de HTAi y a los integrantes del Comité Organizador: William Dorling (Pfizer), Felipe Vera (Ministerio de Salud, Chile), Luciene Bonan (Ministerio de Salud, Brasil), Adriana María Robayo (Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud, Colombia), Graciela Fernández (Fondo Nacional de Recursos, Uruguay), Fernanda Laranjeira (Medtronic), Diego Guarín (MSD), Alicia Granados (Sanofi) por sus comentarios y sugerencias en la realización de este documento.*

### **Marco general del Policy Forum 2023**

Los esquemas de acceso a tecnologías (EAT), engloban distintos tipos de acuerdos entre las partes interesadas, como fabricantes de medicamentos, pagadores y pacientes, para compartir los riesgos y los beneficios asociados con la incorporación de un tratamiento en particular, son una herramienta cada vez más utilizada para abordar los desafíos en el acceso a medicamentos innovadores y de alto costo.

La terminología en el idioma español puede en ocasiones puede tener distintas acepciones existiendo también el término acuerdos de riesgo compartido (ARC) que puede utilizarse en forma indistinta.

Se explorará la posible utilidad de los mismos en América Latina, en el contexto de los desafíos en el acceso a medicamentos, la sostenibilidad financiera de los sistemas de salud y la necesidad de garantizar el acceso a tratamientos innovadores y de alta calidad. Se describirá cómo funcionan y se presentarán algunos ejemplos de implementación en la región y en el mundo.

El objetivo de este documento es aportar información a los tomadores de decisiones, los responsables de políticas y los productores de tecnologías que pueda servir como insumo para promover una mejor participación de los participantes en el Foro de Políticas de Salud 2023 a realizarse en Chile.

## Descripción general del Documento Base

1. Sección Introducción
2. Sección Antecedentes
3. Sección Esquemas Acceso a Tecnologías
  - a. Definición y Taxonomía
  - b. Diferencias entre acuerdos financieros y basados en el desempeño
  - c. Descripción de su uso en los últimos años
4. Evaluación de su utilidad potencial
5. Posibilidades de uso futuro
6. Sección Experiencias Internacionales y Regionales
7. Sección Referencias

## 1. Introducción

Los financiadores y los productores de tecnologías, tienen como objetivo promover el rápido acceso a las mismas después de la autorización de su comercialización. Sin embargo, en ocasiones existe incertidumbre acerca del verdadero beneficio de la tecnología o del impacto presupuestario que incorporar la misma signifique para los sistemas de salud. Como una estrategia para abordar estas situaciones de incertidumbre pueden utilizarse los Esquemas de Acceso a Tecnologías (EAT), también conocidos como acuerdos de riesgo compartido, que permiten a los productores y financiadores generar acuerdos que permitan compartir el riesgo de esta incertidumbre (tanto en sus beneficios clínicos como en el impacto presupuestario) para promover la incorporación de la tecnología<sup>1</sup>. Estos acuerdos ayudan a mitigar las consecuencias de tomar decisiones de cobertura cuando existe incertidumbre sobre los efectos de un nuevo tratamiento. Tomar decisiones inadecuadas puede llevar a resultados de salud deficientes, desperdicio de recursos y disminuir la credibilidad de los procesos de toma de decisiones.

Estos mecanismos se emplean para establecer modalidades de pago y condiciones de reembolso que sean justos y equitativos tanto para los financiadores y proveedores de atención médica como para los productores de tecnologías, al tiempo que se garantiza el acceso a una atención de calidad.

Habitualmente estos tipos de esquemas se utilizan con mayor frecuencia en aquellas tecnologías para las cuales el impacto presupuestario de su incorporación puede ser elevado y se quiere disminuir la incertidumbre de su adopción, ya sea presupuestaria o en el desempeño clínico de las mismas. En general este tipo de acuerdos intentan “compartir” los riesgos de la incorporación de tecnologías entre el financiador y el productor en aquellas situaciones en que por características de la patología, la calidad de la evidencia o el impacto presupuestario de su incorporación la incertidumbre de su adopción sea elevada.

En otras palabras, son una estrategia utilizada para compartir el riesgo entre los productores de medicamentos, dispositivos o test diagnósticos y los pagadores, ya sean sistemas de salud, proveedores de seguridad social o aseguradores privados.

Estos acuerdos se establecen para garantizar el acceso a los tecnologías innovadoras y reducir el costo del tratamiento, fundamentalmente en aquellos casos donde no existe suficiente certeza acerca de si la tecnología va a tener resultados positivos en la vida real similar a la de los estudios clínicos, o porque existe incertidumbre en el resultado de los mismos.

El **objetivo** del octavo Foro de Políticas en Evaluación de Tecnología Sanitaria en Latinoamérica de 2023 será discutir y entender la **utilidad y potencial de la utilización de los Esquemas de Acceso de Tecnologías (EAT) incluyendo los Acuerdos de Riesgo Compartido (ARC)** en los procesos de incorporación de tecnologías y toma de decisiones, analizar sus **características**,

---

<sup>1</sup> Garrison, L. et al. (2013), “Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force”, Value in Health, Vol. 16/5, pp. 703-719, <http://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011>.

**barreras y facilitadores** que los diferentes actores enfrentan respecto a su utilización, y definir una serie de **principios clave y acciones** que puedan servir para guiar su implementación de elegir su utilización.

### ¿Qué es la Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETESA)?

La ETESA es un proceso multidisciplinario que utiliza metodologías explícitas para determinar el valor de una tecnología sanitaria a lo largo de su ciclo de vida<sup>2</sup>. Su propósito es informar el proceso de toma de decisión para promover sistemas de salud equitativos, eficientes y de alta calidad. Esta información es utilizada por los sistemas de salud para tomar decisiones que afectan sobre todo la forma en que se asignan los recursos sanitarios, como por ejemplo la decisión de dar cobertura a una determinada tecnología sanitaria, o la decisión de incorporarla a un paquete de beneficios.

Las tecnologías sanitarias constituyen hoy una parte indispensable de todo sistema de salud y su uso se ha incrementado en las últimas décadas. La introducción de nuevas tecnologías ha representado en general beneficios significativos, en términos de prevención, seguridad, mejoras en la salud y calidad de vida o reducción de efectos adversos. Sin embargo, en un contexto en el cual los recursos son limitados, la correcta incorporación y difusión de las tecnologías se ha convertido en un desafío y, en algunos casos, un serio problema.

La rápida aparición de tecnologías y el aumento del volumen de la evidencia disponible son hoy una realidad para todos los sistemas de salud. Brindar servicios de salud implica tomar decisiones acerca de qué intervenciones deben ser ofrecidas (e implícita o explícitamente cuáles no), la forma en que se organizará el sistema de salud, quién pagará por estas intervenciones; y también cómo y quiénes deben proveerlas. El desafío es lograr resultados en salud adecuados con los recursos disponibles, habiendo contemplado también los valores sociales, las expectativas y demandas de la población.

Actualmente, una gran cantidad de países se han comprometido a alcanzar la cobertura universal en salud (CUS) para su población, siendo uno de los objetivos priorizados por la Organización Mundial de la Salud (OMS). En el contexto de la CUS, la priorización de intervenciones es una estrategia central, y en los documentos desarrollados por este organismo se considera de fundamental importancia que la misma se realice en base a la mejor evidencia disponible y a través de un proceso deliberativo que tome en cuenta los valores sociales<sup>3 4</sup>. En este contexto, los decisores sanitarios han comenzado a necesitar cada vez más información confiable y detallada que les permita tomar decisiones transparentes y legítimas a la hora de fijar prioridades, para lograr obtener el máximo beneficio con presupuestos limitados. El crecimiento y desarrollo de la ETESA refleja esta demanda de información sólida y transparente que sirva como aval para

---

<sup>2</sup> O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T; International Joint Task Group. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. *Int J Technol Assess Health Care*. 2020 Jun;36(3):187-190.

<sup>3</sup> Terwindt F, Rajan D, Soucat A. Priority-setting for national health policies, strategies and plans. In: Schmetts G, Rajan D, Kadandale S, eds. *Strategizing national health in the 21st century: a handbook*: World Health Organization (WHO); 2015:71

<sup>4</sup> World Health Organization (WHO). *Making fair choices on the path to universal health coverage. Final report of the WHO Consultative Group on Equity and Universal Health Coverage 2014*: [http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/112671/1/9789241507158\\_eng.pdf?ua=1](http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/112671/1/9789241507158_eng.pdf?ua=1). Accessed 11- 3-2016

tomar decisiones sobre el desarrollo, incorporación y difusión de tecnologías sanitarias<sup>5</sup>. Precisamente la ETESA tiene sus orígenes en esta creciente preocupación por la expansión de nuevas y costosas tecnologías sanitarias en los 1970s y las limitaciones de los sistemas de salud para financiar su uso. Como disciplina evolucionó desde los años 70´ para convertirse en una especialidad multidisciplinaria cuyo propósito es unir y sintetizar la evidencia disponible con el fin de ayudar a los decisores sanitarios, profesionales de la salud y pacientes a entender el valor relativo de las tecnologías.

El desarrollo de la ETESA ha sido especialmente notable en los últimos 20 años y constituye hoy un componente indispensable de los sistemas de salud de muchos países. En la región de Latinoamérica y el Caribe (LA) han surgido varias iniciativas. Argentina, Brasil, Colombia, Chile, México y Uruguay cuentan con agencias de ETESA miembros de INAHTA (sigla de la Red Internacional de Agencias de ETESA), y diversos países latinoamericanos aplican actualmente, en diferente medida, la ETESA en la toma de decisiones sobre asignación de recursos. La mayor parte de estas iniciativas de la región están agrupadas en RedETSA, la red de evaluación de tecnologías sanitarias de América Latina (<http://redetsa.org/>), coordinada por la Organización Panamericana de la Salud (OPS).

La ETESA tiene la potencialidad de ser una herramienta de gran utilidad para los tomadores de decisión. Sin embargo, si no se realiza y utiliza de forma adecuada, se corre el riesgo de producir una asignación ineficiente de recursos, dar cobertura a intervenciones de poco o nulo beneficio, impedir o demorar el acceso de pacientes a tecnologías sanitarias útiles, exponer a los pacientes a riesgos innecesarios, y enviar mensajes equivocados a los productores de tecnologías, entre otros<sup>6</sup>. A su vez, la ETESA no es un ejercicio puramente técnico, y el proceso de toma de

decisiones debe tomar en cuenta dimensiones cada vez más amplias. Por estos motivos, dado que las decisiones que se tomarán a través del proceso de ETESA tienen el potencial de afectar a un gran número de personas e instituciones, se han propuesto una serie de principios básicos que la ETESA debería cumplir. Estos principios incluyen aspectos como la transparencia en el procesos de realización de ETESA y la toma de decisión, el involucramiento de actores relevantes, la existencia de mecanismos explícitos para decidir qué tecnologías serán evaluadas, y la existencia de un vínculo claro entre la evaluación y la toma de decisión.<sup>7 8 9</sup>Muchos de estos

---

<sup>5</sup> Gabbay J, Walley T. Introducing new health interventions. *BMJ*. 2006;332(7533):64-65.

<sup>6</sup> Wilsdon T, Serota A. A comparative analysis of the role and impact of health technology assessment. London:UK: Charles River Associates; 2011.[http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/hta\\_final\\_comparison\\_report\\_13\\_may\\_2011\\_stc1.pdf](http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/hta_final_comparison_report_13_may_2011_stc1.pdf)

<sup>7</sup> Daniels N, Sabin J. *Setting limits fairly: learning to share resources for health*. 2nd ed. New York: Oxford University Press; 2008

<sup>8</sup> Drummond MF, Schwartz JS, Jönsson B, Luce BR, Neumann PJ, Siebert U, Sullivan SD. Key principles for the improved conduct of health technology assessments for resource allocation decisions. *Int J Technol Assess Health Care*. 2008. Summer;24(3):244-58; discussion 362-8

<sup>9</sup> Pichon-Riviere A, Augustovski F, Rubinstein A, Martí SG, Sullivan SD, Drummond MF. Health technology assessment for resource allocation decisions: Are key principles relevant for Latin America? *Int J Technol Assess Health Care*. 2010 Oct;26(4):421-7

aspectos fueron tratados en las diferentes ediciones del Foro de Políticas de HTAi para Latinoamérica.<sup>10 11 12 13 14</sup>

## 2. Antecedentes y Objetivos del Foro

El Foro de Políticas de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (del inglés Policy Forum) es una actividad organizada por HTAi (de su sigle en inglés Health Technology Assessment International). Se creó en el año 2004 con el objetivo de proporcionar un espacio neutral para llevar a cabo discusiones de carácter estratégico sobre el estado presente de la ETESA, su desarrollo, y sus implicancias para los sistemas de salud, la industria, los pacientes y otras partes interesadas. El mismo convoca a representantes de tres grupos principales de instituciones: 1) tomadores de decisión sobre la cobertura y reembolso/precios de medicamentos y dispositivos en los sistemas de salud; 2) organismos que realizan ETESA en apoyo de estas decisiones; y 3) empresas biomédicas productoras de tecnologías. Se realiza desde hace 17 años con foco en Europa y EE.UU; y desde hace 10 años, en Asia. En el año 2016 comenzó a realizarse también en Latinoamérica, siendo este el séptimo Foro que se realizará en la región. El enfoque, la agenda y los detalles logísticos fueron desarrollados por un Comité Organizador compuesto por el presidente del Foro y representantes de las instituciones participantes (tres representantes del ámbito público y tres representantes del ámbito de empresas productoras de tecnología). El Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria de Argentina (IECS – [www.iecs.org.ar](http://www.iecs.org.ar)) actuó como la Secretaría Científica.

El proceso de selección del tópico de este octavo Foro comenzó durante el séptimo Foro e incluyó los siguientes pasos:

1. Se procedió a la elaboración de un listado de temas potencialmente relevantes a partir de las propuestas/temas sugeridos por parte de los miembros del Foro Latinoamericano y se realizó una votación durante el cierre del Foro 2022 para identificar los tópicos más prioritarios para el 2023.

---

<sup>10</sup> Pichon-Riviere A, Soto NC, Augustovski FA, García Martí S, Sampietro-Colom L. Health technology assessment for decision making in Latin America: good practice principles. *Int J Technol Assess Health Care*, 34:3 (2018), 1-7

<sup>11</sup> Pichon-Riviere A, Soto NC, Augustovski FA, Sampietro-Colom L. Stakeholder involvement in health technology assessment process in Latin America. *Int J Technol Assess Health Care*, 34:3 (2018), 1-6

<sup>13</sup> Pichon-Riviere A, García-Martí S, Oortwijn W, Augustovski F, Sampietro-Colom L (2019). Defining the Value of Health Technologies in Latin America: Developments in Value Frameworks to Inform the Allocation of Healthcare Resources. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 35, 64–68

<sup>12</sup> Pichon-Riviere A, Augustovski F, García Martí S, Alfie V, Sampietro-Colom L (2020). The link between health technology assessment and decision making for the allocation of health resources in Latin America. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 36, 173–178

<sup>13</sup> Pichon-Riviere A, Augustovski F, García Martí S, Alcaraz A, Alfie V, Sampietro-Colom L (2021). Identification and selection of health technologies for assessment by agencies in support of reimbursement decisions in Latin America. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 1–8

<sup>14</sup> Alcaraz A, Pichon-Riviere A, García-Martí S, Alfie V, Augustovski F, Castro H. Deliberative processes in decision making informed by health technology assessment in Latin America. *Int J Technol Assess Health Care*. 2022 Dec 16;38(1):e86.

2. Envío de dicho listado a los miembros del Comité Organizador para sus comentarios/sugerencias.
3. Selección del tópico final a través de un proceso deliberativo en el Comité Organizador

En base a este proceso, el tópico seleccionado para este séptimo foro fue “Cómo los nuevos Esquemas de Acceso a Tecnologías, incluyendo los Acuerdos de Riesgo Compartido, pueden contribuir en las decisiones de cobertura”. Esta octava edición del Policy Forum Latinoamericano se concatena con los siete anteriores: Policy Forum 2016: El primero de los Policy Forum de LA se realizó en Costa Rica. En este encuentro se discutió sobre los “Principios de buenas prácticas en la aplicación de la Evaluación de Tecnología Sanitaria en la toma de decisiones en Latinoamérica”. Como resultado del mismo los principios priorizados como más relevantes para promover la aplicación de ETESA en LA fueron:

- Transparencia en procesos de realización de ETESA y de comunicación de sus resultados
- Involucramiento de los actores relevantes en el proceso de ETESA
- Existencia de mecanismos de apelación
- Existencia de mecanismos claros para el establecimiento de prioridades en ETESA
- Existencia de un vínculo claro entre la evaluación y la toma de decisión

Policy Forum 2017: Este segundo Policy Forum, llevado a cabo en Lima, tuvo como tema central la incorporación de distintos actores en el proceso de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, un aspecto que había sido identificado como prioritario durante el primer Policy Forum.

Policy Forum 2018: Se realizó en Montevideo en 2018 y discutió sobre marcos de valor en ETESA.

Policy Forum 2019: Se realizó en Buenos Aires y tuvo como eje la relación entre la ETESA y la toma de decisiones.

Policy Forum 2020: Fue realizado en forma on-line y discutió los mecanismos utilizados por las agencias de ETESA para priorizar las evaluaciones a realizar.

Policy Forum 2021: También realizado en forma on-line, discutió el rol de los procesos deliberativos en la ETESA

Policy Forum 2022: Se realizó en Brasilia y tuvo como objetivo conversar sobre la utilización de Evidencia de Vida Real en los procesos de ETESA

(Todos los resultados de las discusiones mantenidas durante estos cinco Policy Forum están disponibles en una serie de publicaciones: Pichon-Riviere et al 2018-2022)

Los objetivos principales de este séptimo Foro de Políticas en Evaluación de Tecnología Sanitaria en Latinoamérica serán:

Explorar el estado actual de la utilización de EAT/ARC en los procesos de ETESA en Latinoamérica

Explorar las utilidades/limitaciones/barreras/riesgos y las oportunidades para la implementación de AET/ARC en la Región

Discutir e identificar los principales aspectos contextuales que deberían tenerse en cuenta en la región al momento de implementar EAT/ARC, así como principios de buenas prácticas para llevarlos adelante

Discutir la potencial aplicabilidad de diferentes modelos utilizados en el mundo a los sistemas de salud de Latino América, y generar una serie de recomendaciones para guiar la implementación de EAT/ARC en la incorporación de ETESA en América Latina.

El objetivo de este documento base es proveer información que sirva de punto de partida para las discusiones que se desarrollarán en el foro de políticas HTAi de Latinoamérica 2023 que se llevará a cabo en forma presencial los días 14 y 15 de agosto, en la ciudad de Santiago, Chile. La información proviene de una búsqueda bibliográfica enfocada en EAT/ARC y ETESA y de la revisión de los sitios web de agencias y sistemas de salud.

### 3. Sección Esquemas De Acceso A Tecnologías Sanitarias

#### *a. Definición y Taxonomía*

Existen distintas modalidades de EAT y no hay una clasificación estándar que englobe todos los tipos de acuerdos. Sin embargo, se pueden identificar dos categorías principales: acuerdos basados en resultados financieros y acuerdos basados en resultados en salud<sup>15</sup>. Ambos tipos tienen el objetivo de compartir los riesgos entre el financiador y el proveedor asociados a la incorporación de tecnologías cuando existe incertidumbre. Sin embargo, abordan diferentes tipos de incertidumbres. Los acuerdos financieros se centran en reducir la incertidumbre relacionada con el impacto presupuestario de adquirir nuevas tecnologías sanitarias, mientras que los acuerdos basados en resultados en salud buscan reducir la incertidumbre en cuanto a la efectividad y relación coste-efectividad de estas innovaciones.<sup>16</sup>

Los **acuerdos basados en resultados financieros (AF)** tienen como objetivo gestionar la incertidumbre en torno al impacto presupuestario de una nueva tecnología. Los acuerdos financieros no están vinculados a resultados clínicos y no requieren el análisis de datos relacionados a resultados de salud. Son acuerdos contractuales que pueden establecer el precio, descuentos o niveles de reembolso y otros términos y condiciones asociados con la adquisición y/o utilización de una tecnología sanitaria.

---

<sup>15</sup> Carlson, J. et al. (2010), "Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of Health Policy, Vol. 96/3, pp. 179-190, <http://dx.doi.org/10.1016/j.healthpol.2010.02.005>.

<sup>16</sup> Wenzl, M. and S. Chapman (2019), "Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward", OECD Health Working Papers, No. 115, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/6e5e4c0f-en>.



Los **acuerdos basados en resultados clínicos (ABRC)** constituyen un acuerdo entre un pagador y un productor que establece precios, descuentos o niveles de reembolso para un producto en función del logro de objetivos predefinidos sobre resultados clínicos. Requieren el análisis y seguimiento de resultados clínicos en aquellos pacientes involucrados en el acuerdo. Tienen también un objetivo financiero, pero este está relacionado a resultados clínicos específicamente.

Se pueden observar en la Tabla 1 los distintos tipos de acuerdo agrupados en relación a su taxonomía.

#### **TABLA 1**

##### **ACUERDOS BASADOS EN ASPECTOS FINANCIEROS**

Descuentos

Acuerdos de precio/volumen

Acuerdos de límite presupuestario (Budget Capping)

Acuerdos por límite de utilización (Utilization Capping)

Acuerdos por suscripción

##### **ACUERDOS BASADOS EN RESULTADOS CLÍNICOS**

Acuerdos de reembolso vinculados al desempeño clínico de la tecnología

Acuerdos de cobertura con generación de evidencia

#### ***Acuerdos financieros***

A continuación, se describen cuatro tipos de acuerdos financieros comúnmente utilizados:

***Descuentos:*** Es el tipo de acuerdo más simple y habitual, implica proporcionar un descuento en el precio del medicamento o tecnología sanitaria en función de diferentes factores. Por ejemplo, puede haber un descuento por volumen de compra o por la duración del contrato. Este tipo de acuerdo es beneficioso para ambas partes, ya que el comprador obtiene el producto a un precio más bajo y el proveedor asegura un volumen de ventas. Cabe destacar que este tipo de acuerdo no corresponde a lo que genéricamente se denomina riesgo compartido. Si bien podría argumentarse que un descuento podría ser equivalente a una porción de riesgo asumido por el productor, debido a que esta se hace en términos de certeza, no constituye una distribución de riesgo en sí misma. La redistribución de riesgos opera sobre un precio exógeno donde previamente operó un descuento.

***Acuerdos de precio/volumen:*** Este tipo de acuerdo se basa en establecer diferentes precios para el medicamento o producto sanitario en función del volumen de ventas. Por ejemplo, el precio por unidad puede ser menor si se venden más de cierto número de unidades. Este acuerdo es beneficioso para el proveedor, ya que tiene un incentivo para aumentar las ventas del

producto, y para el comprador, ya que puede obtener un precio más bajo si se alcanzan ciertos niveles de venta.

**Acuerdos por límite presupuestario (Budget capping):** Este tipo de acuerdo se refiere a un límite de gasto preestablecido para un determinado medicamento o producto sanitario. El objetivo de este acuerdo es garantizar que el presupuesto asignado a una tecnología no supere un determinado nivel, lo que puede ayudar a controlar los costos del sistema sanitario. En ocasiones este tipo de acuerdos también suele llamarse modelos por suscripción (modelo Netflix), dado que el productor provee la cantidad de tratamientos que se requieran por un monto fijo de dinero.

**Acuerdos por límite de utilización (Utilization capping):** Este tipo de acuerdo implica establecer un límite en el número de pacientes o dosis por paciente que pueden recibir un medicamento o tecnología sanitaria. El objetivo de este tipo de acuerdo es controlar el uso de la tecnología para asegurarse de que se utilice solo en pacientes que se beneficien de él y que estén dentro de su indicación aprobada.

En resumen, los acuerdos financieros son herramientas útiles para controlar los costos y promover el acceso a las tecnologías sanitarias. Los cuatro tipos de acuerdos financieros descritos anteriormente se utilizan comúnmente en la práctica clínica para controlar el gasto, y son relativamente mucho más sencillos de implementar en relación a los basados en resultados clínicos.

### **Acuerdos de riesgo basados en resultados clínicos**

Se puede clasificar los acuerdos de riesgo compartido en:

**A. Acuerdos de reembolso vinculados al desempeño:** en estos acuerdos, el reembolso del medicamento o tecnología está vinculado a su efectividad en el mundo real, lo que significa que se establecen ciertos criterios de éxito que deben cumplirse para que se produzca el reembolso completo o parcial. El objetivo es evaluar el valor real de la tecnología en un entorno de atención médica efectiva. Este tipo de acuerdo puede ser beneficioso tanto para el pagador como para el fabricante, ya que el pagador sólo paga por los medicamentos que funcionan, mientras que el productor recibe una mayor certeza financiera.

Hay diferentes variantes de los mismos. Pueden estar **basados en el proceso de cuidado**, estando el pago relacionado con el proceso de atención, por lo que el reembolso se especifica de antemano para depender del proceso de toma de decisiones clínicas, por ejemplo, el cumplimiento de las directrices clínicas por parte de un proveedor o la selección de pacientes individuales sobre la base de un biomarcador, como una prueba genética.

En otras ocasiones se generan **acuerdos basados en outcomes o desenlaces** en los que el reembolso se produce a posteriori, midiendo puntos finales intermedios o clínicos. Estos resultados pueden incluir medidas de eficacia, seguridad y/o costo-efectividad. Se genera una "garantía de resultados", por ejemplo, el fabricante puede comprometerse a proporcionar un reembolso parcial o total si el medicamento o tecnología no funciona como se esperaba. En otras

ocasiones se negocia la "continuación condicionada del tratamiento", es decir, el pago por el uso continuado del medicamento se realiza en función de los resultados que van obteniendo los pacientes.

En cuanto al relevamiento de **puntos finales clínicos** pueden realizarse **acuerdos de riesgo compartido por pacientes**, que se enfoca en la participación activa del paciente en el manejo de su enfermedad y el monitoreo de su respuesta al tratamiento. El acuerdo puede incluir incentivos para que el paciente cumpla con el régimen de tratamiento y para reportar los resultados a los proveedores de atención médica. El acuerdo puede incluir también un reembolso parcial o total en caso de que el paciente no responda adecuadamente al tratamiento. Por otra parte los **acuerdo de riesgo compartido por proveedores de atención médica**, involucra a los proveedores de atención médica en el riesgo financiero del tratamiento. El fabricante acuerda proporcionar el medicamento a un precio reducido o con un reembolso parcial, y los proveedores de atención médica se comprometen a monitorear y reportar los resultados del tratamiento. Si los resultados no son los esperados, el fabricante proporciona un reembolso adicional.

**B. Acuerdos de cobertura con generación evidencia (CED):** en estos acuerdos -los de mayor complejidad de implementación- se busca proporcionar cobertura a un nuevo medicamento o tecnología médica mientras se desarrollan estudios clínicos adicionales para confirmar su efectividad y seguridad. El objetivo es permitir el acceso a la tecnología en cuestión a los pacientes que lo necesitan mientras se recopilan datos adicionales. Vinculan el pago o el reembolso a nivel de población con la recolección de datos prospectiva de pacientes individuales. El acuerdo puede afectar a todos los pacientes candidatos a recibir la tecnología (llamados acuerdos sólo con investigación) o sólo a aquellos pacientes que sean incluidos voluntariamente en un ensayo clínico (denominados acuerdo sólo en investigación).

En estos acuerdos se establece la cobertura del medicamento o tecnología a ciertos pacientes en base a ciertas condiciones. Por ejemplo, la cobertura puede estar limitada a pacientes con ciertas características o en determinadas etapas de la enfermedad. La cobertura se revisa regularmente y puede modificarse según los resultados de los ensayos clínicos adicionales.

A continuación, se señalan algunos ejemplos de los distintos tipos de acuerdo<sup>17</sup>

### **Acuerdos basados en resultados financieros**

- **Acuerdos por límite presupuestario**

*Antivirales para Hepatitis C en Australia (desde 2015). El gobierno destinó un presupuesto anual para ser utilizado en estas drogas por encima del cual el productor de la tecnología reembolsaba la totalidad del costo por encima del mismo.*

- **Acuerdos por límite de utilización**

*Lenalidomida para el tratamiento de síndromes mielodisplásicos en UK. El gobierno paga hasta 26 ciclos del tratamiento, en aquellos pacientes que requieran más de 26 ciclos, los mismos son provistos por el productor de la tecnología sin costo.*

---

<sup>17</sup> Wenzl, M. and S. Chapman (2019), "Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward", OECD Health Working Papers, No. 115, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/6e5e4c0f-en>.

## **Acuerdos basados en resultados clínicos**

- Acuerdos de Reembolso vinculado a resultados (pago por resultados)  
*Alfaglicosidada Alfa para Enfermedad de Pompe de desarrollo tardío en Estonia. El pago sólo se realiza ante aquellos pacientes con un resultado positivo confirmado por un panel de 4 médicos especialistas.*
- Acuerdos de cobertura con generación de evidencia  
*Axicabtagene ciloleucl (Yescarta®) para el linfoma de células B en Inglaterra. El medicamento es cubierto por el Fondo de Drogas para el Cáncer (CDF) bajo la condición de generar más evidencia en torno a las estimaciones de supervivencia. La evidencia incluye un ensayo de fase II y la creación de un registro de cáncer. Al final del acuerdo, se vuelve a evaluar el medicamento y, si hay evidencia insuficiente o se considera que el medicamento no es clínicamente o económicamente efectivo, el medicamento puede ser eliminado del CDF y ya no estará disponible en el Servicio Nacional de Salud. En este caso, los pacientes seguirán recibiendo el medicamento que deberá ser pagado por el productor hasta que el médico prescriptor considere apropiado discontinuarlo.*

### ***b. Diferencias entre acuerdos financieros y acuerdo de riesgo compartido***

#### **¿Cuándo elegir un acuerdo financiero o uno basado en resultados clínicos?**

La principal diferencia entre los acuerdos financieros y los basados en el desempeño radica en su enfoque. Los acuerdos financieros se centran en compartir la incertidumbre en relación al riesgo financiero y la forma en que se pagará un tratamiento permitiendo a los sistemas de salud precisar mejor los presupuestos sanitarios, mientras que los acuerdos basados en el desempeño se centran en la efectividad clínica del tratamiento y cómo se puede mejorar la calidad de la atención al paciente.

Los acuerdos basados en resultados financieros son más fáciles de implementar que los acuerdos basados en resultados clínicos ya que requieren recolectar menor cantidad de datos y en general presentan menores dificultades para su monitoreo.

La elección entre un acuerdo de riesgo basado en resultados clínicos o un acuerdo financiero dependerá del objetivo específico que se quiera alcanzar, de la incertidumbre en relación a la información clínica y del costo de la tecnología.

Los acuerdos de riesgo basados en resultados clínicos se utilizan cuando los resultados clínicos o de salud no están claros o son inciertos, y se busca compartir el riesgo entre el fabricante y el pagador. Estos acuerdos se utilizan generalmente para productos nuevos o innovadores, o en situaciones en las que los resultados son impredecibles.

Por otro lado, los acuerdos financieros se utilizan para lograr objetivos específicos de ahorro o de gestión de costos. Suelen aplicarse a productos que ya tienen un historial de resultados clínicos y de salud conocidos.

La elección entre un acuerdo de riesgo basado en resultados clínicos y un acuerdo financiero dependerá de los objetivos específicos que se quieran alcanzar, así como de la naturaleza y el historial del medicamento o tratamiento en cuestión.

### **3.3 Descripción de su uso en los últimos años**

Castro et al. publicaron en 2019 una revisión de la literatura sobre Esquemas de Acceso a Tecnologías<sup>18</sup>. Del total de acuerdos encontrados (n=285), el 95% de ellos habían sido realizados en países de altos ingresos (23 países europeos, 6 países asiáticos, 2 países en América del Norte, 2 en Oceanía y 1 en África). Los esquemas financieros eran más frecuentes que los basados en resultados clínicos (50,2% vs 44,9% respectivamente). Los acuerdos financieros fueron los más comunes en todo el mundo, mientras que los basados en desenlaces fueron más frecuentes en Norteamérica. Esto es coincidente con otros documentos que relevaron los distintos tipos de acuerdos realizados, donde en general son más frecuentes los acuerdos financieros que los basados en resultados clínicos.<sup>19 20</sup>

En cuanto a acuerdos de tipo financiero, un ejemplo es el Instituto Nacional de Excelencia en Salud y Atención (NICE) del Reino Unido que negocia con los productores para lograr niveles aceptables de costo-efectividad en los fármacos para los que brinda cobertura<sup>21 22</sup>. El rango del índice de costo-efectividad incremental (ICER) que generalmente se considera aceptable por NICE es de £20,000-30,000 por año de vida ajustado por calidad (QALY) ganado y hasta £51,000/QALY ganado para los tratamientos de fin de vida. Un rango mucho más alto de ICER de £100,000-£300,000 se introdujo en 2017 para los medicamentos ultra huérfanos evaluados bajo la vía de tecnologías altamente especializadas (de su sigla en inglés Highly Specialized Treatments). NICE cuenta con Esquemas de Acceso al Paciente (de su sigla en inglés Patient Access Schemes) que en su mayoría constan de descuentos simples o de acuerdos comerciales basados en desempeño o en la generación de evidencia. El rango de descuentos negociados con NICE suele ser de entre el 30% y el 60%, siendo la mayoría de los descuentos dentro del

---

<sup>18</sup> Castro, Hector & Malpica-Llanos, Tanya & Musila, Ruth & Konduri, Niranjan & Amaris, Ana & Sullivan, Jennifer & Gilmartin, Colin. (2019). Sharing knowledge for policy action in low- and middle-income countries: A literature review of managed entry agreements. *Medicine Access Point of Care*. 3. 239920261983424. 10.1177/2399202619834246.

<sup>19</sup> Ferrario, A. and P. Kanavos (2013), *Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience*, EMINet, Brussels.

<sup>20</sup> Wenzl, M. and S. Chapman (2019), "Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward", *OECD Health Working Papers*, No. 115, OECD Publishing, Paris,

<sup>21</sup> Toumi, M., & Jaroslawski, S. (2022). *Managed Entry Agreements and Funding for Expensive Therapies*. CRC Press.

<sup>22</sup> *Managed Access: Our Programmes*. <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/managed-access>

rango del 45% al 50%. La falta de costo-efectividad probada debido a la incertidumbre de los datos clínicos o de otro tipo para el análisis económico, así como la incertidumbre relacionada con la eficacia relativa y la necesidad de recopilar más evidencia sobre los resultados a largo plazo y los efectos adversos del tratamiento son razones comunes para que NICE firme este tipo de acuerdos. Los medicamentos de terapia celular y génica (HST) tienen acuerdos basados en la financiación y la evaluación clínica, ya que la costo-efectividad siempre es incierta debido a las limitaciones de datos en las enfermedades raras. Además de las negociaciones del Fondo de Drogas para el Cáncer (de su sigla en inglés Cancer Drugs Fund), el NHS de Inglaterra también está involucrado en discusiones de descuentos confidenciales con los fabricantes que conducen a un mayor ahorro en los costos.

Un ejemplo de acuerdo basado en resultados, fue el implementado por NICE en relación a los medicamentos para Hepatitis C (Glecaprevir/Pibrentasvir Maviret® y Sofosbuvir Sovaldi®)<sup>23</sup>. Debido a su alto costo, los medicamentos antivirales de acción directa habían sido racionados por el NHS Inglaterra solo para pacientes seleccionados, a pesar de una recomendación positiva de NICE. Para manejar la presión pública y mejorar el acceso de los pacientes, el NHS Inglaterra firmó un acuerdo basado en resultados clínicos con los fabricantes en 2017. Bajo este acuerdo, el NHS sería reembolsado por los fabricantes el costo de los tratamientos de aquellos pacientes que habiendo completado su tratamiento no hubieran logrado una cura (respuesta virológica sostenida). Los pacientes fueron seguidos en un registro de hepatitis C para monitorear la adopción del tratamiento y los resultados y de esta manera poder calcular el reembolso.

Otro ejemplo fue el realizado también por NICE en relación a Spinraza® (Nusinersen) en Atrofia Muscular Espinal (AME) donde se planteó un acuerdo con desarrollo de evidencia. En 2019, el NICE planteó varias preocupaciones en la evaluación de Spinraza, relacionadas con la recopilación de datos clínicos y de utilización de recursos<sup>24</sup>. Se firmó un acuerdo de cobertura con desarrollo de evidencia (de su sigla en inglés Coverage with Evidence Development) con el fabricante por cinco años, con un mínimo de tres años de recopilación de datos. Se acordó la realización final del reembolso al quinto año del esquema de CED. Se recopilaban varios puntos finales para el acuerdo de CED de distintas fuentes: estudios en curso, algunos registros como el SMA REACH UK, el sistema NHS Blueteq utilizado en UK para medicamentos de alto costo y las medidas de resultados reportados por los pacientes que se estaban desarrollando. Los datos se analizaron dos veces al año de acuerdo con un plan desarrollado por el fabricante. Los costos de recopilación y análisis de datos fueron sufragados por el fabricante. Este esquema está aún en curso.

### ***3.4 Evaluación de su utilidad potencial***

---

<sup>23</sup> 25,000 Hepatitis C patients receive new treatment. <https://www.england.nhs.uk/blog/25000-hepatitis-c-patients-receive-new-treatments/>

<sup>24</sup> Facey KM, Espin J, Kent E, Link A, Nicod E, O'Leary A, Xoxi E, van de Vijver I, Zaremba A, Benisheva T, Vagoras A, Upadhyaya S. Implementing Outcomes-Based Managed Entry Agreements for Rare Disease Treatments: Nusinersen and Tisagenlecleucel. *Pharmacoeconomics*. 2021 Sep;39(9):1021-1044

Los EATs pueden mejorar la disponibilidad de medicamentos al aumentar la probabilidad de su incorporación cuando existe incertidumbre relacionada a eficacia o costo-efectividad. También podrían en ocasiones aumentar el tiempo para tomar una decisión final de financiamiento si los mismos se hicieran muy complejos o costosos.

Efthymiadou y cols <sup>25</sup>publicaron en 2022 un estudio en el que evaluaron el papel de los EATs en el mejoramiento de la disponibilidad y el acceso oportuno a una muestra de medicamentos oncológicos que habían recibido al menos un rechazo a la solicitud de incorporación. Estudiaron las decisiones de financiación para todos los medicamentos oncológicos aprobados entre 2009 y 2018 en Australia, Inglaterra, Escocia y Suecia. De las 59 combinaciones tecnología-indicación previamente rechazadas estudiadas, el 88,2% (n=45) recibió una decisión favorable después de la nueva presentación incluyendo una propuesta de EAT, frente al 11,8% (n=6) que no proponían un acuerdo. El tiempo promedio desde la presentación original hasta la decisión final de financiamiento fue de 404 ( $\pm$  254) y 452 ( $\pm$  364) días para las presentaciones sin y con EATs, respectivamente. Las nuevas presentaciones que incluyeron un EAT tuvieron una mayor probabilidad de recibir una decisión favorable de financiamiento en comparación con las que no lo presentaban. El tiempo hasta la decisión final de financiamiento fue mayor en aquellos acuerdos basados en resultados clínicos, que cuando se utilizaron desenlaces duros en vez de subrogantes.

### **Barreras y Facilitadores**

En general, los EATs parecen tener más probabilidades de tener éxito si son simples, están respaldados por datos clínicos sólidos y son fácilmente monitoreables. Se encontró que otros factores que parecían facilitar la implementación exitosa y el diseño efectivo de los mismos incluían la existencia de un marco legal que respaldara la inscripción de los pacientes y contratos claros con definiciones precisas. A su vez, se mencionan como aspectos relevantes para facilitar su adopción la evaluación del desempeño vinculada a métricas objetivas claras, medibles y realistas.

Algunos tipos de acuerdos parecen ser más aceptados culturalmente que otros. Por ejemplo, los acuerdos basados en el rendimiento (esquemas adoptados frecuentemente en los Estados Unidos) se utilizan a menudo para medicamentos innovadores y costosos para tratar afecciones con una gran necesidad clínica insatisfecha como en enfermedades huérfanas. En países donde no se aplica el control de precios de nuevos medicamentos, como es el caso de los Estados Unidos, los acuerdos basados en el rendimiento o la cobertura con el desarrollo de evidencia pueden ser más factibles que los descuentos financieros. El nivel de confianza entre los pagadores y las compañías farmacéuticas y la disposición a la negociación también fueron encontrados como factores que podrían facilitar o dificultar la implementación de este tipo de acuerdos.

---

<sup>25</sup> Efthymiadou, O., Kanavos, P. Impact of Managed Entry Agreements on availability of and timely access to medicines: an ex-post evaluation of agreements implemented for oncology therapies in four countries. *BMC Health Serv Res* 22, 1066 (2022).

Más allá de las ventajas potenciales de los EATs, hay autores que sugieren que su implementación a menudo se caracteriza como una actividad laboriosa y que requiere muchos recursos, siendo esto más pertinente en los acuerdos basados en resultados clínicos o con desarrollo de evidencia<sup>26 27</sup>. Los acuerdos bien implementados requieren servicios que puedan satisfacer los requisitos operativos, administrativos y financieros de los mismos y sistemas de datos adecuados y confiables capaces de monitorearlos.

Asimismo, los aspectos relacionados con la calidad de los datos y la evidencia también fueron reportados en la literatura como una potencial barrera. Debe considerarse la necesidad de datos de calidad sobre precios y evidencia del mundo real sobre los resultados clínicos en la implementación adecuada de este tipo de acuerdos.

Por último, se identificaron en la revisión de la literatura diversos problemas relacionados con la transparencia de precios, la confidencialidad de los acuerdos, la regulación de la competencia, así como la información sobre los descuentos y reembolsos, como factores contextuales importantes que pueden dificultar la implementación de los mismos. Otros estudios mencionan varios problemas relacionados con la confidencialidad de los acuerdos, como la dificultad de analizar las tendencias y el impacto de los programas y utilizarlos para informar decisiones futuras.

### **3.5 Posibilidades de uso futuro**

Identificación de buenas prácticas y recomendaciones para la implementación de Esquemas de Acceso a Tecnologías o Acuerdos de Riesgo Compartido.<sup>28</sup>

Entre algunas de las potenciales utilidades que podrían tener los EATs en la región, se pueden mencionar los siguientes:

**Ampliación de la cobertura:** ampliar la cobertura de tratamientos innovadores y de alto costo que actualmente no están disponibles para todos los pacientes. Al compartir los riesgos financieros, los pagadores podrían estar más dispuestos a cubrir estos tratamientos, lo que permitiría un mayor acceso para aquellos que lo necesiten.

**Adaptación a la realidad local:** Los EATs podrían adaptarse a las necesidades y condiciones específicas de cada país o región. Esto implicaría tener en cuenta factores como la prevalencia de la enfermedad, los recursos disponibles y las prioridades de salud pública. Al personalizar los acuerdos, se podría garantizar una distribución más equitativa de los recursos y un acceso más justo a los tratamientos.

---

<sup>26</sup> Ferrario, A. et al. (2017), "The Implementation of Managed Entry Agreements in Central and Eastern Europe: Findings and Implications", *PharmacoEconomics*, Vol. 35/12, pp. 1271-1285.

<sup>27</sup> Health Care Financing and Affordability in the Emerging Global Markets. Jakovljevic; Souliotis; Groot. Frontiers Media SA. 2016

<sup>28</sup> Garrison, L. et al. (2013), "Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force", *Value in Health*, Vol. 16/5, pp. 703-719, <http://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011>.



Participación de múltiples partes interesadas: En el futuro, los EATs podrían involucrar a un mayor número de partes interesadas, como organizaciones de pacientes, expertos en salud pública y sociedades médicas. Esto permitiría una mayor transparencia, representación y participación en la toma de decisiones, lo que podría conducir a acuerdos más equitativos y eficientes.

Implementación de estrategias de monitoreo y evaluación: Para asegurar el éxito de los EATs, es crucial contar con mecanismos sólidos de monitoreo y evaluación. En el futuro, se podrían implementar estrategias más robustas para medir los resultados de los acuerdos, evaluar su impacto en el acceso a los tratamientos y realizar ajustes en función de los aprendizajes obtenidos.

Cabe destacar que los acuerdos basados en resultados clínicos requieren un uso intensivo de recursos para la cobertura de tecnologías sanitarias y, al hacer que los mecanismos financieros sean más complejos y dependientes de resultados sanitarios, pueden desviar la atención de las negociaciones de precios y del impacto financiero final de las tecnologías sanitarias. Por lo tanto, es útil que los pagadores formulen una estrategia general o una política y directrices claras para determinar cuándo se debe utilizar un acuerdo basado en resultados clínicos. Dicha estrategia puede situar el papel de estos acuerdos en el proceso general de toma de decisiones sobre la cobertura y puede definir un marco de gobernanza y requisitos de transparencia.

Los compromisos que se dan en el marco de los esquemas de acceso a tecnologías, con sus cláusulas de confidencialidad y la necesidad del registro prospectivo de datos durante determinado lapso de tiempo puede dificultar la competencia y la participación en el mercado de productos que ingresan posteriormente. Es por esto que cuando existan datos que sugieran que la competencia de los próximos productos es inminente, esto deberá tenerse en cuenta al decidir si un acuerdo es apropiado y, de ser así, cómo se debe diseñar para que los compromisos bajo el acuerdo no inhiban la competencia de nuevos productos futuros.

Un marco de valor apropiado es una herramienta para facilitar la toma de decisiones transparente que los pagadores pueden utilizar para guiar sus decisiones sobre si adoptar o no un acuerdo de entrada basado en resultados clínicos. Este marco debería comparar el valor de la información incremental generada sobre el rendimiento del producto con el costo incremental de negociar y ejecutar el acuerdo. Un posible marco ha sido sugerido, por ejemplo, por la Unidad de Apoyo a la Toma de Decisiones del Instituto Nacional de Excelencia en Salud y Atención del Reino Unido (NICE).<sup>29</sup> Trabajos anteriores de Hutton, Trueman y Henshall (2007) y Garrison et al. (2013) también sugirieron enfoques para determinar cuándo son adecuados los acuerdos basados en resultados clínicos<sup>29 30</sup>.

---

<sup>29</sup> Hutton J, Trueman P, Henshall C. Coverage with evidence development: an examination of conceptual and policy issues. *Int J Technol Assess Health Care*. 2007 Fall;23(4):425-32.

<sup>30</sup> Garrison, L. et al. (2013), "Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force", *Value in Health*, Vol. 16/5, pp. 703-719, <http://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011>.

## 4. Sección Experiencias Regionales

### **Estrategia Acceso a Terapia Génica (onasemnogén abeparvovec (ZOLGENSMA®) Atrofia Muscular Espinal (AME): Experiencia Argentina**

Natalia Soledad Messina - Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio, Ministerio de Salud, Argentina

#### *Antecedentes*

La atrofia muscular espinal (AME) es una afección neuromuscular hereditaria que afecta las células nerviosas (neuronas motoras) en un área de la médula espinal llamada cuerno anterior. Sin tratamiento es una enfermedad que lleva a la muerte y genera gran discapacidad. Se han definido 4 subtipos en función de la edad de aparición y de la gravedad de la enfermedad. La forma AME Tipo I es la más común y grave (58%) y los síntomas son de inicio infantil, estimándose una prevalencia de 1/30.000 aproximadamente. Dada dicha prevalencia, la patología queda enmarcada en la Ley Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes N° 26.689. En la Argentina, en el año 2019 ANMAT aprueba bajo condiciones especiales por el término de 1 año el medicamento nusinersen (Spinraza®) para ser utilizado en esta patología, la que es renovada por igual término excluyéndose de tal aprobación el AME tipo 3.

En un escenario de creciente judicialización y sin respuesta por parte del Estado a los pacientes sin cobertura de salud, el Ministerio de Salud de la Nación en enero del año 2021 ingresa al Programa de Tutelaje el medicamento Spinraza®<sup>31</sup> dando así cobertura a este grupo de personas, definiendo criterios de inclusión y exclusión para acceder al mismo, los que deberán ser previamente evaluados por la Comisión Nacional de Atrofia Muscular Espinal conocida como CONAME.

Encontrándose la Argentina en pleno proceso de abordaje y cobertura conforme lo descrito del medicamento nusinersen, las agencias regulatorias FDA y EMA, aprueban la primera terapia génica para tratar la Atrofia Muscular Espinal causando un importante impacto en los sistemas de salud del mundo dado que su lanzamiento en el mercado fue con un precio de 2.1 millones de dólares. Consecuentemente, en el mes de febrero de 2021 la ANMAT mediante Disposición N° 484/2021 aprueba y otorga registro por 5 años, a la primera terapia génica recombinante onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) que utiliza un virus adenoasociado (VAA9) no replicativo para entregar una copia del gen SMN1 que codifica la proteína SMN humana. La administración intravenosa única de Zolgensma® da como resultado la transducción celular y la expresión de la proteína SMN en humanos bajo otro mecanismo de acción.

Cabe destacar que la terapia había sido aprobada por FDA en mayo de 2019, para el tratamiento de pacientes pediátricos menores a 2 años con AME, con mutaciones bialélicas en el gen de la neurona motora de supervivencia 1 (SMN 1).<sup>32</sup>

---

<sup>31</sup> Disposición 2/2021 incorporando nusinersen como tecnología tutelada publicada en el B.O. <https://www.argentina.gob.ar/normativa/nacional/disposici%C3%B3n-2-2021-346519/texto>

<sup>32</sup> FDA Zolgensma <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/zolgensma> acceso 25/06/2023.

Por su parte, en Europa recibió una autorización condicional de comercialización válida en toda la UE el 18 de mayo de 2020. Esta autorización pasó a ser una autorización de comercialización completa el 17 de mayo de 2022.<sup>33</sup>

Desde el momento previo a su aprobación por parte de ANMAT, los equipos técnicos del Ministerio de Salud de la Nación comenzaron a analizar la evidencia disponible, facilitándose por parte del laboratorio productor información acerca de los ensayos clínicos publicados.

A la par, se trabajó conjuntamente con la CONAME<sup>34</sup> y la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías de Salud (CONETEC) para la elaboración y publicación de un informe de evaluación de tecnología, publicado en enero de 2021 y actualizado en agosto del mismo año<sup>35</sup>, lo que permitió a la autoridad sanitaria sentar las bases para comenzar a conversar acerca de un posible acuerdo de riesgo compartido.

Es importante destacar que durante el transcurso de este abordaje, se ha registrado un importante aumento de la judicialización para el acceso a este tratamiento, aún en pacientes que no resultaban candidatos a esta tecnología, con gran repercusión en los medios de comunicación y redes sociales. En el año 2021 se registraron 9 amparos iniciados con el objeto de obtener la terapia génica; siendo 12 las acciones iniciadas en el año 2022. El medicamento debió ser adquirido en muchos de esos casos por orden judicial, al precio internacional de venta al público para este medicamento, el que para Argentina llegó a costar U\$S 2.057.000.

#### *Integralidad para el abordaje de una estrategia de acceso: aspectos claves del acuerdo de riesgo compartido*

Para poder abordar de manera integral y centralizada esta innovadora tecnología de altísimo precio, fue necesario diseñar una estrategia que contemple un nuevo modelo de compra, cuyo efectivo pago sea condicionado al resultado terapéutico; y que a su vez, pueda enmarcarse dentro de las leyes de contrataciones del Estado Argentino. Esto requirió la realización de una sucesión de actos administrativos que, sumados a la tarea de análisis de evidencia por parte de los equipos técnicos tanto del laboratorio productor como del Ministerio de Salud, sentaron las bases para arribar a una definición del perfil de paciente, criterios de inclusión y exclusión para el acceso al tratamiento y de los distintos hitos clínicos esperados a alcanzar de acuerdo a la edad por quienes deban recibir el tratamiento.

Es importante resaltar que, desde la Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio, se venía desarrollando exitosamente la estrategia de acceso al medicamento nusinersen (Spinraza®) desde 2020, contando con un registro de pacientes con AME que en la actualidad suman 229<sup>36</sup> (Registro Único de Tecnologías Tuteladas para pacientes con Atrofia Muscular Espinal - RUTT-AME) y con un rol fundamental por parte de la Comisión Nacional de AME que evalúa los casos para el inicio y continuidad del tratamiento conforme la información presentada. Esto

---

<sup>33</sup> EMA Zolgensma <http://www.ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zolgensma> acceso 25/6/2023

<sup>34</sup> Conformación CONAME. Resolución MSAL 1860/2020 publicada en el B.O:

<https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/237295/20201113#:~:text=RESOL%2D2020%2D1860%2DAPN%2DMS&text=CONSIDERANDO%3A,de%20ellas%20y%20sus%20familias.>

<sup>35</sup> CONETEC. informe rápido N° 1 [https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/2021/01/informe\\_1-zolgensma.pdf](https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/2021/01/informe_1-zolgensma.pdf)

<sup>36</sup> Datos relevados del RUTT-AME del día 22/6/2023

permitió poder tener mayor certeza respecto del potencial universo a incorporar, edades de diagnóstico, lugares de tratamiento, centros de referencia, tipo de cobertura, etc.

Por último, si bien resultaba un desafío fundamental la obtención de un menor precio para la Argentina, el principal objetivo trazado era la transparencia del mismo, es decir, la no confidencialidad del valor acordado por vial; máxime teniendo en cuenta los antecedentes internacionales para este tipo de acuerdos y las condiciones que generalmente son exigidas por la industria en general.

Así fue como luego de un largo proceso, se comenzaron a plasmar las distintas acciones formales para el avance de esta estrategia, habiéndose obtenido la presentación de una carta de intención por parte del laboratorio Novartis ante el Ministerio de Salud de la Nación.

Esto motivó el requerimiento formal de la incorporación de la tecnología al Programa Nacional de Seguimiento de Tecnologías Sanitarias Tuteladas, el que fue obtenido en el mes de enero de 2023<sup>37</sup>, y consecuentemente, se dio inicio a un proceso de compra de onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®). Dicha convocatoria se realizó mediante la elaboración de un pliego que incorpora los siguientes aspectos:

- Se trata de una compra abierta por exclusividad, que contempla un precio de referencia por vial de dólares estadounidenses 1.300.000 + IVA con logística incluida al centro de infusión, prevista para 12 tratamientos y por un plazo de 12 meses de vigencia de la contratación.
- El pago estará sujeto a los resultados que la terapia genere en los pacientes, conforme lo expresado en el mismo pliego y se realizará mediante un anticipo del 20% con la infusión y el saldo restante de la siguiente manera, siempre y cuando alcance las variables por edad descritas en el presente documento, de la siguiente manera:
  - 20% a los 12 meses de la infusión
  - 20% a los 24 meses de la infusión
  - 20% a los 36 meses de la infusión
  - 20% a los 48 meses de la infusión

Dadas las condiciones particulares del tratamiento con terapia génica, los pacientes tendrán que ser evaluados al momento de la presentación de la prescripción y durante un plazo mínimo de 6 años posterior a la administración del tratamiento. Las valoraciones de escalas motoras deberán ser realizadas e informadas en forma completa y detallada en sus componentes. Los profesionales a cargo de estas evaluaciones deberán acreditar su capacitación en dichas técnicas de acuerdo con los parámetros definidos por la CONAME.

Esta estrategia se completa con la reciente norma de creación de una nueva CONAME<sup>38</sup>, cuya función seguirá siendo la de determinar si los pacientes cargados por sus médicos tratantes en el RUTT-AME cumplen con los criterios de inclusión para los distintos tratamientos disponibles; ampliándose sus competencias a fin de evaluar la evolución de dichos pacientes en relación al cumplimiento de los hitos establecidos, que será necesario para proceder al pago acordado en el riesgo compartido asumido por las partes contratantes.

---

<sup>37</sup> Disposición 2/2023 incorporando onasemnogene abeparvovec como tecnología tutelada publicada en el B.O. <https://www.argentina.gob.ar/normativa/nacional/disposici%C3%B3n-2-2023-378405>

<sup>38</sup> CONAME, criterios de inclusión y pautas de seguimiento. Resolución MSAL 1234/2023 publicada en el B.O. <https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/288590/20230621>

Dichos criterios han sido elaborados por los equipos técnicos y la propia CONAME, en base a la mejor evidencia disponible y se encuentran desarrollados a lo largo de los Anexos II y III de la resolución.

A los fines de dicha evaluación y previo a la conformidad para el pago al laboratorio, tanto el Pliego de Bases y Condiciones Particulares de la compra en cuestión como Anexo III de la reciente Resolución 1234/2023, estipulan pautas de seguimiento, que se establecen de la siguiente manera:

Se considerará como respuesta al tratamiento 1 o más de los siguientes criterios de la escala HINE:

- Aumento  $\geq 2$  puntos en la categoría de hitos motores de la capacidad de patear
- Logro de la puntuación máxima en esa categoría (tocar los dedos de los pies)
- Aumento de 1 punto en la categoría de hitos motores del control de la cabeza, rodar, sentarse, gatear, pararse o caminar

Se considerará como respuesta adicional al tratamiento 1 o más de los siguientes criterios de la escala CHOP INTEND (Children Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders): Mejoría  $\geq 4$  puntos o estabilización de la situación con respecto al momento del inicio del tratamiento

En relación con los resultados sobre la función ventilatoria, se considerará como respuesta al tratamiento para pacientes  $< 9$  meses, la disminución del requerimiento de soporte ventilatorio

Se considera como falta de respuesta al tratamiento los siguientes criterios:

- En relación a los hitos motores, el empeoramiento se define como la pérdida de algún hito motor previamente adquirido. La pérdida deberá confirmarse con evaluaciones en dos ocasiones diferentes, separadas por un tiempo no menor a tres (3) semanas entre ellas.
- En relación a la mecánica respiratoria, empeoramiento se considera cualquiera de las siguientes situaciones (fuera de un evento agudo): 1) Requerimiento de ventilación invasiva. 2) Requerimiento de ventilación no invasiva en un paciente que previamente no la requería. 3) Requerimiento de ventilación no invasiva por más de 6 horas diarias en un paciente que previamente requería ventilación no invasiva por menos de 6 horas.

Asimismo, se determinaron ciertas variables esperadas a alcanzar por edad, las que se describen a continuación:

- Para 12 meses: 1) Mantenimiento del estado y mecánica respiratoria basal. 2) Mantenimiento de los hitos motores previamente adquiridos.
- Para 18 meses: 1) CHOP INTEND  $> 40$ . 2) Mantenimiento del estado y mecánica respiratoria basal. 3) Mantenimiento de los hitos motores previamente adquiridos.
- Para 24 meses: 1) Mantenimiento del estado y mecánica respiratoria basal. 2) Mantenimiento de los hitos motores previamente adquiridos. 3) Sentarse de manera independiente por al menos 30 segundos o rolar

- Para 36-48 meses: 1) Mantenimiento del estado y mecánica respiratoria basal. 2) Mantenimiento de los hitos motores previamente adquiridos. 3) Sentarse de manera independiente por 30 segundos o más y rolar.

A dichos fines, el laboratorio deberá en cada oportunidad elevar una nota a esta Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio, solicitando se evalúe que el paciente cumpla los hitos requeridos por edad y no se encuentre alcanzado por los criterios de suspensión de pago; debiendo darse intervención a la CONAME a dichos fines. Dicha intervención de la CONAME será necesaria para poder dar la conformidad con el pago al laboratorio.

El proceso articulado por el Ministerio de Salud de la Nación para la financiación de Zolgensma®, se encuadra dentro de lo que se conoce como “acuerdo de riesgo compartido” sujetándose el pago a la ocurrencia de beneficios clínicos esperados, con objetivos predeterminados de los cuales dependerá la continuación o no de la financiación del medicamento.

## **Acuerdos de Esquema de Acceso a Tecnologías: el camino recorrido por Brasil**

*Luciene Fontes Schluckebier Bonan - Directora CONITEC*

Los Acuerdos de Compartición de Riesgos (ACR) son actualmente una posible forma de incorporar tecnologías en el sistema de salud público de Brasil. Sin embargo, este camino aún no se ha recorrido completamente y está en proceso de construcción. El interés político en este tema se inició en 2019 con una propuesta de proyecto piloto de ACR para el medicamento nusinersen en pacientes con atrofia muscular espinal (AME) tipos II y III. La Comisión Nacional de Incorporación de Tecnologías en el Sistema Único de Salud (Conitec) ya había evaluado el tema meses antes y recomendó la incorporación solo para el tipo I de la enfermedad. El ACR fue propuesto en este caso por iniciativa del propio Ministerio de Salud como una alternativa de acceso para los pacientes no contemplados en la incorporación (Denizar *et al.*, 2022). Sin embargo, a partir de una evaluación jurídica del proceso, este proyecto piloto no pudo llevarse a cabo porque no fue precedido por una evaluación de la Conitec, según lo establece la legislación brasileña.

A partir de entonces, la Secretaría Ejecutiva de la Conitec inició una serie de acciones para comprender teórica y prácticamente los ACR, como la organización de talleres con autoridades sanitarias de diversos países, así como visitas técnicas a países como Inglaterra, España e Italia. El Ministerio de Salud también comenzó a experimentar con otras formas de acuerdos de acceso gestionado basados en descuentos por volumen, bonificaciones después de alcanzar un límite en el número de tratamientos, así como incorporaciones condicionadas a la reevaluación después de 3 años de monitoreo de la efectividad de la tecnología.

En 2021, debido al interés expresado por una industria farmacéutica en intentar construir un acuerdo antes de la presentación de la solicitud de incorporación a la Conitec, se llevó a cabo un estudio de caso para una propuesta de ACR para Zolgensma® en el contexto brasileño. Esta construcción se realizó a lo largo de cinco reuniones, entre agosto y diciembre de 2021, como un ejercicio cuyo resultado no necesariamente se utilizaría como propuesta de incorporación por parte de la empresa ni vincularía una decisión de incorporación de la tecnología en el sistema de salud brasileño. Durante estas reuniones se presentaron y discutieron modelos innovadores de acceso en América Latina, presentados por la Federación Latinoamericana de la Industria Farmacéutica (FIFARMA), así como los desafíos y alternativas de la nueva legislación brasileña sobre compras y contratos públicos, que permitiría legalmente la celebración de contratos con modelos alternativos a la adquisición tradicional de productos por parte de las entidades públicas en Brasil. La industria farmacéutica también presentó posibilidades de modelos de pago para Zolgensma®, considerando diferentes formatos y complejidades de implementación, basados en experiencias en curso en otros países.

Como producto, la Secretaría Ejecutiva de la Conitec construyó un ejemplo de Acuerdo de Compartir Riesgos (ACR) para la terapia, con indicación solo para pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo I del gen 5q, con una edad de hasta seis meses, en forma de un acuerdo basado en el rendimiento, con pago a plazos y pospuesto. Esta propuesta consideró los resultados obtenidos en los estudios de Zolgensma® publicados hasta entonces y las

incertidumbres relacionadas con el rendimiento a largo plazo de la terapia. También tuvo la intención de construir un modelo altamente complejo, ya que se trataba de un ejercicio, para prever y discutir todas las dificultades de negociación e implementación que los ACR podrían implicar en un caso real. Hasta entonces, la terapia no tenía un precio definido para su comercialización en Brasil y, según la empresa, la decisión de proponer de hecho un acuerdo dependería del precio determinado por la Cámara de Regulación del Mercado de Medicamentos (CMED).

En 2022, con la definición del precio de la terapia en un valor mucho más bajo de lo esperado por la empresa (R\$ 6,5 millones frente a R\$ 12 millones), la propuesta de incorporación presentada a la Conitec incluía una propuesta de ACR, pero con un diseño mucho más modesto. El precio propuesto para la incorporación fue de R\$ 5,7 millones, la población objetivo pretendida incluía a niños de hasta dos años de edad, y el pago se realizaría en tres cuotas (50% en la infusión, 30% después de 12 meses y 20% después de 24 meses), condicionado únicamente a la ausencia de resultados de muerte o necesidad de ventilación invasiva permanente debido a la evolución de la enfermedad.

El Pleno de la Conitec evaluó la propuesta presentada por la empresa como insuficiente. Durante la consulta pública, llevada a cabo en todos los procesos de incorporación de tecnologías en el SUS, la empresa presentó una nueva propuesta de acuerdo, que incluía el pago en cinco cuotas iguales (20%) a lo largo de 5 años y la inclusión del resultado de mantenimiento o mejora de los hitos motores, evaluado mediante una puntuación en una escala específica (CHOP-INTEND), y un límite de tratamientos anuales, por encima de los cuales se proporcionarían sin costo al Ministerio de Salud. Por último, la Conitec recomendó la incorporación de Zolgensma® para pacientes de hasta 6 meses de edad con AME tipo I que estén fuera de la ventilación mecánica invasiva durante más de 16 horas al día y de acuerdo con el Acuerdo de Compartir Riesgos.

La decisión de la primera incorporación con una previsión explícita de un ACR en Brasil se publicó en diciembre de 2022. En ese mismo mes, también se publicó una nueva organización para los procesos de incorporación de tecnologías en el SUS. Este nuevo reglamento incluyó la previsión de una incorporación provisional y de un acceso gestionado a las tecnologías incorporadas. También previó la creación de una Subcomisión Técnica de Acceso Gestionado en el ámbito de la Conitec, con atribuciones relacionadas con el monitoreo y reevaluación de tecnologías incorporadas, así como la definición de directrices, criterios, métodos y flujos para la celebración de acuerdos de acceso gestionado y su implementación en el SUS.

Tras recorrer este camino, hemos identificado algunos desafíos y lecciones aprendidas. Inicialmente, de manera similar a la propia institucionalización de la Evaluación de Tecnologías en Salud (ATS) en Brasil, la utilización de los ACR como modalidad de incorporación de tecnologías depende de algunos requisitos. El primero de ellos se refiere a la sensibilización y el compromiso tanto político como a nivel técnico-burocrático sobre el tema, ya que requiere una gran transformación en la cultura organizacional. La implementación de los acuerdos requiere una carga administrativa intensa, con cambios en los flujos y procesos de trabajo.



El segundo se refiere a la necesidad de un marco regulador explícito y específico que prevea los ACR, con un fortalecimiento simultáneo de la ATS, para evitar vías paralelas de incorporación. En Brasil, convivimos con un arreglo complejo del sistema de salud, que contempla tanto la compra centralizada de tecnologías por parte del Ministerio de Salud, como la posibilidad de adquisición y financiamiento por parte de las entidades federativas (estados y municipios) y el sector privado de salud suplementaria.

Además, se requiere la definición de prioridades del sistema de salud para poder identificar las situaciones en las que los intereses de las industrias, las personas y los pagadores estén alineados. En este contexto, hemos identificado que la clave radica en la cercanía y el reconocimiento mutuo de estos actores, lo que facilita encontrar soluciones adecuadas a los diversos desafíos que puedan surgir en el camino.

#### Referencias:

Denizar Vianna, Camile Giaretta Sachetti, Patrícia Boaventura. Acordo de Compartilhamento de Risco: projeto-piloto no Sistema Único de Saúde. J Bras Econ Saúde 2022; 14 (supl 1): 101-7). DOI: 10.21115/JPES.v14.n1.(Supl.1):101-7.

### **Esquemas de Acceso a Tecnologías: Experiencia Uruguay**

*Graciela Fernandez - Subdirectora Técnico-Médica de Evaluación de la Gestión FNR*

El Fondo Nacional de Recursos (FNR) es un organismo público no estatal que desde 1981 administra un seguro universal de cobertura para daño producido por altos costos en atención sanitaria cubriendo procedimientos diagnósticos y terapéuticos de alto costo y medicamentos de alto precio. Este seguro tiene como beneficiarios a todas las personas radicadas en el país.

La definición de las tecnologías que tienen cobertura garantizada por el sistema Nacional Integrado de Salud incluyendo aquellas que son de cobertura del FNR, es potestad del Ministerio de Salud.

Las tecnologías que cuentan con financiamiento garantizado por el Sistema Nacional Integrado de Salud se encuentran taxativamente incluidas en el Plan de Atención Integral a la salud (PIAS) para el caso de procedimientos y técnicas diagnósticas y terapéuticas y para el caso de medicamentos en el Formulario Terapéutico de Medicamentos (FTM).

Una vez que una tecnología está definida dentro de la cobertura del FNR, cuando se trata de medicamentos la negociación de precios, así como la definición de marcas comerciales e indicaciones de cobertura sí es de resorte del FNR.

Específicamente en lo que se refiere a fármacos, el FNR cuenta con fortalezas a la hora negociar con la industria:

- El FNR es el único comprador de los medicamentos de alto precio en el país, con pago seguro a 60 días de la presentación de la factura.

- Debido a su forma jurídica no estatal, se rige por el derecho privado al negociar los precios con la industria, manteniendo la transparencia y participación del equipo de gestión y representantes de la Comisión Honoraria Administradora en las decisiones de compra.
- La mayoría de los convenios de compra se realizan en pesos uruguayos sin cláusulas ni parámetros de ajuste. Algunos convenios se han firmado por dos años.
- Se realizan compras a través del Fondo Estratégico de OPS y conjuntas con países del Mercosur y Unasur
- También se realizan diferentes modelos de negociación con la industria. Con algunos proveedores se han realizado acuerdos de tipo “risk sharing”

Se han concretado a lo largo del tiempo diferentes formatos de acuerdos:

- Volumen global: a mayor volumen, menor precio
- Unidades consumidas-resultado: se abona en función de unidades consumidas, por ejemplo solo hasta la tasa de supervivencia esperada. Si los pacientes viven más de la tasa de supervivencia esperada, el laboratorio proporciona los medicamentos sin cargo.
- Adherencia (dosis promedio): bonificaciones en pacientes con buena adherencia evaluada al año. El FNR paga por el medicamento según el consumo, pero solo hasta el promedio mensual esperado de adherencia; si los pacientes consumen una cantidad del producto superior a dicho promedio, el laboratorio proporciona el medicamento sin cargo.
- Pago fijo mensual: Tarifa plana
  - Para un grupo de medicamentos para la misma patología, ajustando el precio. Si no se cumple la cuota mínima de pacientes o si se excede el máximo. Ej: Cáncer de mama. Incremento de cobertura, con el mismo gasto.
  - Por un conjunto de medicamentos para varios tratamientos diferentes: Artritis reumatoidea, linfomas y leucemia linfocítica crónica. Reducción de precios globales del 8%.

*Ejemplo más reciente: Tratamiento de hemofilia A en población pediátrica con Emicizumab sin inhibidores*

El Emicizumab ingresa al FTM a cargo del FNR por orden ministerial 1938/2021 de acuerdo con un criterio de cobertura que abarca pacientes de edad  $\geq$  a 1 año con inhibidores del Factor VIII y pacientes de edad  $\geq$  a 12 y  $<$  18 sin inhibidores de Factor VIII.

Se definió implementar un programa especial (basado en resultados) para pacientes pediátricos con hemofilia “A” sin inhibidores de 1 a 11 años inclusive que no estaban comprendidos en la cobertura (4/03/2022). Esos pacientes deben cumplir los mismos requisitos necesarios para la inclusión dentro de normativa de cobertura de los pacientes de igual franja etaria con inhibidores.

Al programa se le definió una duración de un año y su sitio de implementación fue el principal hospital pediátrico del país dado el alto número de pacientes con esta patología que manejan y la experticia de sus profesionales en la materia.

Se acordó que el laboratorio aportara un número establecido de miligramos de la droga (50000) sin cargo a utilizar exclusivamente en estos pacientes durante el período de duración del programa.

Cumplido el año del programa se acordó realizar una evaluación a cargo del FNR y que este grupo de pacientes ingresara a la cobertura en tanto se cumplieran al menos una de las siguientes condiciones:

- Que al menos el 85% de los pacientes no presenten sangrados espontáneos que requieran aporte de factores para su resolución
- Que la tasa anualizada de sangrados espontáneos sea menor a 1 sangrado/paciente/año

Las definiciones operativas utilizadas fueron:

- Cualquier sangrado aparecido en igual topografía hasta 72 horas luego del tratamiento se considera como el mismo sangrado
- Cualquier sangrado en diferente topografía se considerará un nuevo sangrado independientemente del tiempo de tratamiento
- Se registrarán los sangrados a partir del segundo mes de tratamiento (carga completa) y se considerarán pacientes con al menos 6 meses de tratamiento que hayan recibido la totalidad de las dosis que correspondan.

El FNR se compromete a enviar los datos recabados anonimizados cada 4 meses.

De acuerdo con lo convenido, en diciembre de 2022 se realizó la evaluación pautada la que mostró que de 26 pacientes incluidos en el programa no hubo ningún caso de sangrado espontáneo que requiriera aporte de factores para su resolución.

Como conclusión y de acuerdo con lo acordado, la Comisión Honoraria Administradora del FNR ha aprobado la cobertura del Emicizumab para pacientes con las características incluidas en el programa y actualmente se están realizando los procesos administrativos necesarios para hacer efectiva dicha resolución (inclusión en el FTM).

Algunos elementos estructurales del FNR que posibilitan este tipo de acuerdos:

- Estabilidad política y económica del país
- Información epidemiológica nacional
- Sistema de información del FNR con registros validados y completos
- Normativas de cobertura establecen criterios de inclusión, exclusión y suspensión de la cobertura explícitos
- Disponibilidad de instrumentos de control
- Datos Estadísticos y Evaluación de Resultados propios
- Impactos presupuestales – software de simulación estocástica

En resumen, diferentes modelos de negociación con la industria han permitido la compra eficiente de medicamentos, así como mejorar la accesibilidad, disminuyendo riesgos e incertidumbre.

Además, brindan la posibilidad de realizar precisiones más reales del gasto y disminución de la incertidumbre sobre el impacto presupuestario a la vez que aportan transparencia a la toma de decisiones.

Estos modelos cobran particular trascendencia cuando se construyen con datos de la vida real y sobre todo con alcance a nivel país y se sustentan en un sistema de información potente que integre los datos clínicos de las autorizaciones, con el seguimiento y los datos administrativos.

Se requiere de recursos e instrumentos de control para realizar el seguimiento estricto de la evolución de los acuerdos, que contribuyen, en algunos casos, a mejorar la calidad asistencial mediante el seguimiento personalizado de los pacientes.

### **Referencias**

Fondo Nacional de Recursos (2021): "Tratamiento de la Hemofilia A con Emicizumab. Normativa de cobertura". Recuperado de: <https://www.fnr.gub.uy> - Normativas