

Informe oficial

# Modelos innovadores de financiamiento para el tratamiento de enfermedades raras

*Un estudio global de nuevas soluciones de financiamiento  
de enfermedades raras*

A SOLICITUD DE ROCHE  
PREPARACIÓN DE IQVIA



# Tabla de contenidos

<b>Resumen ejecutivo</b>	<b>3</b>
Resultados	3
El mundo después de la COVID-19	4
<b>Introducción</b>	<b>5</b>
Panorama general de las enfermedades raras	5
<b>Resultados del estudio</b>	<b>7</b>
Países involucrados en el estudio	7
<b>Archivo de soluciones de financiamiento de las enfermedades raras</b>	<b>9</b>
Estudios de caso de las enfermedades raras	12
Planes gubernamentales de financiamiento	12
Seguros privados novedosos	15
<b>Comentarios de expertos sobre la implementación</b>	<b>17</b>
<b>Conclusión</b>	<b>18</b>
<b>Reconocimientos</b>	<b>19</b>
<b>Referencias</b>	<b>20</b>
<b>Acerca de los autores</b>	<b>22</b>
<b>Acerca de IQVIA Asia-Pacífico</b>	<b>23</b>
<b>Acerca de Roche</b>	<b>23</b>

# Resumen ejecutivo

Las enfermedades raras (ER) tienen, por naturaleza, un grupo de pacientes pequeño y disperso, por lo que, a menudo, su atención no se encuentra entre las más altas prioridades de los Gobiernos. Históricamente, esto lleva a que a nivel mundial 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.



Ya que el financiamiento de las ER es un gran desafío internacional, con significativas necesidades insatisfechas, es vital la

colaboración entre sistemas de salud para resolver las dificultades del desalentador acceso sustentable al tratamiento. IQVIA y Roche, como sociedad, han identificado estos desafíos que se enfrentan en el acceso de las ER y los estudios de caso claves con el fin de ayudar a desarrollar soluciones estratégicas de financiamiento y aportación de fondos para el tratamiento de enfermedades raras.

De forma global, hay varias iniciativas específicas para afrontar los desafíos del financiamiento para el acceso al tratamiento de las enfermedades raras. Estas involucran la colaboración entre la comunidad de las ER para comprender mejor el panorama de financiamiento de las ER en los países, apoyar el desarrollo de las soluciones de financiamiento, ofrecer innovación a la sociedad a un menor costo y, por último, generar acceso para los pacientes con ER.

Este informe se realizó a solicitud de Roche y se llevó a cabo una serie de estudios de investigación con el objetivo de comprender las características de los modelos de financiamiento disponibles en todo el mundo para el tratamiento de las enfermedades raras. Con este objetivo, IQVIA y Roche observaron un subconjunto de 40 países distribuidos en todas las regiones: África, América del Norte, Asia-Pacífico (APAC), Europa, Medio Oriente y América Latina (LATAM). El enfoque principal de la investigación fue identificar los modelos financieros que pudieran aumentar el acceso de los pacientes al tratamiento.



## Resultados

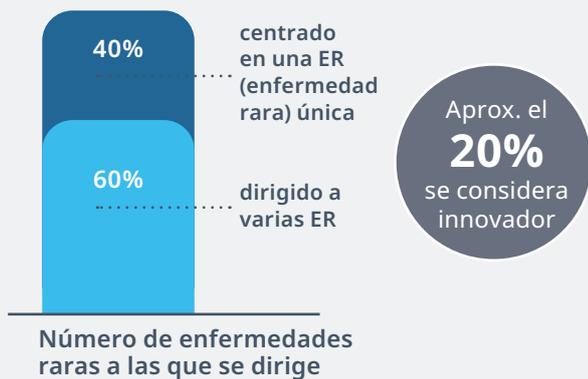
Se identificaron varios desafíos en muchos países en torno a la asignación de fondos, y muchos de ellos no cuentan con estrategias y leyes sólidas que garanticen el suministro continuo de fondos para las enfermedades raras. Mediante una estrategia mixta con la revisión de publicaciones, expertos en cada país y entrevistas con expertos en materia de salud, **se identificaron 134 estudios de caso diversos e internacionales de financiamiento de enfermedades raras en más de 40 países**. Se encontró que la mayoría de las iniciativas de financiamiento se concentran en Europa y América del Norte, ya que la mitad de los estudios de caso identificados provienen de países en estas regiones. Los casos en APAC y América Latina representan el 18 % y el 16 %, respectivamente. En relación con el alcance y rango de los modelos, muchos se consideran “pequeños” según el número de pacientes y el tamaño del fondo.

**134** estudios de caso globales de enfermedades raras en 40 países

Aproximadamente el **50%** de los países en América del Norte y Europa

Muchos se consideran “pequeños” según el número de pacientes y el tamaño del fondo.

La mayoría de los programas se centran en la recaudación de fondos, las donaciones o el acceso de los pacientes.



Fuente: Combinación de revisión bibliográfica y entrevistas a expertos

Los resultados muestran que la mayoría de los programas de financiamiento están dirigidos a más de una enfermedad rara, en los que el 60 % está dirigido a varias ER y el 40 % se centra en una ER única. En los sistemas de salud de todos los países, la mayoría de los programas se centran en la recaudación de fondos, las donaciones y los programas de acceso para los pacientes, y solo aprox. el 20 % de los programas de financiamiento pueden considerarse innovadores (por ejemplo: seguros privados, instrumentos financieros o intervenciones del Gobierno). Esto indica que, en comparación con otras enfermedades no transmisibles (ENT), como las oncológicas, en el espectro de las enfermedades raras hay una necesidad de iniciar modelos de financiamiento más complejos para abrir las puertas a nuevas fuentes de fondos que garantizarían la sustentabilidad de las soluciones.

Sin embargo, hay algunos ejemplos de modelos de financiamiento que muestran innovación en la movilización o el acopio de los recursos. Algunos ejemplos incluyen las alianzas publico-privadas para el acopio de recursos. Por ejemplo, en Escocia, el Nuevo Fondo de Medicina proporciona acceso a medicamentos huérfanos, de forma

similar al Fondo de Medicamentos para el Cáncer en Inglaterra. Recientemente, Singapur estableció un nuevo Fondo para las Enfermedades Raras, específicamente para apoyar a los pacientes con ER. Este fondo aprovecha la combinación de donaciones con la contribución equivalente del Gobierno para ayudar a los ciudadanos de Singapur con enfermedades raras específicas que requieren tratamiento con medicamentos de alto costo.

El desafío para las instituciones y personas responsables de la creación de políticas y las partes interesadas en relación con 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 capacidad de adoptarlas de manera sustentable. También es prioridad el desarrollo de evidencias adecuadas para la priorización del financiamiento de las enfermedades raras y complementarlo 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.

Las asociaciones serán fundamentales para la creación de programas holísticos centrados en más de un área de las enfermedades raras. Los grupos de pacientes, los proveedores, las ONG, las fundaciones, las empresas de biotecnología y las comunidades médicas son quienes ejercen la mayor influencia en la elaboración de políticas, y pueden ser socios potenciales para el aporte de fondos y la implementación.



## 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 bajo una impresionante presión para satisfacer las necesidades médicas de la población. 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 estrategias colaborativas no tradicionales, lo que mejorará la eficacia y generará una mayor presencia de las soluciones de financiamiento de instituciones públicas y privadas.

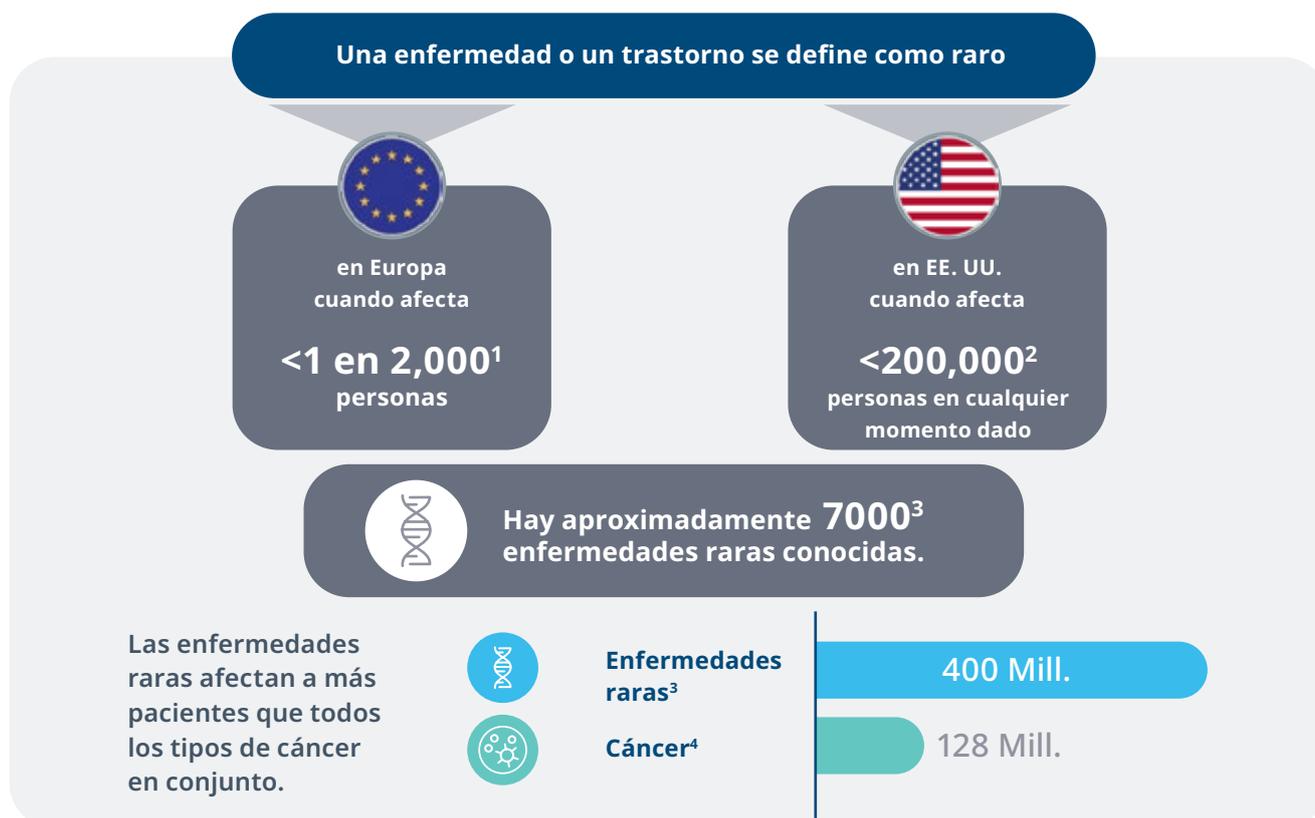
## Introducción

### Panorama general de las enfermedades raras

Una enfermedad rara es aquella que afecta a un pequeño porcentaje de la población. No hay un consenso global en cuanto a la definición, y esta varía entre regiones y países. Para este informe, limitamos nuestro alcance a las enfermedades raras sin apoyo de fuentes adicionales de financiamiento, con lo cual quedan excluidos los cánceres raros, cuyos pacientes se benefician de los fondos para el cáncer.

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*

Imagen 1: Definición y prevalencia globales de las enfermedades raras



Un desafío inherente para las enfermedades que afectan únicamente a un reducido porcentaje de la población es que hay una mayor complejidad en el financiamiento y los obstáculos para el acceso, en comparación con las enfermedades más comunes. 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.

Muchas enfermedades raras no 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 (HTA, por sus siglas en inglés).
- Los medicamentos huérfanos tienen pocas oportunidades de reembolso al usar el criterio 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.

A menudo, la combinación de estos desafíos enfrenta a los pacientes a la elección entre la catástrofe económica o el abandono del tratamiento.

Es necesaria la colaboración en todo el sistema de salud para lidiar con estos desafíos sistémicos. Por ejemplo, la disposición de capacitación y desarrollo 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 enorme en las familias y los cuidadores.

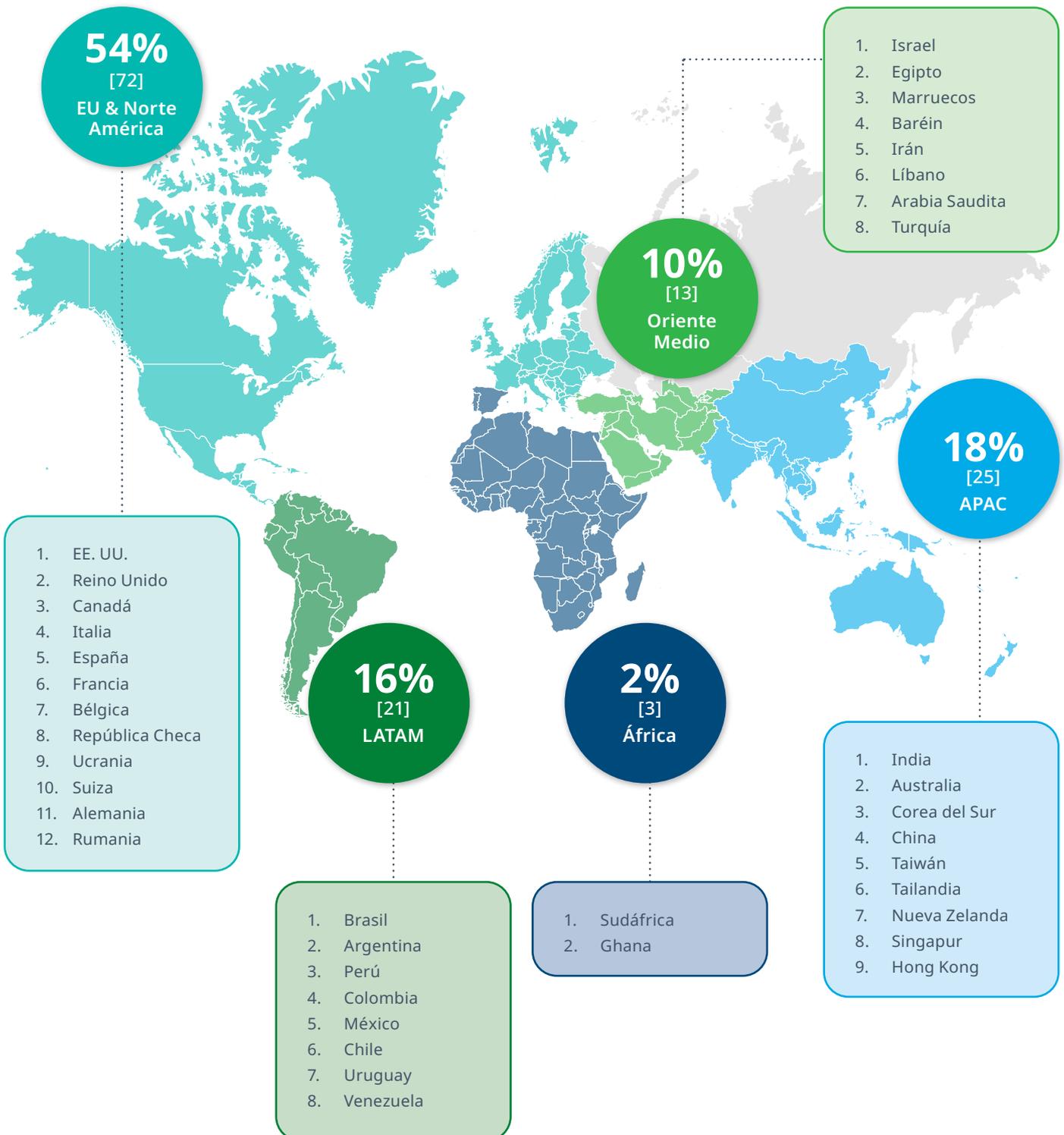
En las últimas dos décadas, muchos países han tomado medidas para enfrentar los problemas mencionados anteriormente, pero todavía queda mucho por mejorar. El innovador financiamiento nacional debe sostenerse y expandirse con el fin de abordar con eficacia estas complejas brechas de financiamiento.

# Resultados del estudio

## Países involucrados en el estudio

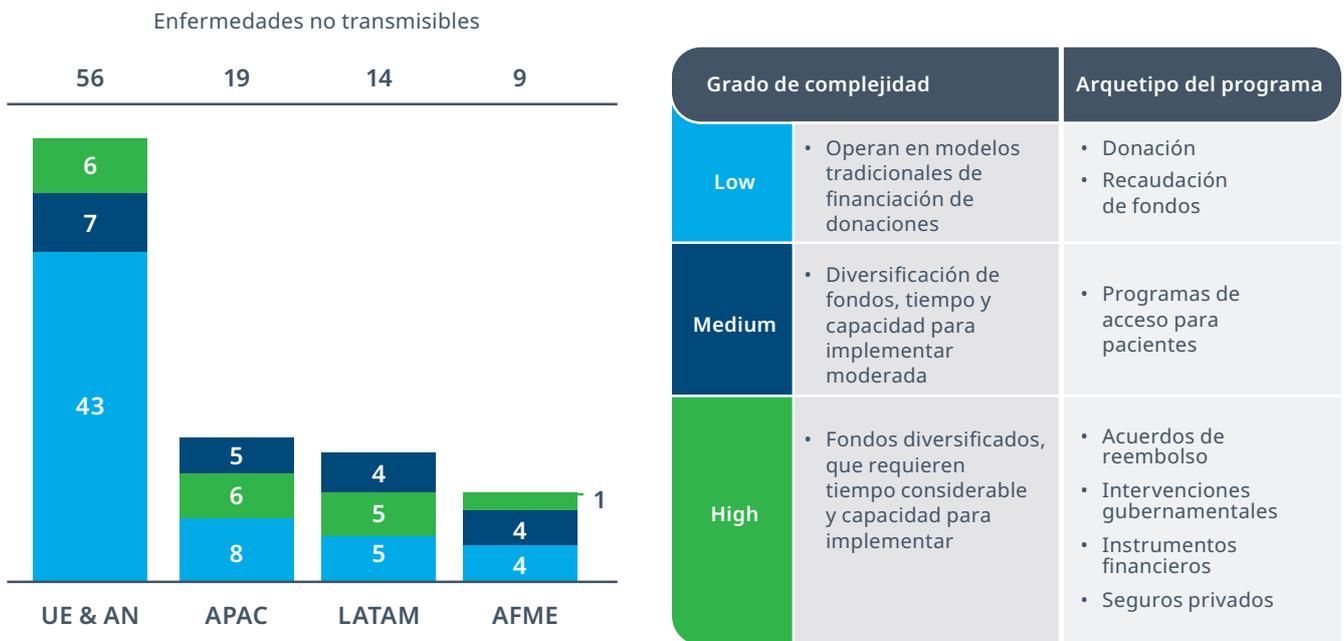
Este estudio se centra en la comprensión de las características de los modelos innovadores de financiamiento que se han aprovechado en todo el mundo para aumentar el acceso para las enfermedades raras. Como parte de la investigación, se identificaron estudios de caso en más de 40 países, como se muestra en la *Imagen 2*.

Imagen 2: Países con modelos de financiamiento identificados



La mayoría de los mecanismos de financiamiento identificados en este estudio se encontraron en América del Norte y Europa, los cuales representan un poco más de la mitad de los modelos. El origen de los casos restantes se puede encontrar en tres bloques, en los que APAC y LATAM tienen un número similar de iniciativas, y el Medio Oriente en conjunto con África tienen menor representación.

**Imagen 3: Desglose de los tipos de programas de financiamiento de las enfermedades raras por región y nivel de complejidad**



La distribución de la prevalencia de los mecanismos de financiamiento es consistente con los descubrimientos del informe sobre el entorno y las oportunidades de financiamiento de las enfermedades raras en los países de ingresos mediano-bajos (PIMB) acerca del estado de la cobertura de las ER en diez PIMB, donde mostró que muchas economías en desarrollo comparten múltiples desafíos relacionados con la administración de las ER, los cuales incluyen inversión y priorización insuficientes para estas enfermedades. Sin embargo, como se muestra en la *Imagen 3*, la parte de modelos altamente innovadores como porcentaje del total de los mecanismos de financiamiento es más grande en APAC y LATAM.

*“Es necesaria la colaboración en todo el sistema de salud para lidiar con estos desafíos sistémicos. No afrontar las enfermedades raras a nivel normativo y sistémico ocasionará el abandono de las personas más vulnerables de la sociedad.”*

# Archivo de soluciones de financiamiento de las enfermedades raras

Para comprender mejor los distintos tipos de programas de financiamiento de las enfermedades raras, el marco de los modelos innovadores de financiamiento que se presenta en el informe Modelos innovadores de financiamiento para las enfermedades no transmisibles de alto costo ayuda a describir el financiamiento y la aportación de fondos innovadores en función del componente del modelo. La *imagen 4* presenta los cinco arquetipos principales.

Como parte de este estudio de investigación, se creó un archivo de enfermedades raras con los 134 diferentes estudios de caso de financiamiento de enfermedades raras identificados globalmente. Como se ha mencionado, la mayoría de los estudios de caso se originan en Europa y en América del Norte, y pueden considerarse pocos en escala (según el número de pacientes y el valor de los fondos). La *Imagen 5* muestra un desglose visual del tipo de estudios de caso categorizados según los arquetipos del programa.

**Imagen 4: Desglose de los tipos de programas de financiamiento de las enfermedades no transmisibles**

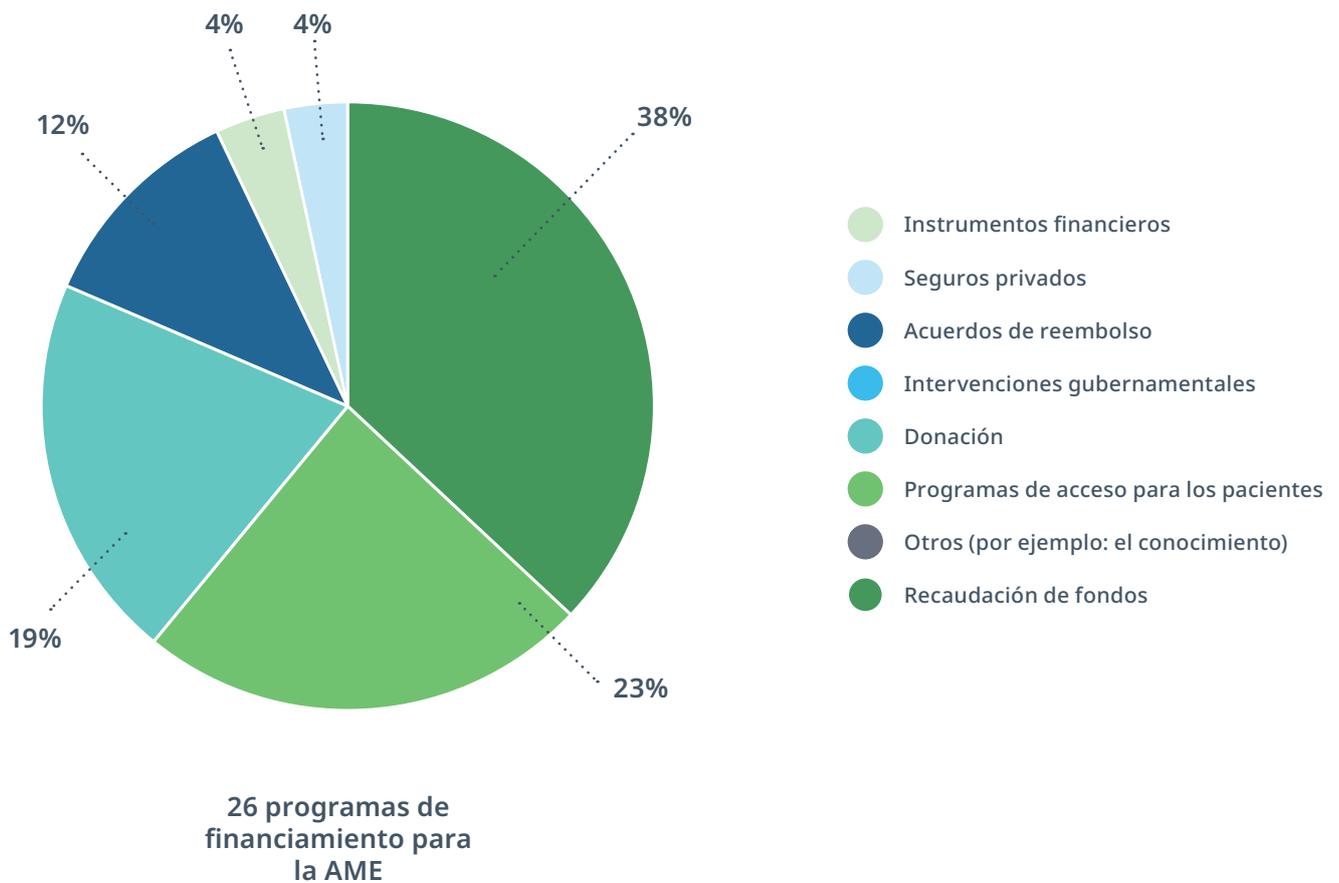


Figure 5. Los cinco arquetipos de aporte de fondos y financiamiento innovadores

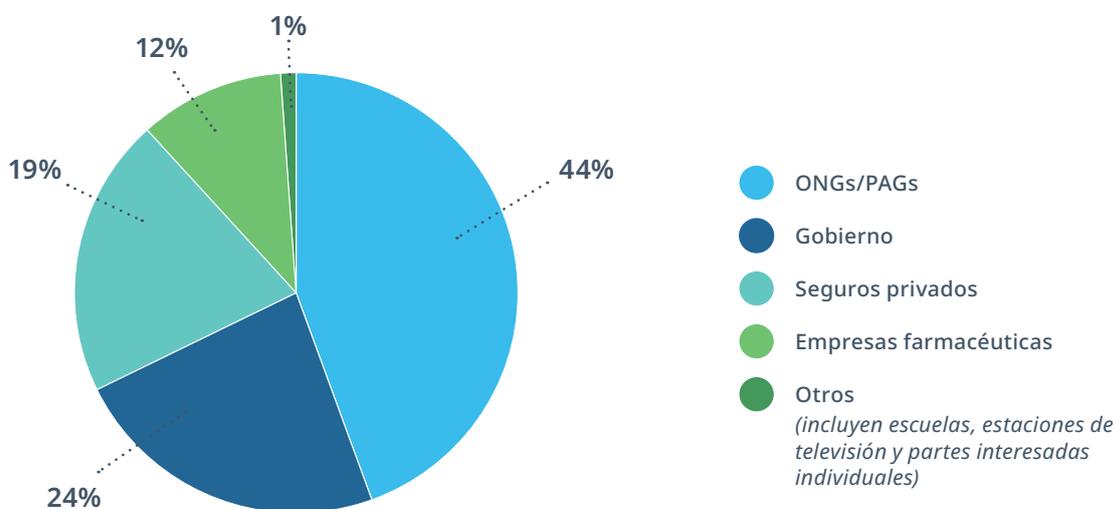


La mayoría de los programas identificados para las enfermedades raras se centran en los arquetipos de recaudación de fondos, programas de acceso para los pacientes y donaciones, ya que la estructura para el financiamiento de enfermedades raras sigue en desarrollo en todo el mundo. Solo aproximadamente el 20 % de los programas de financiamiento identificados pueden considerarse innovadores (por ejemplo: la intervención del Gobierno), lo que genera una oportunidad para que los programas innovadores de financiamiento abran las puertas a nuevas fuentes de fondos para desplegar beneficios para los pacientes con la necesidad de financiamiento.

La innovación en el financiamiento puede provenir de la creación de una nueva fuente de fondos o reservas, la colaboración con partes interesadas no tradicionales para la formación de un nuevo mecanismo o el aprovechamiento de desarrollos tecnológicos para afrontar el desafío económico.

Además, observamos quiénes son las principales partes interesadas para la implementación de modelos de financiamiento. La Imagen 6 muestra que las organizaciones no gubernamentales (ONG) o los grupos de defensa de los pacientes (PAG, por sus siglas en inglés) han sido las partes interesadas más importantes en el lanzamiento de modelos de financiamiento de las enfermedades raras. Este resultado es de esperarse debido a la alta participación y la historia de estas organizaciones en relación con las campañas de recaudación de fondos y donaciones. Además, el Gobierno y las empresas farmacéuticas representan un papel fundamental en el diseño y la implementación de este mecanismo de financiamiento. El resultado podría generar en el futuro compromisos de varias partes interesadas, en los que se podrían crear en conjunto programas de financiamiento entre las diferentes partes interesadas en el fortalecimiento del acceso de los pacientes con ER.

**Imagen 6: Partes interesadas clave para la implementación de los programas de financiamiento**



Grupos de interés principales	Actores principales	Arquetipo principal del programa de financiación
<b>ONGs / PAGs</b>	Organizaciones regionales / globales: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Global Genes</li> <li>• SMA Foundation</li> <li>• Cure SMA</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Recaudación de fondos</li> <li>• Donación</li> </ul>
<b>Gobierno</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministerio de Salud</li> <li>• Ministerio de Salud Pública</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Intervenciones gubernamentales</li> <li>• Programas de acceso para pacientes</li> <li>• Acuerdos de reembolso</li> </ul>
<b>Empresas farmacéuticas</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Biogen</li> <li>• Sanofi</li> <li>• Novartis</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Programas de acceso para pacientes</li> </ul>

# Estudios de caso de enfermedades raras

Los estudios de caso seleccionados en esta sección destacan las innovaciones en la recaudación o movilización de recursos para financiar los costos del tratamiento para los pacientes actuales y futuros con enfermedades raras. Se seleccionaron para exponer las posibilidades de soluciones innovadoras para hacer frente a las brechas de financiamiento en los países.

## Planes gubernamentales de financiamiento<sup>6-17</sup>

Estos son programas que buscan proporcionar cobertura financiera a través de prestaciones sociales y colaboraciones nacionales. Los fondos “especiales” son importantes para financiar las fuentes con el fin de garantizar los medicamentos para las personas con enfermedades raras. Estos son programas que buscan proporcionar cobertura financiera a través de prestaciones sociales y colaboraciones nacionales. Los fondos especiales pueden dividirse a grandes rasgos en fondos privados de beneficencia, fondos locales especiales y fondos nacionales especiales. Los fondos locales especiales habitualmente cuentan con la dirección de los Gobiernos o las instituciones locales y tienen la intención de ser un apoyo adicional más allá del seguro médico local. Los departamentos gubernamentales nacionales o las instituciones nacionales establecen fondos especiales nacionales y habitualmente tienen muchos sitios de proyectos en todo el país, con cobertura amplia.



### Planes gubernamentales de aporte de fondos *Fondos nacionales especiales*

Singapur



#### Fondo de Enfermedades Raras (RDF) de Singapur

Una asociación público-privada para proporcionar apoyo económico a largo plazo a los pacientes con enfermedades raras que requieran tratamientos con medicamentos de alto costo.



#### Diseño y oferta del programa

- Por cada SGD 1 de donación pública, el Gobierno triplicará el monto, con lo que aumentará su impacto
- Se ofrece una deducción de impuestos del 250 % a las donaciones elegibles
- Se publica el donante del RDF en el sitio web del KK Women's and Children's Hospital's (KKH) para dar un reconocimiento a los donantes del fondo



#### Las principales partes interesadas

- Ministro de Salud, de Singapur
- Comités nacionales de financiamiento (por ejemplo, SingHealth)
- ONG (por ejemplo: Community Chest de Singapur)
- Empresas privadas (por ejemplo: proveedores privados de seguros)
- Público general



#### Resultados

- Se han recaudado aproximadamente USD 70 millones hasta la fecha para apoyar a los niños con las siguientes enfermedades raras:
  - Anomalía en la síntesis de ácidos biliares
  - Enfermedad de Gaucher
  - Hiperfenilalaninemia
  - Enfermedad de Pompe



## Sistema integral de apoyo para las enfermedades raras de Taiwán

Desde 2000, Taiwán ha establecido un sistema eficiente para proteger y apoyar a los pacientes con enfermedades raras, que ofrece: asistencia legal, social y financiera en relación con la enfermedad.



### Diseño y oferta del programa

- Taiwán implementó la Ley del Control de las enfermedades raras y medicamentos huérfanos (2002) e introdujo el plan Cuidado y Servicios para las Enfermedades y los Trastornos Genéticos Raros (2007).
- Las políticas detallan la definición de las enfermedades raras y establecieron un comité de revisión, centrado en el registro, la prevención, el diagnóstico y el tratamiento de las enfermedades raras, la atención médica del paciente y la asistencia social, la protección legal y el apoyo financiero.



### Las principales partes interesadas

- Ministro de salud y bienestar, Taiwán
- Comité de enfermedades raras y revisión de fármacos
- Organizaciones de pacientes (por ejemplo: Fundación de Taiwán para las enfermedades raras)
- Organismo local de seguros médicos



### Resultados

- Ha establecido un sistema de apoyo de buen funcionamiento para las enfermedades raras.
- Dentro de los primeros 4 años, el Seguro Nacional de Salud (NHI, por sus siglas en inglés) cubrió más de 140 tipos de enfermedades raras, lo que redujo la carga económica para el paciente.
- El NHI tiene un fondo aparte que utiliza el 24,2 % de los impuestos del tabaco para pagar los gastos médicos por enfermedades raras y ofrecer asistencia económica sustentable.



## Fondos protegidos para las enfermedades raras en Rumania

Se ha creado un fondo protegido para proporcionar acceso equitativo y sustentable para las ER y los tratamientos con medicamentos huérfanos, y el cuidado de los pacientes que viven con una enfermedad rara en Rumania.



### Diseño y oferta del programa

- Un presupuesto dedicado de los fondos del Gobierno federal se asigna actualmente para cubrir al menos un tratamiento para las 27 enfermedades raras de la lista.
- Desde 2014, se ha adoptado el Plan Nacional para las Enfermedades Raras, con el fin de reconocerlas como prioridad en Rumania.
- Se fundó el Programa Nacional para el Tratamiento de las Enfermedades Raras a través de la legislación que aprueba la metodología de implementación de los programas nacionales para la salud pública.



### Las principales partes interesadas

- Ministerio de Salud, Rumania
- Alianza Nacional para las Enfermedades Raras de Rumania
- Consejo Nacional de Enfermedades Raras



### Resultados

- Se aseguró la parte designada de cobertura para las ER y el financiamiento para el tratamiento para la población de Rumania.
- En 2021, el presupuesto asignado específicamente para el Programa Nacional para el Tratamiento de las Enfermedades Raras sobrepasará los USD 90 millones.



## Financiamiento público para medicamentos innovadores en Italia

Italia asignó fondos especiales para medicamentos innovadores con diversos tipos de sistemas públicos de financiamiento según estado de la autorización del mercado para ofrecer a los pacientes un mayor acceso a los tratamientos para las enfermedades raras.



### Diseño y oferta del programa

- El sistema de salud nacional italiano tiene cobertura pública completa financiada principalmente a través del impuesto corporativo y del impuesto sobre el valor agregado.
- El fondo de 5 % de AIFA: La ley nacional permite a los médicos solicitar financiamiento para medicamentos huérfanos antes de la autorización del mercado, aportado por las empresas (5 % de gastos promocionales)
- Fondo para medicamentos innovadores: financiamiento para medicamentos huérfanos que alcanzó designaciones completas de innovación



### Las principales partes interesadas

- Servicio Nacional de Salud, Italia
- Agencia Italiana de Fármacos (AIFA)
- Empresas de atención médica



### Resultados

- El fondo 5 % de AIFA se utiliza para reembolsar el costo del tratamiento de los pacientes, promover la investigación de las enfermedades huérfanas y mejorar el acceso a los medicamentos que esperan su introducción al mercado.
- 65 % de las solicitudes de financiamiento (82 pacientes) se han beneficiado por un gasto por un total de EUR 14 millones en 2017.
- Permite un sistema sustentable de financiamiento para los pacientes con AME para obtener los tratamientos aprobados, incluido el Spinraza.



## Modelo innovador de pago de Zolgensma

En Italia, Zolgensma se involucró en un modelo innovador de pago, con diferentes acuerdos de acceso, el cual ofrece beneficios de reembolso y una posibilidad para una mejor vida para niños con AME.



### Diseño y oferta del programa

- Negociación de las partes interesadas y el compromiso entre el Gobierno y las empresas farmacéuticas
- Se incluyó el Zolgensma, terapia génica, en el fondo para medicamentos innovadores en Italia (financiamiento para medicamentos huérfanos que alcanzó designaciones completas de innovación).
- Para apoyar el acceso pediátrico, se utilizó el peso del paciente como el factor de negociación para diferentes acuerdos.
  - » Menos de 13.5 kg: contrato de pago contra resultados
  - » Entre 13.5 y 21 kg: el producto es gratuito a través de un programa de pruebas clínicas



### Las principales partes interesadas

- Servicio Nacional de Salud, Italia
- Agencia Italiana de Fármacos (AIFA)
- Empresas farmacéuticas y de biotecnología (por ejemplo: Novartis)



### Resultados

- Los acuerdos basados en la categoría de peso permitieron a diferentes grupos de pacientes el acceso al tratamiento a un precio sustentable, el cual incluye descuentos obligatorios.
- El suministro de pruebas clínicas gratuitas de Zolgensma permitió la adquisición de datos adicionales sobre la eficacia y seguridad en pacientes de más peso.

## Seguros privados novedosos <sup>18,19</sup>

Las enfermedades preexistentes, como las hereditarias y las genéticas, habitualmente se excluyen de la cobertura de los seguros privados y, por lo tanto, rara vez hay seguros privados disponibles para las enfermedades raras. Las aseguradoras tienen un conocimiento limitado acerca de las enfermedades raras y ven poca demanda de cobertura. Sin embargo, algunas aseguradoras comienzan a ver la oportunidad de ofrecer soluciones disruptivas e innovadoras para nuevas áreas con altas necesidades insatisfechas.

Los siguientes programas, bajo el arquetipo de los seguros privados novedosos, ofrece cobertura integral o complementaria para los productos, servicios o grupos de pacientes que habitualmente no tendrían la cobertura de los seguros privados tradicionales. Las soluciones de los seguros privados novedosos pueden aprovechar una variedad de canales, que incluyen los de la tecnología móvil y minorista, que permite la colaboración entre las partes interesadas público-privadas fundamentales.



### Seguros privados novedosos

China



#### Seguro ZhongAn para enfermedades raras

La empresa de seguros InsurTech ZhongAn ofrece un acceso más sencillo, mayor cobertura y más opciones de pago para la atención médica de calidad para 121 enfermedades raras.



##### Diseño y oferta del programa

- ZhongAn es una aseguradora en línea que proporciona cobertura para hábitos de consumo, economía del consumidor, salud, automotor y turismo, en el mercado chino.
- Garantizar la colaboración y el cumplimiento entre las aseguradoras privadas y el Gobierno
- El producto de seguro médico individual clave para millones de personas, Zunxiang 2020, extiende la cobertura a 121 tipos de enfermedades raras, incluida la hemofilia.



##### Las principales partes interesadas

- Ministerio de Industria y Tecnología de la Información, China
- Empresas emergentes y compañías locales de seguros médicos



##### Resultados

- Proporciona una cobertura económica personalizada a la población para enfermedades raras específicas, a través de medicamentos con descuento y cobertura del efecto del tratamiento.
- Si se recibe el diagnóstico de una enfermedad rara específica, como hemofilia, después de la inscripción, se cubrirán los gastos médicos generados.



## Seguro de salud complementario comercial de la ciudad (CSCHI)

Un plan complementario localizado que cuenta con un sólido apoyo del Gobierno y pocas restricciones de inscripción para ofrecer un seguro médico incluyente y más económico para los habitantes de la ciudad.



### Diseño y oferta del programa

- El CSCHI es complementario al seguro médico básico que proporciona el Gobierno de China.
- Hasta la fecha se han lanzado más de 120 productos de CSCHI, principalmente enfocados en la cobertura de enfermedades graves.
- Las enfermedades raras están mayormente cubiertas dentro del alcance de los costos médicos de hospitalización, sin límite de medicamentos, siempre que los productos se receten en hospitales públicos locales.



### Las principales partes interesadas

- Comisión Reguladora de Bancos y Seguros de China
- Gobierno local
- Entidad local de seguros médicos (por ejemplo: Ping An)



### Resultados

- En Foshan, Guangdong, los costos médicos de hospitalización pueden asegurarse hasta CNY 1 millón a un precio competitivo.
- Aligerar la carga de los costos médicos adicionales que no cubre el plan nacional de seguro médico.
- Acceso más amplio y sencillo a los medicamentos y tratamientos para varios grupos de pacientes locales (por ejemplo: personas mayores o con enfermedades preexistentes)

# Comentarios de expertos sobre la implementación

Los expertos a los que se consultó como parte del informe de la evaluación de los PIMB, la cual cubrió **el entorno y las oportunidades de financiamiento en los países de ingresos mediano-bajos**, proporcionaron perspectivas relevantes para los programas globales. Propusieron abordar cuatro áreas estratégicas en la implementación de un programa innovador de financiamiento que involucre a un ecosistema 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: las responsables del pago) acerca de 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 acuerdos 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) 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 la mayoría de los países, las diferentes enfermedades raras tienen desafíos comunes para el acceso de los pacientes a los tratamientos tan necesitados, uno de los cuales es la falta de financiamiento sustentable. A través de la revisión de las publicaciones disponibles y la realización de entrevistas con las partes interesadas locales, este estudio recopiló información de más 130 iniciativas relacionadas con el financiamiento en 40 países diferentes, lo que constituye, a nuestro saber, una de las compilaciones más grandes de este tipo. Esta colección presenta muchas perspectivas valiosas acerca de las características de los mecanismos disponibles para el financiamiento de las ER y, al mismo tiempo, puede interpretarse como una respuesta natural a la brecha de financiamiento que existe actualmente en el área de las enfermedades raras.

Este estudio descubrió un amplio rango de modelos de financiamiento, los cuales, en conjunto con el financiamiento tradicional, pueden tener un gran efecto en aquellas personas que actualmente no cuentan con acceso a la atención adecuada para las enfermedades raras debido a la costeabilidad. Sin embargo, a diferencia de las enfermedades no transmisibles más prevalentes (por ejemplo: las oncológicas), solo aprox. el 20 % de los programas de financiamiento identificados pueden considerarse innovadores, lo que genera una oportunidad para que los programas innovadores de financiamiento abran las puertas a nuevas fuentes de fondos con el fin de desplegar beneficios para los pacientes con la necesidad de financiamiento e indican que hay mucho más por hacer en esta área.

Ya que estos programas por sí mismos serán insuficientes para afrontar la creciente carga de las ER en todo el mundo, deberá implementarse un enfoque estratégico centrado en la creación en conjunto entre las partes interesadas de modelos innovadores de financiamiento que complementen las iniciativas gubernamentales a largo plazo, como la obtención de atención médica universal, para garantizar la sustentabilidad.

Las asociaciones serán fundamentales para la creación de programas holísticos centrados en más de un área de las enfermedades raras. Los grupos de pacientes, los proveedores, las ONG, las fundaciones y las comunidades médicas son quienes ejercen la mayor influencia en la elaboración de políticas, y pueden ser socios potenciales para el aporte de fondos y la implementación.



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 complementarlo 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.



Las asociaciones serán fundamentales para la creación de programas integrales e inclusivos, los cuales pueden estar

centrados en más de un área de las enfermedades raras. Los grupos de pacientes, los proveedores, las ONG, las fundaciones, las empresas de biotecnología y las comunidades médicas son quienes ejercen la mayor influencia en la elaboración de políticas, y pueden ser socios potenciales para el aporte de fondos y la implementación. La asociación también representará un papel clave en la recopilación y presentación de evidencias sólidas acerca de la carga de las ER y el efecto de la brecha de financiamiento para movilizar las medidas que permitan el cuidado adecuado de los pacientes con ER y sus familias.

*Las asociaciones serán fundamentales para la creación de programas integrales e inclusivos*

## 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.

**Para más información, envíe un correo electrónico a:**

Pablo Morales [pablo.morales@roche.com](mailto:pablo.morales@roche.com)

Fernando Arnaiz [fernando.arnaiz@roche.com](mailto:fernando.arnaiz@roche.com)

Marie Beille [marie.beille@roche.com](mailto:marie.beille@roche.com)

# Referencias

1. Artículo web. "EU research on rare diseases". Comisión Europea. Último acceso el 17 de abril de 2020. [https://ec.europa.eu/info/research-and-innovation/research-area/health-research-and-innovation/rare-diseases\\_en](https://ec.europa.eu/info/research-and-innovation/research-area/health-research-and-innovation/rare-diseases_en)
2. Artículo web. "FAQs About Rare Diseases". NIH. Último acceso el 17 de abril de 2020. <https://rarediseases.info.nih.gov/diseases/pages/31/faqs-about-rare-diseases>
3. Artículo web. "Rare diseases". Findacure. Último acceso el 17 de abril de 2020. <https://www.findacure.org.uk/rare-diseases/>
4. Artículo web. "Cancer". Our World in Data. Último acceso el 17 de abril de 2020. <https://ourworldindata.org/cancer>
5. Atun Rifat, Silva Sachin et al. "Innovative financing instruments for global health 2002–15: a systematic analysis." *The Lancet*, Volumen 5, Publicación 7. Publicado en julio de 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)
6. "Rare Disease and Orphan Drug Act--Achievement Summary". Administración de promoción de la salud. Última modificación el 29 de enero de 2015. <https://www.hpa.gov.tw/EngPages/Detail.aspx?nodeid=1075&pid=6178>
7. "Prevention and Healthcare of Rare Diseases". Administración de promoción de la salud. Última modificación el 29 de marzo de 2019. <https://www.hpa.gov.tw/EngPages/Detail.aspx?nodeid=1075&pid=10528>
8. Jason C. Hsu et al. Disease and economic burden for rare diseases in Taiwan: A longitudinal study using Taiwan's National Health Insurance Research Database. Publicado en septiembre de 2018. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6150502/>
9. "Suffering in silence: Assessing rare disease awareness and management in Taiwan". CSL Behring and The Economist Intelligence Unit. Julio de 2020 [https://www.cslbehring.com/-/media/shared/economist-white-paper/eng\\_snapshot\\_a4\\_digital-taiwan-final.pdf](https://www.cslbehring.com/-/media/shared/economist-white-paper/eng_snapshot_a4_digital-taiwan-final.pdf)
10. "Applications made for rare disease fund". Ministerio de Salud de Singapur. 3 de febrero de 2021. <https://www.moh.gov.sg/news-highlights/details/applications-made-for-rare-disease-fund>
11. "Applications for rare disease fund". Ministerio de Salud de Singapur. 5 de abril de 2021. <https://www.moh.gov.sg/news-highlights/details/applications-for-rare-disease-fund>
12. "Update on rare disease fund progress". Ministerio de Salud de Singapur. 3 de noviembre de 2020 Último acceso el 16 de julio de 2021 <https://www.moh.gov.sg/news-highlights/details/update-on-rare-disease-fund-progress>
13. Plan nacional para las enfermedades raras: Rumania. Informe de la Conferencia Nacional de Rumania Europlan 2017. Último acceso el 16 de julio de 2021 [http://download2.eurordis.org/rdpolicy/National%20Plans/Romania/4.EUROPLAN\\_2017\\_Romania%20National%20Conference\\_Report\\_English.pdf](http://download2.eurordis.org/rdpolicy/National%20Plans/Romania/4.EUROPLAN_2017_Romania%20National%20Conference_Report_English.pdf)

14. MoH Gazzetta Ufficiale n. 274 AIFA Innovative Drug Fund. Último acceso el 16 de julio de 2021 [https://www.aifa.gov.it/documents/20142/241044/fondo\\_AIFA5.pdf/afe55ea9-9d38-76c4-bade-690d8050ef05](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/241044/fondo_AIFA5.pdf/afe55ea9-9d38-76c4-bade-690d8050ef05)
15. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italian - Reimbursement of Zolgensma. Último acceso el 16 de julio de 2021 [https://www.gazzettaufficiale.it/atto/serie\\_generale/caricaDettaglioAtto/originario?atto.dataPubblicazioneGazzetta=2021-03-13&atto.codiceRedazionale=21A01554](https://www.gazzettaufficiale.it/atto/serie_generale/caricaDettaglioAtto/originario?atto.dataPubblicazioneGazzetta=2021-03-13&atto.codiceRedazionale=21A01554)
16. "Italy Reimburses Zolgensma Through "Payment at Result" Model, Priced at EUR 2.155 M", Eversana. Último acceso el 16 de julio de 2021 <https://www.eversana.com/2021/03/18/italy-reimburses-zolgensma-through-payment-at-result-model-priced-at-eur-2-155-m/>
17. "AIFA approves reimbursement of Zolgensma, gene therapy for children with SMA1", AIFA. Último acceso el 16 de julio de 2021 <https://www.aifa.gov.it/en/-/aifa-approva-rimborsabilita-zolgensma-terapia-genica-per-i-bambini-con-sma1>

# 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**

Director de Health Impact,  
organización Global Access,  
Roche

[pablo.morales@roche.com](mailto: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](mailto: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](mailto: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](mailto: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 compresión y acelerar la innovación en el ecosistema de la atención sanitaria.

Para obtener más información, visite:

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

## Acerca 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

