

# CURSO DERECHO FARMACÉUTICO BIOMEDICINA MEDICAMENTOS Y SALUD PÚBLICA

**Jordi Faus**

Faus & Moliner



Aplicación práctica del Plan de Terapias Avanzadas y de medicamentos biológicos:

- Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS, Medicamentos CAR, Noviembre 2018.
- Plan de acción para fomentar la utilización de medicamentos reguladores del mercado en el SNS (genéricos y biosimilares), Septiembre 2019.

- Cambio de paradigma en el ámbito de la financiación. Curación vs tratamiento.
- Gestión de los tratamientos y derechos de los pacientes. La incertidumbre sobre eficacia vs el acceso a tratamientos con nivel de seguridad aceptable. La evaluación económica post evaluación sanitaria.
- Complejidad del proceso, selección de centros de tratamiento, movimientos regionales o transfronterizos de células y/o pacientes.
- Necesidad de mecanismos de compra innovadora. La definición del objeto del contrato y múltiples aspectos logísticos con impacto contractual.
- Los llamados productos académicos de fabricación hospitalaria.

- Resultado del consenso al más alto nivel del sistema.
- Respaldado con documentos de implementación operativos.
- Base para futuros esquemas para otros productos.
  
- Objetivos:
  - Planificar en el SNS de foma equitativa y sostenible.
  - Impulsar la investigación pública y la "fabricación propia y pública".
  
- Marco institucional:
  - Grupo de trabajo institucional (Mº, CCAA y Asoc. Pacientes)
  - Grupo de expertos.

- 386 solicitudes
  - 339 aprobadas (88%)
  - 43 denegadas (11%)

**Proteger mecanismo de decisión del Grupo de Expertos, en base a informe clínico y evaluación de otras opciones.**

- Centros
  - Andalucía 87%
  - Valencia 66%
  - Castilla León 86%
  - Catalunya 100%
  - Madrid 87%

**Diversos objetivos aconsejan que se acrediten más centros (equidad, cercanía al paciente, formación de profesionales).**

- Plazo de respuesta
  - De acuerdo con lo previsto en el Plan.
  - Casos urgentes max 72 horas.

- Los **Estados miembros mantienen la competencia plena** en la materia y están legitimados para tomar medidas de control del gasto público (STS 2 Marzo 1995) **pero** cualquier medida de control de precios está sujeta a Directiva 89/105/CEE (STJUE Com. c. Austria, 2001; c. Finlandia, 2003, Menarini et al., 2009, Servier 2015).
- Las medidas de control **no pueden discriminar** (STJUE 1983; Roussel) y los **criterios** deben ser **objetivos y verificables** (STJUE 1984; Duphar).
- **Sentencia 257/2020, 15 Junio, TSJ Madrid:**

Valora positivamente las "... estrategias de uso racional de los medicamentos y de control del gasto farmacéutico que permitan seguir asegurando una prestación universal de calidad, contribuyendo a la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud en unos momentos específicos de dificultad económica y cambio tecnológico".

**Sin informes periciales  
sólidos será muy difícil  
contrarrestar el privilegio  
propio de la  
discrecionalidad  
administrativa**

- Pago por resultados
  - Incluido en las resoluciones de financiación y precio. Vid. ejemplo más reciente Zolgensma (CIMP Abril 2021).
  - Criterios de inclusión.
  - Resultado terapéutico objetivo a medio y largo plazo (hasta 66 meses).
  - Comités de seguimiento autonómicos.
- Revisión de precio
  - Anual en función de resultados y de nivel de ventas.
- Contabilidad pública
  - 100% en el año 1 con abono ex-post o según se cumplan condiciones de pago por resultados.

**Traje a medida vs  
"pret-à-porter"**

**¿Quien  
valora/decide?**

**Secretos  
empresariales**

**Evitar  
automatismos  
en caso de techo**

**¿Revisión post-  
Covid '19?**

- Objeto del contrato
  - ¿Producto o servicio?
  - Otras prestaciones posibles (diagnóstico, selección de pacientes, actuaciones previas o seguimiento).
  - ¿Gestión de real world evidence?
- Sistemas de licitación
  - Inadecuados para este tipo de productos.

**Recuperar la figura de la colaboración público-privada**

**Facilitar acuerdos de asociación para la innovación (arts. 177-182 LCSP)**

**La opción de los convenios de colaboración (Ley 40/2015)**

- Directiva 2011/83/CE
  - MTA preparados ocasionalmente,
  - En un hospital y bajo la responsabilidad profesional exclusiva de un médico,
  - Con el fin de cumplir una prescripción individual de un producto hecho a medida destinado a un solo paciente.
  - La fabricación deberá contar con autorización de las autoridades nacionales.
- Real Decreto 477/2014
  - Autorización de uso con régimen muy similar al de una AC ordinaria (cfr. Directiva 2001/83/EC: autorización de fabricación).

- Una oportunidad de valor incalculable para situaciones sin alternativa disponible.
- Un reto muy atractivo para los profesionales y hospitales.
- ¿Tienen que ser un elemento de competencia con el desarrollo industrial?

**El art. 3.7 de la  
Directiva  
2001/83/EC es una  
excepción al  
principio general**

**Prudencia  
Necesidad de lograr  
un equilibrio  
razonable**

*"Si esta excepción se  
convirtiera en el trámite normal  
para la comercialización de  
terapias avanzadas, las  
consecuencias para la salud  
pública serían perjudiciales"*

COM(2014) 188 final

- Las consecuencias perjudiciales a menos que se logre un equilibrio razonable:
  - Ensayos clínicos o uso de productos no autorizados. N de pacientes reducida.
  - Dificultades añadidas en materia de aseguramiento de calidad.
  - Se reducen las posibilidades de acceder y manejar real world evidence.
  - Se perjudica la equidad a nivel europeo.
  - Desincentiva la innovación por parte de la industria.
  - Riesgo de mayor dificultad de evaluación económica ante disparidad de sistemas.

- Co-existencia
  - Art. 5 Directiva 2001/83/CEE:
    - EM pueden no exigir AC en casos de necesidades especiales (uso compasivo, autorizaciones de emergencia)
    - Incompatible si existe alternativa con AC (TJUE).
  - Art. 3 Directiva 2001/83/CEE:
    - Productos fuera del ámbito de aplicación de la Directiva.
    - No hay jurisprudencia clara (cfr. obiter dicta en asunto Abcur, 16 Julio 2015 re fórmulas magistrales).

- Uso ocasional
  - España, Italia, Francia: Sin criterios publicados.
  - UK: Se valora teniendo en cuenta frecuencia y cantidades.
  - NL: Para un máximo de 5 pacientes (actualmente, 10).
  - Alemania: Fabricación a escala reducida sin que sea esperable obtener info para evaluar el medicamento.
  
- Back to basics
  - Art. 3.7 como excepción al régimen general.

- Dossier
  - Muy similar al de una AC ordinaria.
  - Requiere resultados de pruebas clínicas (único país en la UE).
  - Ficha técnica según Real Decreto 1345/2007.
  - Información dirigida al paciente.
  
- Fabricación
  - Deberá cumplir con los aspectos de NCF "en lo que les sea de aplicación siguiendo las instrucciones que a tal efecto sean dictadas por la Aemps acuerdo con el estado del conocimiento científico en la materia".
  
  - Se fomenta la fabricación por terceros.

- NC-1 Hospital Puerta de Hierro
  - Aemps autoriza el 31 enero 2019 en base a RD 477/2014.
  - Inclusión en prestación farmacéutica del SNS en Oct 2019.

*"La Dirección (...) es el órgano competente para resolver sobre la financiación o no financiación pública de cada medicamento"*
  - Fijación de precio por la Comisión Permanente de Farmacia.

*"La Abogacía del Estado (expediente 117/2019) .. ha concluido que correspondería al Consejo Interterritorial del SNS la competencia para acordar las condiciones en las cuales se han de utilizar y suministrar los medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial, al amparo de lo previsto en el artículo 91.6 de Ley de garantías y uso racional del medicamento, que atribuye al Consejo la competencia para "acordar las condiciones generales de planificación, coordinación, contratación, adquisición de medicamentos y productos sanitarios de las estructuras y servicios de titularidad pública integrados en el SNS"*

- Acuerdo CISNS  
14 Octubre  
2019
  - Aprobación de precio tras aprobación y previa a la inclusión en la prestación.
  - Propuesta de la CCAA según ficha en Anexo 1 (no publicado).
  - Régimen detallado de acuerdos industriales (NCF et al.) entre hospitales interesados.
  - Régimen detallado de acuerdos mercantiles entre hospitales interesados (pagos, derivación de pacientes, etc...).

- CAR-T ARI 001 ➤ Inclusión en prestación farmacéutica del SNS en Mayo 2021.

## La Comisión Permanente de Farmacia fija el precio al ARI-0001, la primera terapia avanzada CAR-T pública

- Es la primera terapia avanzada CAR-T que ha sido desarrollada íntegramente desde el sistema público de salud, en concreto desde el Hospital Clínic de Barcelona, del Catsalut.
- El 1 de junio será incluido en la prestación farmacéutica del SNS, garantizándose su financiación con fondos públicos y la equidad en su acceso en todo el territorio nacional a los pacientes que lo necesiten.
- Su uso fue autorizado por la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios el pasado 1 de febrero y su precio es 3 veces inferior al medicamento de fabricación industrial.

El tratamiento será indicado por el médico responsable del paciente y será valorado por el grupo de expertos nacional del Plan de Abordaje de las Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud. En los casos favorables, la comunidad autónoma de origen derivará el caso al Catsalut que será estudiado por el grupo multidisciplinar CAR-T del Hospital Clínic de Barcelona.

Tras la fijación del precio, el medicamento será incluido en la prestación farmacéutica del SNS, lo que garantizará que su acceso, bajo indicación clínica, será equitativo en todo el territorio nacional, siendo financiado con fondos públicos. La eficacia de su entrada en la cartera común de servicios será este 1 de junio.

Esta es la segunda terapia avanzada de titularidad pública que se incluye en la cartera común de servicios del SNS. La primera fue el NC1, fabricada en el Hospital Universitario Puerta del Hierro de la Comunidad de Madrid, medicamento compuesto de células mesenquimales troncales adultas autólogas de médula ósea expandidas, y de plasma humano, que se utiliza para el tratamiento de las secuelas producidas por accidentes traumáticos sobre la médula espinal.

- Una oportunidad de valor incalculable para situaciones sin alternativa disponible.
- Un reto muy atractivo para los profesionales y hospitales.

### Prudencia y necesidad de lograr un equilibrio razonable

*"Si esta excepción se convirtiera en el trámite normal para la comercialización de terapias avanzadas, las consecuencias para la salud pública serían perjudiciales"*

COM(2014) 188 final

EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28 April 2020  
EMA/CAT/94295/2020  
Committee for Advanced Therapies

EMA warns against using unproven cell-based therapies

- Medicamentos reguladores del mercado
  - Una definición más.
  - ¿No se trataba de equiparar? ¿Por qué diferenciar con una definición?
  - ¿Acaso el mercado no está regulado hasta que aparece?
  - ¿Genéricos y Biosimilares en la misma categoría?
- Fomentar la competencia
  - Investigaciones CE. Resultados positivos en 75% de los casos.
  - Se requiere un análisis de impacto global de los objetivos generales de política farmacéutica.

**No es necesario ni conveniente introducir más definiciones**

**La competencia en precio no es la única posible ni necesariamente la mejor.**

- Penetración en el mercado
  - Valores y por principio activo.
  - Definición de mercado contextual.
  - Penetración en los principios activos de más consumo entre +90% y +60%.
- "Equivalencias terapéuticas"
  - Intercambiabilidad. Switch de prescripción con aprobación del paciente.
  - Sustitución por el servicio de farmacia sin conocimiento del prescriptor.
  - Selección para pacientes debutantes o futuros intercambios.

**No es necesario  
fomentar la  
penetración en el  
mercado**

**Prudencia  
Farmacovigilancia**

**¿Switch entre  
biosimilares?**

**Favorecer a un  
competidor no es  
defender la  
competencia**

Muchas gracias

Más información en:  
[www.faus-moliner.com](http://www.faus-moliner.com)