

Informe oficial

Entorno y oportunidades de financiamiento de enfermedades raras en los países de ingresos mediano-bajos

Un estudio global del contexto, los desafíos y las oportunidades del financiamiento de las enfermedades raras en los PIMB

A SOLICITUD DE ROCHE
PREPARACIÓN DE IQVIA



Tabla de contenidos

Resumen ejecutivo	3
Resultados	3
El mundo después de la COVID-19	4
Introducción	5
Enfermedades raras en los PIMB: Panorama general	5
Resultados del estudio	7
Países involucrados en el estudio de investigación	7
Identificación de las brechas de financiamiento de las enfermedades raras	8
Vista de las enfermedades raras del país	10
Perspectiva externa de los expertos	20
Conclusión	21
Reconocimientos	22
Referencias	23
Acerca de los autores	24
Acerca de IQVIA Asia-Pacífico	26
Acerca de Roche	27

Resumen ejecutivo

Las enfermedades raras (ER) tienen, por naturaleza, un grupo de pacientes pequeño y disperso, por lo que su atención no se encuentra entre las más altas prioridades de los Gobiernos. Históricamente, esto lleva a que en todo el mundo se destine una parte insuficiente de los presupuestos nacionales para la atención médica al tratamiento de las enfermedades raras. Debido a esto, los desafíos relacionados con el financiamiento de las enfermedades raras tienen un efecto económico creciente y continuo en los pacientes, los sistemas de salud y las economías y, si no se hace nada al respecto, aumentará aún más.

Esta iniciativa busca la colaboración entre sistemas de salud para resolver los desafíos que impiden el acceso sustentable al tratamiento de los pacientes con enfermedades raras. Como primer paso, IQVIA y Roche realizaron una serie de estudios de investigación con el objetivo de comprender el entorno actual de financiamiento de las enfermedades raras en países seleccionados de ingresos mediano-bajos (PIMB) y en evaluar las oportunidades para reducir la brecha de financiamiento.

Se seleccionaron diez países de todas regiones para realizar un análisis de su sistema de salud y entorno de financiamiento. Los países seleccionados fueron: Argentina, Perú, Colombia, Sudáfrica, Ghana, Marruecos, Líbano, Rumania, Malasia y Tailandia. La selección de los países se basó en un análisis con criterios múltiples, en el que se tuvieron en cuenta variables cuantitativas y cualitativas. Con este propósito, analizamos datos epidemiológicos, modelos de reembolso, factores del sistema de salud, relevancia social de las ER y datos macroeconómicos, entre otras variables, para más de 60 países. Se realizó una estrategia mixta a través de la revisión de publicaciones, así como entrevistas con los expertos locales en materia de salud para recopilar y analizar la información relevante acerca del estado del financiamiento de las enfermedades raras en los sistemas de salud seleccionados.



Resultados

La investigación indica que la mayoría de los países tienen un entorno subdesarrollado para el financiamiento público de las enfermedades raras. Las brechas identificadas se centraron fundamentalmente en la asignación de presupuesto y la estrategia administrativa del Gobierno:

-  No hay presupuesto o se asigna un monto insuficiente a las ER.
-  Falta de una estrategia, gobernanza y legislación en torno a las enfermedades raras.
-  Falta de planes gubernamentales para garantizar un suministro continuo de fondos para las ER.
-  Es inusual el reembolso público de los costosos medicamentos innovadores para las enfermedades raras (el Spinraza, un medicamento para la AME, se utilizó como indicador representativo de los tratamientos de alto costo para las ER).

Se estableció un panorama para la madurez del entorno de cada país en relación con las enfermedades raras como resultado del ejercicio de identificación de



la brecha. Se evaluó la madurez del entorno según la presencia pública de tres criterios clave: la financiación protegida de las ER, el registro de pacientes y el sistema de registro de medicamentos huérfanos. La evaluación mostró que solo tres de diez países (Rumania, Tailandia y Argentina) tienen un nivel medio de madurez del sector público en torno a las enfermedades raras. El resto de los países han mostrado un bajo reconocimiento de las ER con falta de asignación de fondos y políticas para las ER. En el sector privado, la cobertura de los seguros privados para las enfermedades raras es muy bajo o casi inexistente en todos los países.

Con respecto al sector pagado con desembolsos del paciente, el análisis realizado en todos los países participantes mostró que solo el 1 % de la población cuenta con los medios para permitirse los costosos medicamentos innovadores y el resto de la población tiene escasa capacidad para financiar el alto precio de los medicamentos innovadores.

En una consulta, los expertos externos identificaron varias áreas a las que dar prioridad de ahora en adelante con el fin de lograr un diálogo eficaz con los Gobiernos y las personas a cargo de la toma de decisiones, entre las cuales se encuentran las siguientes:

- 1 El desarrollo de evidencias sólidas en cuanto a las brechas actuales de financiamiento de las ER.
- 2 La captura de la perspectiva de los pacientes y cuidadores.
- 3 La participación de las instituciones responsables del pago y las personas a cargo de la toma de decisiones en un acercamiento unificado de la comunidad relacionada con las ER.
- 4 La adopción de una estructura específica de evaluación de la tecnología médica multidisciplinaria y basada en la evidencia para las ER, que no se centre en la rentabilidad.
- 5 Alineación de los incentivos de las partes interesadas para garantizar la sustentabilidad y la continuidad de las soluciones de financiamiento.

El mundo después de la COVID-19

Además de los desafíos de salud conocidos, la pandemia de COVID-19 ha colocado a los sistemas de salud en desarrollo bajo una impresionante presión para satisfacer las necesidades médicas de la población. Al momento de prepararse este informe, muchos países desarrollados comienzan a surgir a una nueva normalidad pospandémica, mientras que muchos países en desarrollo siguen sufriendo los debilitantes efectos económicos y médicos, lo cual reduce aún más su enfoque en las enfermedades raras y su capacidad para abordarlas.

Mientras resta determinar el efecto de la pandemia de COVID-19 en su totalidad, actualmente se desvían recursos significativos para satisfacer las intensas demandas que crea la COVID-19 en hospitales y profesionales de la salud. Aunque es difícil predecir con certeza los efectos de la COVID-19, a mediano plazo, se anticipan ajustes en los presupuestos de los sistemas de salud, lo que dificulta aún más el uso de fondos adicionales para las áreas que previamente carecían de prioridad. El enfoque estará, con mayor probabilidad, en la salud masiva y no en las opciones terapéuticas dirigidas o individuales. Algunas de estas situaciones no son nuevas para las enfermedades raras, pero el cambio requerirá una nueva estrategia y otros modelos de colaboración que ayudarán a rediseñar la oferta, el financiamiento y el acceso a la innovación en torno a la atención médica.

En el trasfondo de la COVID-19, asegurar el acceso para las enfermedades raras y mantener estos objetivos requerirá, más que nunca, estrategias colaborativas no tradicionales, lo que mejorará la eficacia y generará una mayor presencia de las soluciones de financiamiento de instituciones públicas y privadas.

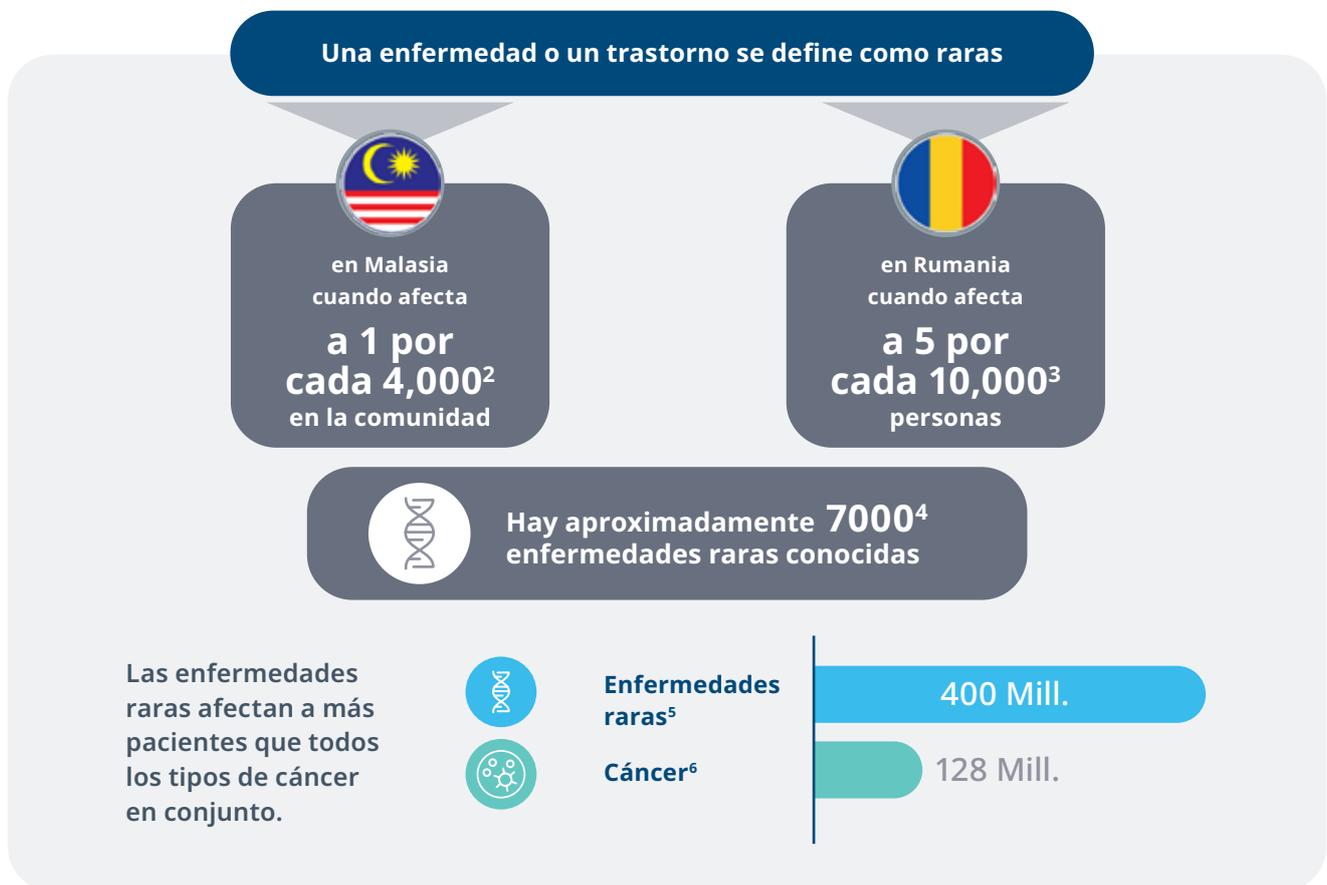
“Para permitir el acceso a las enfermedades raras y mantener estos objetivos será necesario más que nunca implementar estrategias colaborativas innovadoras”.

Introducción

Enfermedades raras en los PIMB: Panorama general

Una enfermedad rara es aquella que afecta a un pequeño porcentaje de la población. No hay un consenso global en cuanto a la definición, la cual varía entre regiones y países. En los países de ingresos mediano-bajos (en particular, en China¹) no se ha establecido una definición formal, mientras que otros siguen la de la OMS (prevalencia <1 en 1000 personas) o la de la UE (<1 en 2000 personas). Si bien cada enfermedad rara puede afectar únicamente a un pequeño número de personas, de forma colectiva, estas afectan a más personas que todos los tipos de cáncer en conjunto, como se muestra de manera visual en la **Imagen 1** ^{2,3}

Imagen 1: Definición y prevalencia de las enfermedades raras en los PIMB



Un desafío inherente para las enfermedades que afectan únicamente a un pequeño porcentaje de la población es la mayor complejidad del financiamiento y los obstáculos para el acceso, en comparación con las enfermedades más comunes. En los PIMB, donde incluso podría todavía faltar la atención médica universal, estos obstáculos se amplifican aún más. El hecho de tener grupos de pacientes pequeños y dispersos lleva a que las enfermedades raras tengan poca prioridad para el Gobierno y, a menudo, también para las empresas farmacéuticas, lo que hace que reciban una parte insuficiente del presupuesto nacional para la salud y de las asignaciones de investigación. En muchos PIMB actualmente no se cuenta con políticas o financiamiento de las enfermedades raras. Sin embargo, se está convirtiendo en un tema de interés, que se enfatiza con la primera lista nacional de enfermedades raras de China en 2018⁷.

Muchas enfermedades raras tampoco tienen tratamientos curativos, lo que destaca la necesidad de mejorar la coordinación para garantizar que los pacientes tengan acceso a los tratamientos y servicios disponibles. Las principales partes interesadas, como los Gobiernos, las agencias de salud pública y las comunidades de investigación médica, enfrentan desafíos a niveles normativos:

1 Falta de conocimiento y comprensión de las enfermedades raras

- Falta de conocimiento y comprensión de las enfermedades raras, por parte de los legisladores y la sociedad en general

2 Clasificación inconsistente y falta de información adecuada

- Estrategia inconsistente e información insuficiente, lo que retrasa la entrada a los sistemas de salud, por ejemplo, el diagnóstico erróneo

3 Baja prioridad de las enfermedades raras a nivel nacional

- Brechas en el suministro de servicios como resultado de la fragmentación de los servicios médicos
- Opciones de tratamiento limitadas debido a la baja inversión en investigación y desarrollo

4 Desajuste en los criterios de reembolso para los medicamentos huérfanos

- La rentabilidad habitualmente eclipsa a otros elementos como métrica en la toma de decisiones en el proceso de la evaluación de la tecnología médica
- Los medicamentos huérfanos tienen pocas oportunidades de reembolso al usar el criterio restrictivo de costo por años de vida ajustados por calidad (QALY, por sus siglas en inglés)

5 Costeabilidad

- Se asignan y garantizan fondos insuficientes para el tratamiento de las ER

Es necesaria la colaboración en todo el sistema de salud para lidiar con estos desafíos sistémicos. Por ejemplo, la disposición de capacitación y generación de conocimiento entre el personal médico de primera línea para reconocer las enfermedades raras y dirigir a los pacientes a tratamientos eficaces. La incapacidad de abordar las enfermedades raras a un nivel normativo y sistémico ocasionará el abandono de las personas más vulnerables de la sociedad, las cuales padecerán una debilitación

crónica, a menudo desde la infancia, lo cual generará un efecto significativo en las familias y los cuidadores.

En las últimas dos décadas, muchos países han tomado medidas para enfrentar los problemas mencionados anteriormente, pero todavía queda mucho por mejorar. El financiamiento nacional innovador debe sostenerse y expandirse con el fin de abordar con eficacia estas complejas brechas de financiamiento.

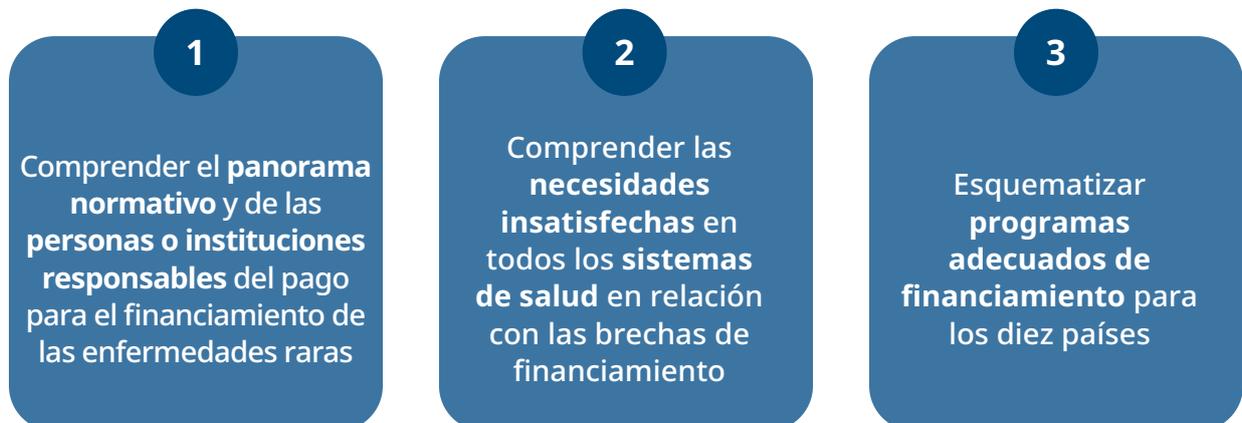
Resultados del estudio

Países involucrados en el estudio de investigación

Este estudio se centra en la evaluación de las oportunidades en diez sistemas de salud prioritarios: Argentina, Perú, Colombia, Sudáfrica, Ghana, Marruecos, Líbano, Rumania, Malasia y Tailandia. La selección de los países se basó en un análisis de criterios múltiples con variables cuantitativas y cualitativas.



El estudio de investigación se centra en estos imperativos estratégicos:



Los diez países se seleccionaron mediante un ejercicio de priorización de dos fases, tomando en cuenta el tamaño de la población de pacientes, la epidemiología, el enfoque normativo de las ER, los sistemas de financiamiento médico y las brechas de financiamiento.

Para obtener una mayor comprensión de los mecanismos de financiamiento explorados para el financiamiento de las enfermedades raras a nivel global, puede leer el informe Modelos innovadores de financiamiento para el tratamiento de las enfermedades raras.

Identificación de las brechas de financiamiento de las enfermedades raras

Se desarrolló para cada país un análisis integral del panorama de las enfermedades raras con el fin de comprender mejor el entorno de financiamiento de estas. Se utilizaron tres mecanismos clave para guiar a los países en la identificación de las brechas de financiamiento a través de los tres principales tipos de personas o instituciones responsables del pago: el Gobierno, los seguros privados y desembolso del paciente. También se formularon preguntas clave para que cada mecanismo profundizara en la identificación de las brechas de financiamiento existentes en su país. Los tres mecanismos y las preguntas clave se muestran a continuación en la **Imagen 2**.

Imagen 2: Mecanismos para la brecha en las enfermedades raras



Como resultado de este ejercicio, se puede observar que la mayoría de los países tienen un entorno público subdesarrollado de las enfermedades raras, y la mayoría enfrenta brechas en el financiamiento, la administración y las políticas de estas. También es poco común el reembolso público y la cobertura de los seguros privados para los costosos medicamentos innovadores para tratar las enfermedades raras. La **Imagen 3** muestra las brechas más comunes identificadas.

Imagen 3: Brechas comúnmente identificadas

Responsable del pago	Brechas identificadas por grupos de países
 Gobierno	Asignación insuficiente de fondos para las ER Falta de una estrategia para las ER (a corto o largo plazo) Falta de un organismo nacional de gobierno o comité para las enfermedades raras Falta de normas para la adopción de programas de financiamiento Poco conocimiento en torno a las ER
 Seguros privados	Falta de una política de cobertura para las ER o que requiere copagos altos Falta de un incentivo para la expansión de la cobertura para las ER
 Desembolso del paciente	Poca capacidad para financiar los medicamentos innovadores de alto costo

Se estableció un panorama para la madurez del entorno de cada país en relación con las enfermedades raras como resultado del ejercicio de identificación de la brecha. La madurez se evaluó según la presencia pública de tres criterios clave: la financiación protegida, el registro de pacientes y el sistema de registro de medicamentos huérfanos. La **Imagen 4** muestra la evaluación de la madurez del país, en la que la mayoría de los países muestran un entorno público subdesarrollado en relación con las enfermedades raras.

Imagen 4: Evaluación de la madurez del sector público en torno a las enfermedades raras del país

País	Madurez del sector público en torno a las enfermedades raras			
	Fondos protegidos	Registro de pacientes con ER	Sistema de registro de los medicamentos huérfanos	Valor de los fondos (en dólares estadounidenses)
 Rumania	✓ USD 100 Mill	✓		
 Tailandia	✓ <USD 1 Mill		✓	✓
 Argentina		✓	✓	✓
 Colombia				
 Perú				
 Sudáfrica				
 Líbano				
 Malasia	✓ USD 4 Mill		✓	✓
 Marruecos				
 Ghana			✓	✓


Presente


Parcialmente presente


Ausente

Vista de las enfermedades raras del país

Esta sección enuncia una vista del panorama de las enfermedades raras en los diez países estudiados. Las vistas exponen las diferentes políticas e iniciativas en torno a las enfermedades raras con las que se cuenta en cada país, así como los continuos esfuerzos de financiamiento para los pacientes con enfermedades raras.



Malasia

Hay un progreso en el panorama de las ER en Malasia con el desarrollo continuo del Sistema Nacional para las Enfermedades Raras



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica

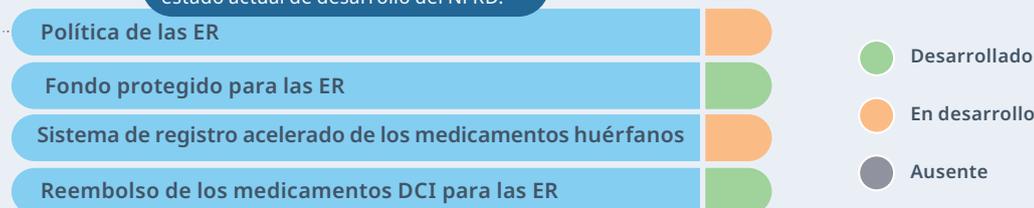


- Población cubierta por el reembolso general: aprox. 100 %
- Población cubierta por los seguros privados: aprox. 41 %



Políticas e iniciativas para las ER

Clasificaciones actualizadas según el estado actual de desarrollo del NFRD.



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Retrasar la confirmación del diagnóstico
- Accesibilidad limitada a las instalaciones y servicios de diagnóstico
- Poco conocimiento de las enfermedades, que ocasiona el retraso y los errores en el diagnóstico
- Poca accesibilidad a los medicamentos innovadores para las ER



Programas continuos de financiamiento

El Ministerio de Salud está desarrollando un Sistema Nacional para las Enfermedades Raras, con el que se planea lo siguiente:

- Crear un comité administrativo para las ER
- Desarrollar una definición de las ER y el registro de los pacientes
- Desarrollar políticas y estrategias relacionadas con la adquisición y el acceso a los medicamentos huérfanos

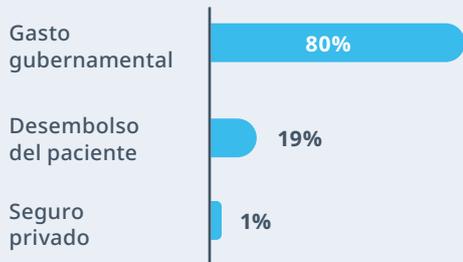
Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



Hay un panorama bien desarrollado de las ER en Rumania, donde el Gobierno dirige el gasto para la atención médica



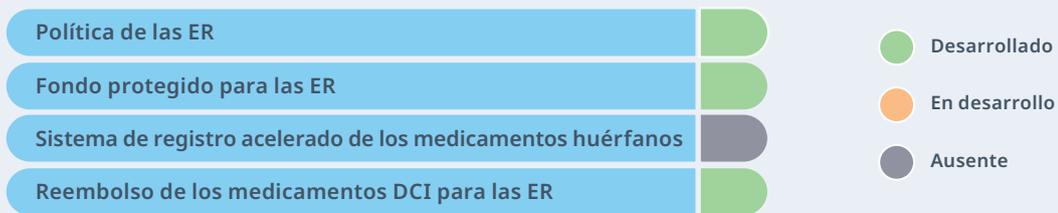
Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



- Población con la cobertura del Seguro Estatal de Salud y los programas nacionales de salud: aprox. 100 %
- Población con la cobertura de los seguros privados: aprox. 2 %



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Falta de dispositivos modernos de diagnóstico y especialistas capacitados
- Inversión limitada en las instalaciones de los hospitales públicos
- El sistema para la evaluación del reembolso necesita mejorar
- Poco acceso en las áreas rurales
- El tratamiento en las instalaciones públicas enfrenta largos tiempos de espera



Programas continuos de financiamiento

La asignación del presupuesto para el NRDP está actualizada con el monto más reciente de aproximadamente USD 100 millones

El Programa Nacional para las Enfermedades Raras de Rumania cubre 25 ER:

- Aprox. USD 100 millones se asignaron para el Programa Nacional para las Enfermedades Raras, en el que aprox. el 22 % se destinó para la AME.
- Los fondos asignados para la AME se utilizan para cubrir el diagnóstico y el tratamiento (Spinraza).
- El Spinraza está cubierto para todos los pacientes con AME en Rumania. Sin embargo, solo aprox. 80 pacientes están cubiertos actualmente debido a las limitaciones del presupuesto.

Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis

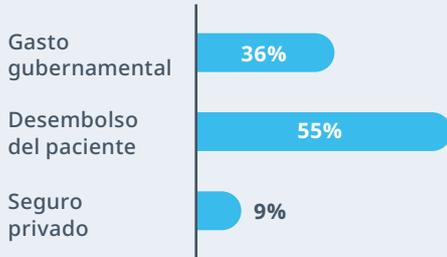


Ghana

Ghana es un mercado dirigido por el desembolso del paciente, mientras que los Grupos de Defensa de los Pacientes (PAG) dirigen principalmente las iniciativas para las ER



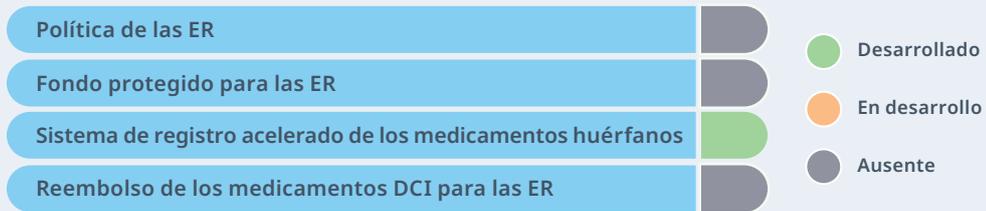
Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



- Población con la cobertura del Programa Nacional de Seguro para la Atención Médica: aprox. 40 %
- Población con la cobertura de los seguros privados: aprox. 1 %



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Instalaciones de diagnóstico limitadas y servicios costosos
- Falta de especialistas capacitados
- Baja solvencia económica de los pacientes
- Poca accesibilidad a los tratamientos innovadores
- Poco acceso a los tratamientos en las áreas rurales



Programas continuos de financiamiento

PAG: RDGI (Rare Disease Ghana Initiative) colabora con las organizaciones locales e internacionales para encabezar estas iniciativas en beneficio de las ER:

- Campañas mediáticas sobre las ER
- Programa de diagnóstico
- Programa terapéutico
- Desarrollo de un registro nacional

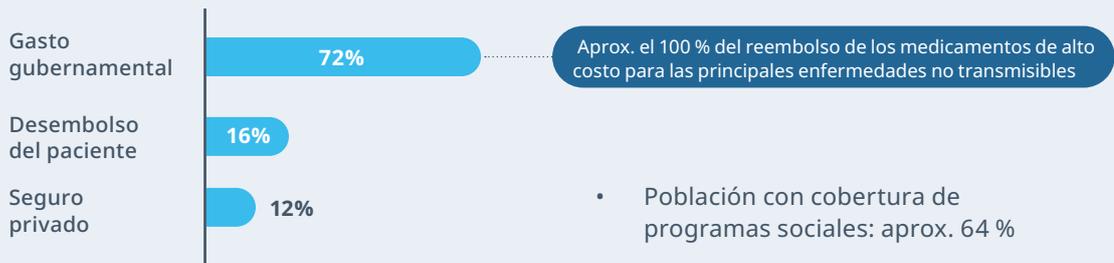
Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



El panorama de las ER en Argentina está en desarrollo, con el reembolso del Spinraza y el desarrollo de políticas específicas para las ER



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



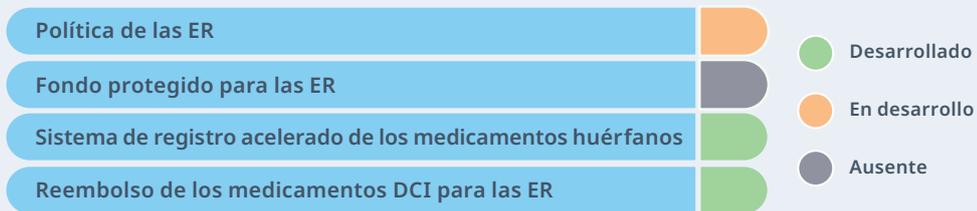
Aprox. el 100 % del reembolso de los medicamentos de alto costo para las principales enfermedades no transmisibles

Programas sociales: Obras sociales nacionales, obras sociales regionales y fondo nacional de retiro

- Población con cobertura de programas sociales: aprox. 64 %
- Población con cobertura de seguro privado: aprox. 13 %



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Subdiagnóstico especialmente para pacientes fuera de Buenos Aires
- Poco conocimiento sobre la enfermedad entre los profesionales de la salud y los pacientes
- Falta de especialistas capacitados
- Falta de guías de tratamiento oficiales



Programas continuos de financiamiento

El Gobierno realizó un acuerdo en torno al precio con Biogen en 2019 para el Spinraza:

- Dosis efectiva estimada de aprox. 260 en los pacientes con AME
- El acuerdo en torno al precio del Spinraza se vio impulsado por la fuerte defensa de los PAG con el Gobierno

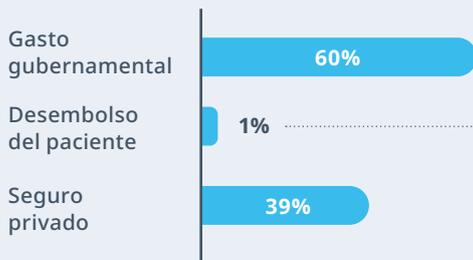
Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



En general, el gasto para la atención médica en Sudáfrica tiene el impulso principal del Gobierno y los seguros privados, con baja prioridad para las ER



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica

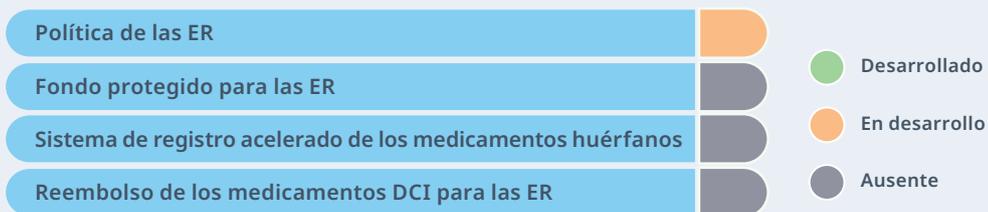


La contribución con desembolso del paciente para el gasto general para la atención médica está actualizada

- Población con cobertura del Cuadro Tarifario Uniforme para Pacientes (Uniformed Patient Fee Schedule): aprox. 84 %
- Población con la cobertura de seguro privado: aprox. 16 %



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Barreras geográficas (es decir, falta de acceso en las áreas rurales)
- Instalaciones de diagnóstico y servicios limitados
- Falta de especialistas
- Reembolso limitado para medicamentos innovadores
- Retraso en el registro de los medicamentos innovadores



Programas continuos de financiamiento

- PAG: Enfermedades Raras Sudáfrica (RDSA) está desarrollando una estructura de las ER para el sector privado con el fin de:
- Desarrollar una definición nacional de las ER
 - Abogar por la exclusión de los medicamentos para las ER de la política de precio de salida único

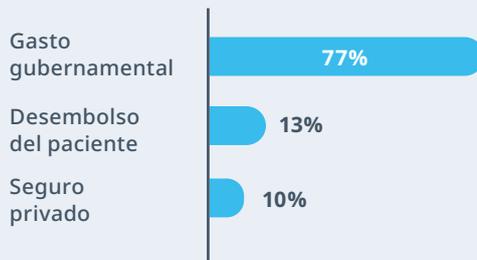
Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



Tailandia es un mercado dirigido por el Gobierno con desarrollo reciente en el panorama de las ER, que cubre 24 ER dentro del UCS



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



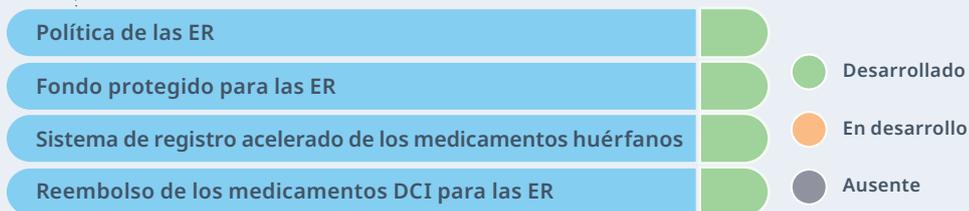
- Población con cobertura de programas de asistencia social: aprox. 100 %
- Población con cobertura de seguro privado: aprox. 13 %

Programas de asistencia social: Programa de Beneficios Médicos para Funcionarios Públicos (CSMBS), Programa de Cobertura Universal (UCS), Programa de Seguro Social (SSS)



Políticas e iniciativas para las ER

Clasificaciones actualizadas según el desarrollo más reciente de la política en torno a las ER en 2019



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Diagnóstico retrasado y erróneo debido al poco conocimiento sobre la enfermedad de los pacientes y los profesionales de la salud
- Falta de especialistas capacitados
- Reembolso limitado para medicamentos innovadores
- Poco acceso a los tratamientos en las áreas rurales



Programas continuos de financiamiento

En 2019, la Oficina Nacional del Seguro Social de Tailandia aceptó cubrir 24 enfermedades raras bajo el Programa de cobertura universal de salud:

- Fondo protegido para las 24 ER: aprox. USD 415 mil
- Sin embargo, las 24 ER se centran en los trastornos metabólicos raros.

Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



Líbano

Líbano es un mercado impulsado públicamente con iniciativas gubernamentales limitadas en torno a las ER



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



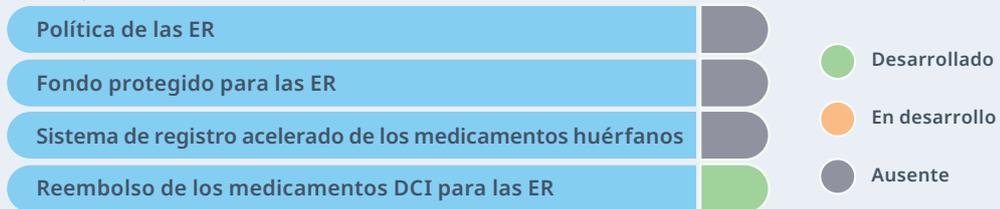
- Población con cobertura de programas de asistencia social: aprox. 92 %
- Población con cobertura de seguro privado: aprox. 5 %

Programas sociales: Fondo de seguridad nacional, Programa MoPH y Programa militar.



Políticas e iniciativas para las ER

Clasificación actualizada según el estado más reciente de la asignación protegida para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Acceso limitado a las instalaciones de diagnóstico y los servicios (especialmente en las áreas rurales)
- Poco conocimiento de las ER
- Falta de especialistas capacitados
- Acceso o reembolso limitado para medicamentos innovadores de alto costo



Programas continuos de financiamiento

PAG – L.A.N.D:

- Proporciona cuidado de apoyo (por ejemplo: guías médicas y equipo de apoyo) a pacientes con enfermedades neuromusculares.
- Financia el diagnóstico y los tratamientos sintomáticos

Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



El panorama de las ER en Marruecos está en una etapa temprana de desarrollo, con la reciente formación del Programa Nacional para las Enfermedades Raras en 2019



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica

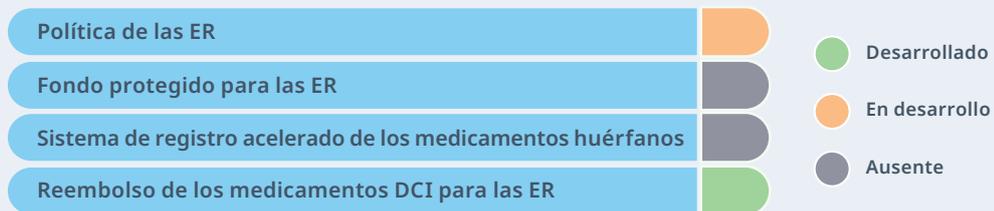


Programas sociales: Plan de Seguro de Salud Obligatorio (AMO) y Programa de asistencia médica (RAMED)

- Población con cobertura de programas de asistencia social: aprox. 53 %
- Población con cobertura de un programa militar: aprox. 3 %
- Población con cobertura de seguro privado: aprox. 4 %



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Especialistas en las ER, centros de diagnóstico y centros de especialización limitados
- Diagnóstico retrasado y erróneo debido al poco conocimiento sobre la enfermedad de los profesionales de la salud y los pacientes
- Poca accesibilidad económica a los medicamentos innovadores para las ER
- Cobertura débil de reembolso de los medicamentos innovadores para las ER



Programas continuos de financiamiento

Asociación pública-privada con Sanofi para el desarrollo del Programa nacional para las Enfermedades Raras:

- Capacitar a los profesionales de la salud para el diagnóstico y tratamiento de las ER
- Abrir centros de especialización en las ER en los hospitales de las universidades principales
- Desarrollar un registro nacional de las ER

Nota: el estado actual de la PPP sigue poco claro debido al cambio del ministro de salud de Marruecos.

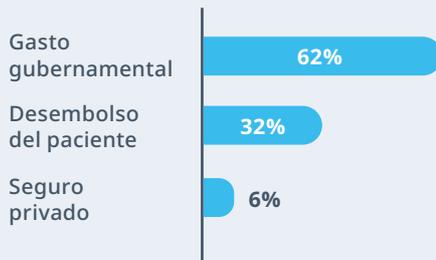


Perú

Perú es un mercado dirigido por el Gobierno con un panorama en desarrollo en torno a las ER



Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica

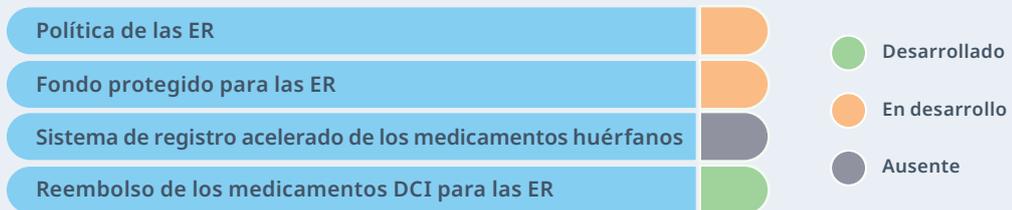


- Población con cobertura de los programas de asistencia social: aprox. 83 %
- Población con cobertura de seguro privado: aprox. 4 %

Programas sociales: Seguro Social de Salud (EsSalud) y Seguro Integral de Salud (SIS)



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Barreras geográficas (es decir, falta de acceso en las áreas rurales)
- Instalaciones de diagnóstico y servicios limitados
- Falta de especialistas capacitados y centros de tratamiento
- Retraso en el acceso a los tratamientos
- Reembolso limitado para medicamentos innovadores de alto costo



Programas continuos de financiamiento

- PAG – FEPEP:
- Proporciona apoyo y asesoría a los pacientes
 - Ayuda en la recaudación de fondos para el cuidado de apoyo para las ER
 - Divulga información médica, científica y social en torno a las ER a través de los medios de comunicación, eventos y campañas de concientización

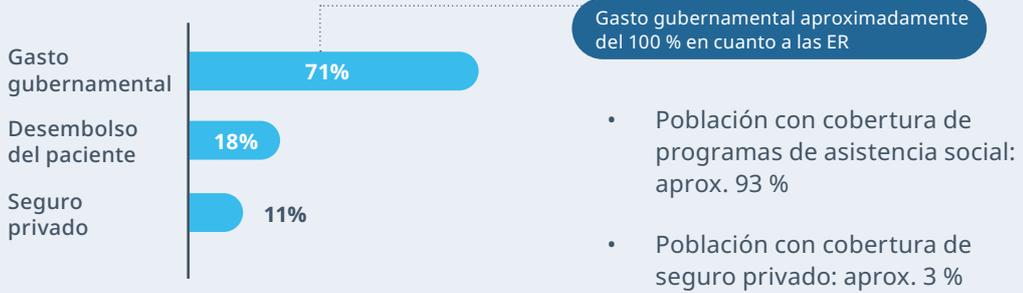
Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis



Colombia es un mercado dirigido por el Gobierno con un panorama todavía en desarrollo en torno a las ER, con necesidades insatisfechas en cuanto a las políticas y la gestión de las enfermedades



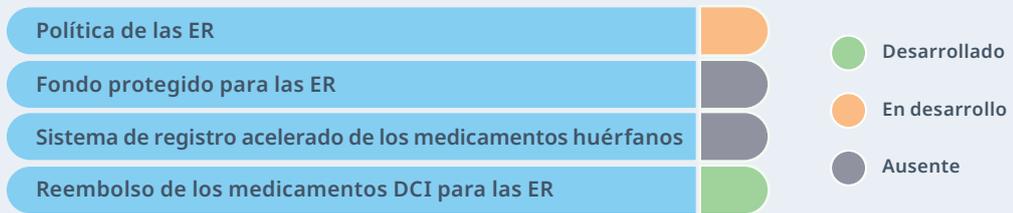
Perspectiva de los responsables del pago: Gasto general en la atención médica



Programas sociales: programa contribuyente y programa subvencionado



Políticas e iniciativas para las ER



Necesidades insatisfechas del sistema de tratamiento

- Barreras geográficas (es decir, falta de acceso en las áreas rurales)
- Instalaciones de diagnóstico y servicios limitados
- Falta de especialistas capacitados
- Retraso en el acceso a los tratamientos
- Reembolso limitado para medicamentos innovadores



Programas continuos de financiamiento

- PAG – FUPER:
- Establece alianzas entre los profesionales de la salud y los centros de investigación universitarios
 - Asiste en el diagnóstico de las ER y la administración clínica
 - Informa al público acerca de las ER

Fuente: pronóstico del mercado de IQVIA, entrevistas con expertos y análisis

Perspectiva de los expertos externos

Recomendaciones de los expertos para la implementación de programas innovadores de financiamiento.

Los expertos consultados como parte de esta evaluación propusieron la necesidad de abordar cinco áreas estratégicas en la implementación de un programa innovador de financiamiento que involucra a un entorno de varias partes interesadas:

- 1 Conocimiento sobre la enfermedad:** el conocimiento debería centrarse más allá del aspecto económico de la enfermedad (por ejemplo, incluido el aspecto psicosocial de la enfermedad).
- 2 Perspectiva del paciente:** incluye la perspectiva de los pacientes para desarrollar un mensaje impactante y alinear a las partes interesadas principales (por ejemplo, los responsables del pago) con respecto a los incentivos o las oportunidades.
- 3** Los países deberán modificar las **decisiones en torno al reembolso** para mejorar el acceso a los medicamentos huérfanos:
 - **Adoptar una estructura de evaluación** de la tecnología médica multidisciplinaria basada en la evidencia y no centrada únicamente en la rentabilidad.
 - **La adopción de mecanismos específicos** de pago para adaptarse a la alta incertidumbre en relación con la eficacia de los medicamentos huérfanos y para la generación de datos, como un acuerdo de distribución de riesgos.
- 4 Participación de las personas e instituciones responsables del pago y de la creación de políticas:** comunicación de una voz unificada en conjunto con datos de apoyo (por ejemplo, un estudio del efecto económico y psicosocial de las enfermedades raras) para abrir la conversación sobre las soluciones para el financiamiento sustentable.
- 5 Soluciones sustentables:** garantizar que las soluciones creadas se basen en esfuerzos continuos y sustentables (por ejemplo: asociaciones que satisfagan el interés colectivo y de las partes interesadas individuales).



Conclusión



En todos los países, las enfermedades raras presentan múltiples desafíos para el acceso de los pacientes a la atención médica, uno de los cuales es la falta de financiamiento sustentable. Este estudio presenta un compilado de valiosas perspectivas sobre el estado de la cobertura de las ER en los PIMB que permitirá un mayor acceso a los pacientes con enfermedades. Los resultados muestran que la brecha actual en el financiamiento de las enfermedades raras es significativa y, si no se toman medidas al respecto, crecerá.

La investigación indica que la mayoría de los PIMB que formaron parte del estudio tienen un entorno subdesarrollado para el financiamiento público de las enfermedades raras. Es poco común el reembolso público para los costosos medicamentos innovadores para tratar las enfermedades raras. La cobertura de los seguros privados para las ER es muy baja en todos los países evaluados. Además, en la mayoría de los PIMB son poco comunes los registros de pacientes y los sistemas específicos para el registro para el tratamiento de las enfermedades raras.



El desafío para las instituciones y personas responsables de la creación de políticas y las partes interesadas en las enfermedades raras, como las organizaciones de pacientes y el sector privado, será identificar las soluciones de financiamiento más adecuadas para su sistema de salud y las necesidades de la población, así como la forma de adoptarlas de manera sustentable. También es prioridad el desarrollo de evidencias adecuadas para la priorización del financiamiento de las enfermedades raras y su complementación con una guía estratégica acerca de la forma de abordar las soluciones de financiamiento y subvención. Además, será fundamental centrarse en identificar las mejores prácticas y los aprendizajes clave de experiencias internacionales similares e identificar a los expertos externos que puedan promover debates con personas o instituciones clave en la toma de decisiones, con el fin de crear las soluciones innovadoras necesarias.

Así mismo, en el caso de los sistemas dirigidos por la evaluación de la tecnología médica en el futuro, las partes interesadas en el ámbito de las enfermedades raras tendrán que colaborar con diversos sistemas de salud para potenciar las estructuras multidisciplinarias en la evaluación de la tecnología médica y no centrarse únicamente en la rentabilidad. Por último, será fundamental promover la colaboración local o regional del uso compartido de datos de las ER para afrontar la falta de datos de los pacientes (por ejemplo, el uso de datos reales para complementar las decisiones de reembolso basadas en las evidencias).



Todas las diferentes partes involucradas con las enfermedades raras necesitan comenzar un diálogo para desarrollar soluciones de financiamiento sustentables y ofrecer en conjunto un mensaje sólido a las personas e instituciones responsables del pago y la creación de políticas, acerca de la urgencia de reducir la falta de financiamiento de las ER. La presentación de evidencias sólidas sobre las brechas de financiamiento, los informes oficiales y los estudios de impacto sobre la administración de las ER y el cuidado de los pacientes y su familia representarán un papel fundamental en la catalización de las soluciones estratégicas.

“Será fundamental centrarse en identificar las mejores prácticas y los aprendizajes clave de experiencias internacionales similares e identificar a los expertos externos que puedan promover los debates con personas o instituciones clave en la toma de decisiones.”

Reconocimientos

Este informe del panorama contó con el respaldo del equipo de Healthcare Funding & Financing (HFF) de Roche Global Access.

Agradecemos a la increíble red de integrantes del Gobierno, de las ONG y del sector industrial que compartieron sus visiones y experiencias, las cuales fueron de gran ayuda para la investigación y los estudios de caso, y que también aportaron comentarios que mejoraron en gran medida la interpretación de la información y las repercusiones de este trabajo.

También queremos agradecer la colaboración de Wendy Kee y Mina Sun, del equipo de IQVIA designado para apoyar el proyecto.

También queremos reconocer las contribuciones de R. Rajakanth, director ejecutivo de Rainbow Across Borders y asesor principal de Manifeste, y a la Dra. Camila Ignacia Quirland Lazo, directora de la Unidad de Evaluación de la Tecnología Médica del Instituto de Oncología.

Para más información, póngase en contacto con:

Pablo Morales pablo.morales@roche.com

Fernando Arnaiz fernando.arnaiz@roche.com

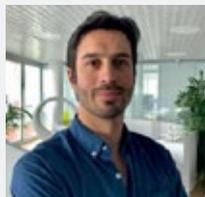
Marie Beille marie.beille@roche.com

Referencias

1. Defining rare diseases in China, Yazhou Cui and Jinxiang Han, *Intractable Rare Dis Res.* 2017 May; 6(2): 148–149
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5451750>
2. Malaysia community rare disease cases
<http://www.mrds.org.my/2008%20Rare%20Disorders%20MRDS.pdf>
3. Romania community rare disease cases
Web article. "Orphan drugs and rare diseases in Romania". Pharma Boardroom. Last accessed on October 5 2021
<https://pharmaboardroom.com/legal-articles/orphan-drugs-rare-diseases-romania/>
4. Web article. "Rare diseases". Findacure. Last accessed on April 17 2020.
<https://www.findacure.org.uk/rare-diseases/>
5. Web article. "Cancer". Our World in Data. Last accessed on April 17 2020.
<https://ourworldindata.org/cancer>
6. Atun Rifat, Silva Sachin et al. Innovative financing instruments for global health 2002–15: a systematic analysis. *The Lancet*, Volume 5, Issue 7. Published July 2017.
[https://www.thelancet.com/journals/langlo/article/PIIS2214-109X\(17\)30198-5/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/langlo/article/PIIS2214-109X(17)30198-5/fulltext)
7. He J, Kang Q, Hu J, Song P, Jin C. China has officially released its first national list of rare diseases. *Intractable Rare Dis Res.* 2018 <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5982625/>

Acerca de los autores

Este informe del panorama fue un encargo del equipo de Healthcare Funding & Financing (HFF) de Roche Global Access y contó con la producción de IQVIA Consulting Services en Asia-Pacífico.



PABLO MORALES

Jefe de Health Impact,
organización Global Access,
Roche

pablo.morales@roche.com

Pablo es director de Health Impact en la organización Global Access de Roche, con sede en Basilea, Suiza. En su cargo, Pablo trabaja junto a actores del sector público y privado para reformular el modo en el que las finanzas pueden mejorar el acceso a la atención sanitaria en todo el mundo. Actualmente explora la forma en la que los nuevos desarrollos en tecnofinanzas e inversión de impacto pueden fortalecer el aporte de fondos al sistema de salud en países de ingresos bajos y medios. Al haberse desempeñado en las principales empresas de consultoría en los mercados de América Latina y EE. UU. y en el Banco Interamericano de Desarrollo, aporta su experiencia tanto en consultoría estratégica como en políticas. Realizó sus estudios universitarios en Ingeniería Industrial y tiene el título de maestría en Economía de la Salud, de la Universidad de Queensland, en Australia.



FERNANDO ARNAIZ

Jefe de Health Impact,
organización Global Access,
Roche

fernando.arnaiz@roche.com

Fernando es líder de Health Impact en la organización Global Access de Roche, con base en Basilea, Suiza. En su puesto, se centra en dar forma al aporte de fondos innovador sostenible y las soluciones de accesibilidad, y trabaja en conjunto con actores públicos y privados para forjar alianzas y asociaciones estratégicas. Como líder mundial en políticas de salud y acceso al mercado, aporta más de 15 años de experiencia y trabajó en el desarrollo de soluciones para el aporte de fondos y financiamiento en más de 20 países en todo el mundo. Tiene un título universitario en Administración, de la Universidad de Buenos Aires (Argentina), así como un título de maestría en Economía de la Salud y Farmacoeconomía, y en Administración Pública y Gobierno en América Latina, ambas en la Universitat Pompeu Fabra, de España.

**WILL BROWN**

Director adjunto, Servicios de consultoría, IQVIA, Asia-Pacífico

william.brown@iqvia.com

Will es responsable de la dirección de los proyectos regionales y mundiales de consultoría estratégica en IQVIA Asia-Pacífico, desde Kuala Lumpur, Malasia. En su puesto actual, Will se especializa en el acceso al mercado y los sistemas de salud globales, y brinda asesoramiento a actores sectoriales, gubernamentales y organizaciones de salud globales. Al comenzar su trayectoria profesional en Europa y continuar en el sudeste asiático ha ganado una vasta experiencia en los mercados de la atención sanitaria en todo el mundo, tanto desarrollados como emergentes. Tiene un título de maestría en Ingeniería Química del Imperial College de Londres, Reino Unido.

**RUTHIE BURR**

Directora de Enterprise Marketing, IQVIA, Asia-Pacífico

ruth.burr@iqvia.com

Ruthie es la responsable del marketing empresarial regional, las actividades de salida al mercado y el liderazgo intelectual en IQVIA Asia-Pacífico. Ruthie trabaja en varias áreas de soluciones comerciales y clínicas de IQVIA, así como en las submarcas de IQVIA (Consumer Health, MedTech, Technologies y Biotech) Gracias a su desempeño en las principales empresas farmacéuticas en las áreas de evaluación de mercado, salud de marca y proyectos de estudio del panorama competitivos en toda la región, aporta su experiencia en consultoría estratégica e investigación de mercado. Es licenciada en Ciencias Biomédicas de la Universidad de Warwick, Reino Unido.

Acerca de IQVIA Asia-Pacífico

IQVIA (NYSE:IQV) es proveedora líder del mundo de soluciones avanzadas de analítica y tecnología, así como de servicios de investigación clínica en el sector de las ciencias biológicas. IQVIA genera conexiones inteligentes entre todos los aspectos de la atención sanitaria mediante sus analíticas, tecnología transformadora y fuentes de “big data”, y su extensa experiencia en el área. IQVIA Connected Intelligence™ ofrece con velocidad y agilidad perspectivas de gran alcance, con lo que permite a sus clientes acelerar el desarrollo clínico y comercializar los tratamientos médicos innovadores que mejorarán los resultados en la salud de los pacientes.

Con aproximadamente 70 000 empleados, IQVIA realiza operaciones en más de 100 países. Con su sede principal regional en Singapur y oficinas en 15 países, IQVIA Asia-Pacífico proporciona servicios y soluciones basados en tecnología para satisfacer las crecientes y rápidamente cambiantes necesidades de los clientes, tanto locales como multinacionales, con operaciones en Asia-Pacífico. IQVIA está comprometida con el avance de la atención sanitaria al ofrecer perspectivas basadas en la evidencia y una profunda experiencia en el área del liderazgo intelectual, con el fin de mejorar la comprensión y acelerar la innovación en el ecosistema de la atención sanitaria.

Para obtener más información, visite:

<https://www.iqvia.com/locations/asia-pacific>

Acercas de Roche

Roche es pionera mundial en farmacéutica y diagnóstico, centrada en el avance de la ciencia para mejorar la vida de las personas. La combinación de las fortalezas de la farmacéutica y el diagnóstico, así como de las habilidades crecientes en el área del conocimiento médico basado en los datos, ayuda a Roche a ofrecer atención sanitaria verdaderamente personalizada. Roche colabora con socios de todo el sector de la atención sanitaria con el fin de ofrecer el mejor cuidado a cada persona. El Grupo Roche, con sede en Basilea, Suiza, está activo en más de 100 países y en 2020 contrató a más de 100 000 personas en todo el mundo.

Para obtener más información, visite:

<https://www.roche.com/>

CONTÁCTANOS

79 Anson Road #19-01
Singapore 079906

