

18

de maio

Avaliação das Tecnologias de Saúde | Health Technology Assessment



Olhar para o futuro: Estratégia Farmacêutica para a Europa e implementação MDR/IVDR

Heitor Costa

Diretor Executivo, APIFARMA

Reunião Anual do Colégio de Assuntos Regulamentares

ORGANIZAÇÃO



COLÉGIO de ESPECIALIDADE ASSUNTOS REGULAMENTARES



AGENDA:

1. Agenda Europeia para responder aos Desafios Societais
2. Estratégia Farmacêutica
3. Promoção da Avaliação das Tecnologias de Saúde
4. Colaboração em ATS ao longo do Ciclo de Vida das Tecnologias | Desafios, Oportunidades e Mudanças
5. A Avaliação das Tecnologias de Saúde depois de 2020
6. Promoção do Acesso à Inovação em Saúde

Agenda Europeia para responder aos Desafios Societais

○ CONTEXTO:



*"We cannot wait for the end of the pandemic to repair and prepare for the future. We will **build the foundations of a stronger European Health Union** in which 27 countries work together to detect, prepare and respond collectively."*





Uma União Europeia da Saúde: Uma Estratégia Farmacêutica para a Europa

25 de NOVEMBRO de 2020

Necessidades
não satisfeitas



Digitalização
e tecnologias
novas



Acesso a
medicamentos
baratos



Antecipação
e resposta a
crises sanitárias
graves e
autonomia
estratégica aberta



☐ 55 ações legislativas e não-legislativas, a serem implementadas nos próximos 4-5 anos

Inclui a revisão de:

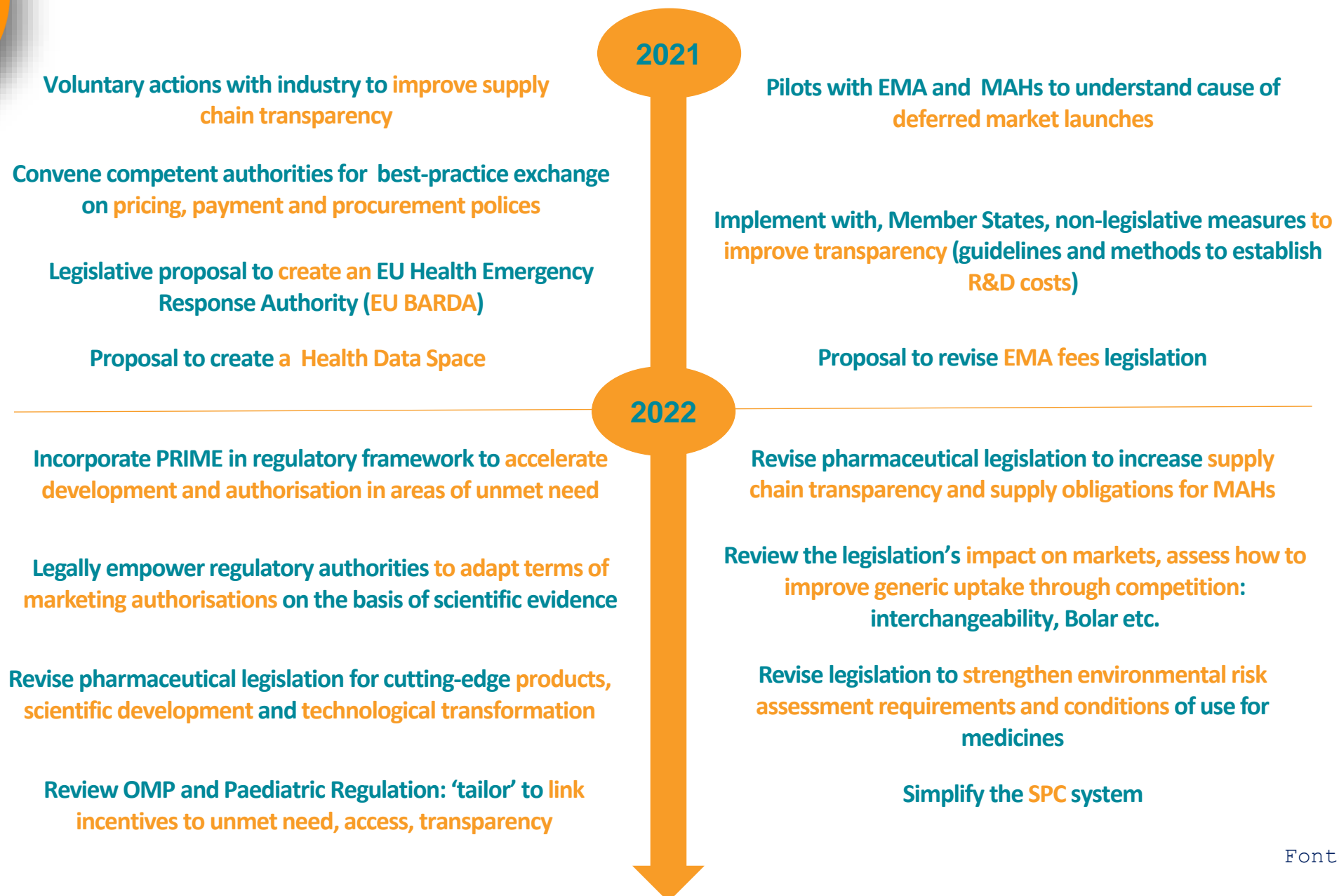
- Código comunitário relativo aos medicamentos UH, 2001 (Directiva 2011/83)
- Regulamento que institui uma Agência Europeia de Medicamentos, 2004 (Regulamento 726/2004)
- Regulamento dos Medicamentos Órfãos, 2000 (Regulamento 141/2000)
- Regulamento dos Medicamentos Pediátricos, 2006 (Regulamento 1901/2006)

Legislação
farmacêutica de
base



PHARMACEUTICAL STRATEGY PLANNED INITIATIVES

2021 – 2022 (NON-EXHAUSTIVE)




O CAMINHO? Apostar em ...

1. Ter **acesso a tecnologias de saúde inovadoras** de forma mais célere e acessível, garantindo maior equidade a nível europeu – *promoção da Avaliação das Tecnologias de Saúde*;
2. Manter os **incentivos para a Investigação e Desenvolvimento** da inovação sobretudo nas áreas de Saúde ainda sem resposta e para maior competitividade da Europa a nível global;
3. Reconhecer o **papel dos agentes económicos da Saúde** na recuperação económica da Europa no período pós-Covid;
4. Evoluir para a aplicação de **modelos de remuneração baseados nos resultados em saúde**;
5. Estabelecer uma **plataforma permanente de diálogo e cooperação** entre todos os envolvidos.

Porquê a Avaliação das Tecnologias de Saúde?



- A avaliação das tecnologias de saúde (ATS) é um **processo multidisciplinar** que resume informação acerca de questões médicas, sociais, económicas e éticas relacionadas com o uso de tecnologias de saúde (medicamento, dispositivo médico, intervenção médica, etc);
- A importância da ATS está a crescer como meio fundamental para **apoiar a tomada de decisão** sobre a incorporação de TS a nível nacional, estando em expansão na Europa e além-fronteiras, o que tem conduzido a uma grande variabilidade em termos de abordagens, metodologia e ferramentas utilizadas;
- **Desafios para a Indústria Farmacêutica:**
 - ✓ Diferentes abordagens na avaliação levam a decisões de acesso inconsistentes e desiguais;
 - ✓ Requisitos inconsistentes sobre o tipo de evidência que deve ser apresentada criam duplicação  atrasos no acesso ao mercado.

Diferenças nas metodologias ATS para Avaliação Clínica da Efectividade Relativa:



Decisões de Acesso – Divergentes:

Recomendação de medicamentos na área da oncologia (AIM: 2011-2013) por Estado Membro:

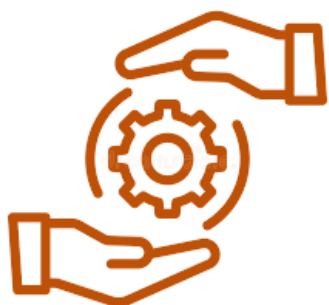
Abbreviated indication	Brand name (generic)	HTA recommendation					
		GEMANY	THE NETHERLANDS	FRANCE	ENGLAND/WALES	SCOTLAND	POLAND
Bone metastases from solid tumours	1. Denosumab	Not assessed	Equal benefit	Added benefit Equal benefit	Positive	Not assessed	Negative
Breast cancer	2. Eribulin	Equal benefit Equal benefit	Added benefit	Added benefit	Negative	Negative	Negative
	3. Pertuzumab	Added benefit	Not assessed	Added benefit	Not assessed	Negative	Positive
Colorectal cancer	4. Aflibercept	Added benefit	Not assessed	Equal benefit	Negative	Negative	Positive
Gastric cancer	5. Tegafur / gimeracil / oteracil	Not assessed	Lesser benefit	Lesser benefit	Not assessed	Positive	Negative
Melanoma	6. Ipilimumab	Added benefit	Added benefit	Added benefit	Positive	Negative	Positive
	7. Vemurafenib	Added benefit	Added benefit	Added benefit	Positive	Negative	Positive
	8. Dabrafenib	Equal benefit	Not assessed	Equal benefit	Positive	Positive	Positive
Non-small-cell lung cancer	9. Afatinib	Added benefit	Not assessed	Equal benefit	Positive	Positive	Positive
		Added benefit					
		Equal benefit Lesser benefit					
	10. Crizotinib	Equal benefit	Not assessed	Added benefit	Negative	Negative	Negative
Prostate cancer	11. Cabazitaxel	Added benefit	Added benefit	Added benefit	Negative	Negative	Negative
		Added benefit					
	12. Enzalutamide	Added benefit Added benefit	Not assessed	Added benefit	Positive	Positive	Positive
	13. Abiraterone	Added benefit	Equal benefit	Added benefit	Positive	Negative	Positive
Renal-cell carcinoma	14. Axitinib	Added benefit	Not assessed	Added benefit	Positive	Negative	Positive

Fonte: Kleijnen S et al. (2016). Relative effectiveness assessments of oncology medicines for pricing and reimbursement decisions in EU countries. *Annals of Oncology*

Colaboração em ATS ao longo do Ciclo de Vida das Tecnologias | Desafios, Oportunidades e Mudanças:

1. Complexidade crescente em termos de I&D (novas tecnologias) e Regulamentação A Inovação como força motriz da cooperação europeia em matéria de ATS

DESAFIOS: Populações mais pequenas de doentes, diferentes tipos de dados e evidência científica, desenvolvimento selectivo e acelerado de medicamentos para áreas médicas não satisfeitas, regulamentação com base numa abordagem ao longo do ciclo de vida, normas para os cuidados de saúde em rápida mudança e co-dependência entre tecnologias considerada crítica.

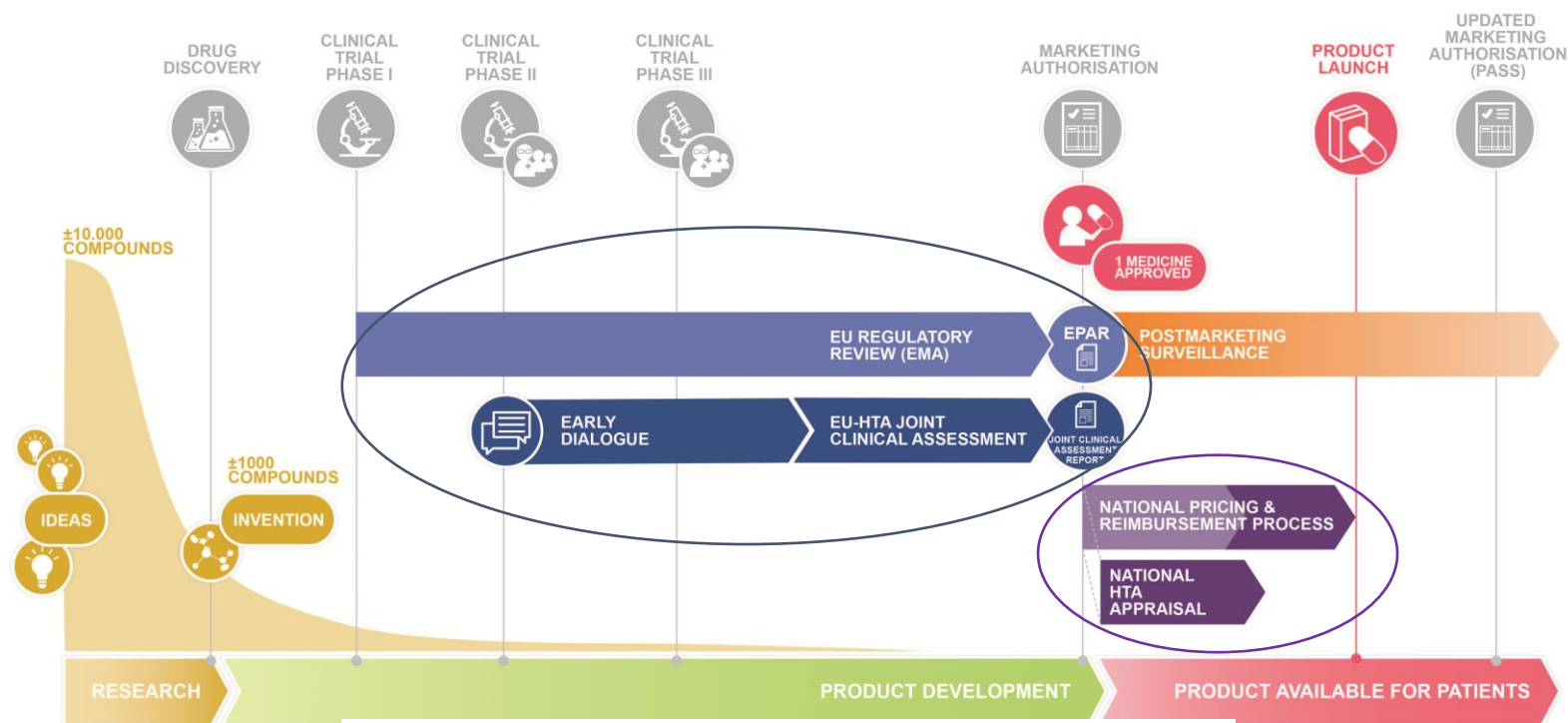


Custos de actividades “duplicadas” de ATS nacionais/ regionais estão a aumentar de forma rápida

- Maior interesse na ATS - **expectativas crescentes no envolvimento precoce das partes envolvidas (desde os investigadores às autoridades);**
- Decisores com diferentes e crescentes exigências no que se refere a ATS – **mais e mais rápido; em permanente actualização;**
- ATS dita “one off” cada vez menos relevante para o processo de decisão – **abordagem ao longo do ciclo de vida, esforço contínuo e envolvimento das partes;**
- Competências e capacidades nacionais/regionais em ATS limitadas – **barreiras crescentes à igualdade de acesso e de forma atempada ao nível dos EM’s.**

Colaboração em ATS ao longo do Ciclo de Vida das Tecnologias | Desafios, Oportunidades e Mudanças:

Abordagem ao longo do Ciclo de Vida | Esquema



DEFINITIONS

EU REGULATORY REVIEW (EMA):

Assessment of safety, efficacy and quality of a new medicinal product.

vs

EU-HTA JOINT CLINICAL ASSESSMENT:

Comparative assessment of clinical evidence at European level.

vs

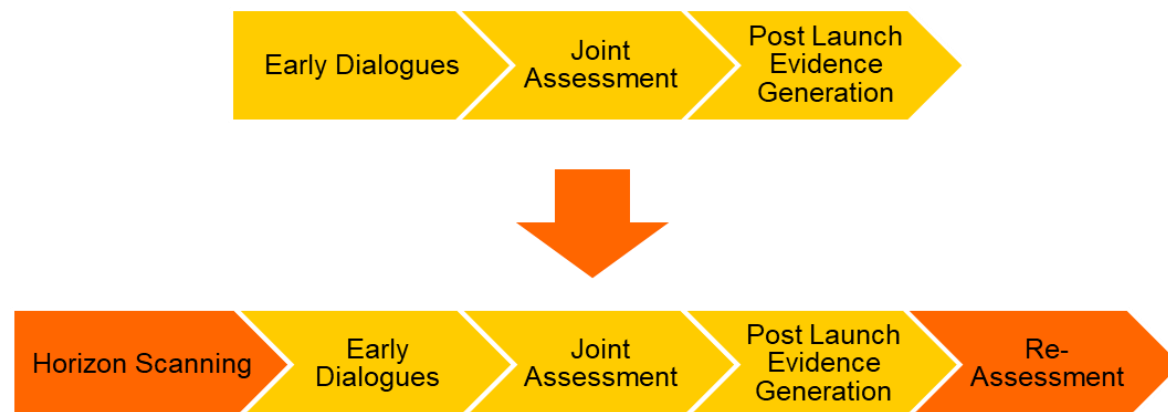
NATIONAL HTA APPRAISAL:

Draws conclusions on overall added benefit based on European clinical assessment and national economic considerations.

Colaboração em ATS ao longo do Ciclo de Vida das Tecnologias | Desafios, Oportunidades e Mudanças:

2. Envolvimento das Partes Interessadas nas diferentes fases do ciclo de vida do medicamento

OPORTUNIDADES: Diferentes partes interessadas (Reguladores, Organismos de ATS, Pagadores, Doentes e Médicos) têm as mesmas necessidades de evidência e os Fabricantes/Titulares de AIM devem ser envolvidos desde o início para cumprir com esses requisitos, permitindo construir confiança e agilizar processos (ganho de tempo).



- Horizon Scanning
- Aconselhamento Paralelo/Diálogo precoce, Aconselhamento Científico
- Recolha de evidência para conduzir as avaliações clínicas conjuntas (Avaliação Rápida da Efectividade Relativa) e a avaliação de risco/benefício (B/R)
- PLEGs, MEAs, PASS, PAES, Orientações Clínicas
- Reavaliação

Colaboração em ATS ao longo do Ciclo de Vida das Tecnologias | Desafios, Oportunidades e Mudanças:

3. Simplificação: reduzir e não introduzir complexidade adicional Implicações para a futura cooperação europeia em matéria de ATS



MUDANÇAS: A participação dos países ao nível da rede EUnetHTA (2006-2021) ofereceu uma visão inestimável acerca do futuro da cooperação europeia em matéria de ATS.

- Foco nas actividades que substituem o trabalho nacional/regional – **apenas a integração contínua irá agregar valor numa abordagem ao longo do ciclo de vida;**
- Processos baseados num quadro metodológico comum e avançado, e expectativas sobre a evidência adaptadas ao contexto (*específico*) - **foco na qualidade**, além do denominador comum pré-estabelecido;
- Reconhecimento dos **diferentes papéis** ao nível da interface com a Agência Europeia de Medicamentos;
- Compromisso e envolvimento das partes interessadas ao longo do ciclo de vida da tecnologia, ex. **aconselhamento científico** quando solicitado pelas empresas - *prioridade mais urgente neste momento;*
- **Colaboração transfronteiriça** na geração de evidência pós-lançamento (PLEG - *Post-launch evidence generation*) e de dados de mundo real (RWE – *Real World Evidence*) - *importante para a tomada de decisão envolvendo as partes interessadas;*
- Desenvolvimento de **iniciativas de ATS alargadas (i.e “além tecnologia”)**, permitindo um envolvimento eficiente entre os peritos e as partes interessadas no reconhecimento de novos desafios e tendências;
- Enquadramento equilibrado sobre eventuais "conflitos de interesse" para garantir uma **integração eficaz de competências e conhecimento** (peritos médicos e doentes, investigadores).

Processo Legislativo

- **Janeiro 2018 - Proposta da Comissão da UE de Regulamento relativo à ATS, com foco em 4 pilares:**
 - Avaliações clínicas conjuntas (i.e avaliação da eficácia clínica relativa);
 - Consultas científicas sobre o desenvolvimento de novos produtos;
 - Identificação das tecnologias de saúde emergentes;
 - Cooperação voluntária em outras áreas (avaliação colaborativa, não clínicas).
 - **1ª Posição do Parlamento Europeu apresentada em 2018, em larga consonância com a proposta da Comissão (COM).**
 - **1ª Posição do Conselho da UE (Março 2021), com uma visão muito diferente sobre a colaboração em ATS:**
 - "Repositório" comum de dados a nível da UE, evitando a duplicação de pedidos de informação pelos EM's;
 - Adopção do relatório de avaliação clínica conjunta não é vinculativa para os EM's;
 - Implementação progressiva (1º os medicamentos de oncologia, seguindo-se os órfãos e as terapias avançadas, e depois outros).
 - **Próximos passos: grande desafio no que respeita às negociações do trílogo para alinhar as posições das instituições da EU.**
- **Possível adopção do Regulamento em finais de 2021, com aplicação em finais de 2024 (iniciando-se com a oncologia).**



A Avaliação das Tecnologias de Saúde depois de 2020:

Negociação da proposta de Regulamento ao nível do Conselho da UE

A posição actual compromete significativamente a realização dos objectivos iniciais



- **Âmbito de aplicação:** segue ordem específica nos primeiros anos, por áreas terapêuticas, mas permite que o Grupo de Coordenação avalie produtos de outras áreas terapêuticas, anterior à data prevista, se o referido **produto for de "alto impacto"**, levando à total falta de previsibilidade.
- **Requisitos de submissão e processo de definição do âmbito:** Os fabricantes devem enviar um conjunto completo de dados (incl. as partes principais do dossier a enviar à EMA e os correspondentes dados brutos, i.e não tratados); os critérios são definidos pelos membros do Grupo de Coordenação, **sem o 'input' do fabricante.**
- **Âmbito do trabalho conjunto:** os EMs decidem segundo os seus critérios que parte da avaliação clínica conjunta (JCA) pretendem considerar na sua ATS, não podendo solicitar a mesma evidência já submetida por via centralizada. Os EMs devem anexar o dossiê JCA do fabricante ao processo de avaliação nacional e podem, ainda, solicitar **análises complementares, inter alia, em outros grupos de doentes, comparadores ou outcomes e por via de uma metodologia diferente.**
- **Sanções:** Se os fabricantes não submeterem a informação completa, a JCA pode ser interrompida. Os EMs podem impor **sanções a nível nacional.**
- **Papel da Comissão:** A Comissão actua como Secretariado do Grupo de Coordenação e, *inter alia*, informa o fabricante do âmbito da avaliação e verifica se a informação submetida está completa.
- **Falta de um mecanismo de resolução de litígios.**

Promoção do Acesso à Inovação em Saúde:

Para os Doentes, todos os dias contam!

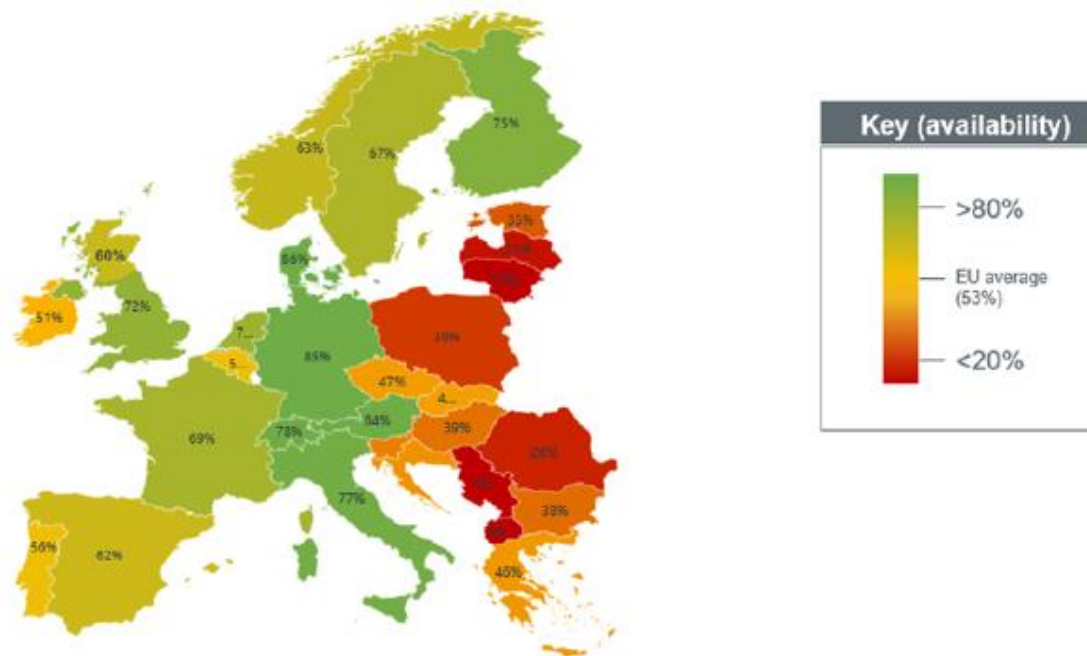
A IF e os parceiros têm uma responsabilidade partilhada em encontrar soluções colaborativas que garantam o acesso dos Doentes à Inovação

Nathalie Moll
Director General, EFPIA

Innovation is meaningless if patients don't have access to it. Ensuring that patients get access to the medicines they need is a goal and a responsibility the research-based pharmaceutical industry shares with patients, clinicians, health systems and governments.



Dados sobre a disponibilidade de medicamentos ao nível da UE



Promoção do Acesso à Inovação em Saúde:

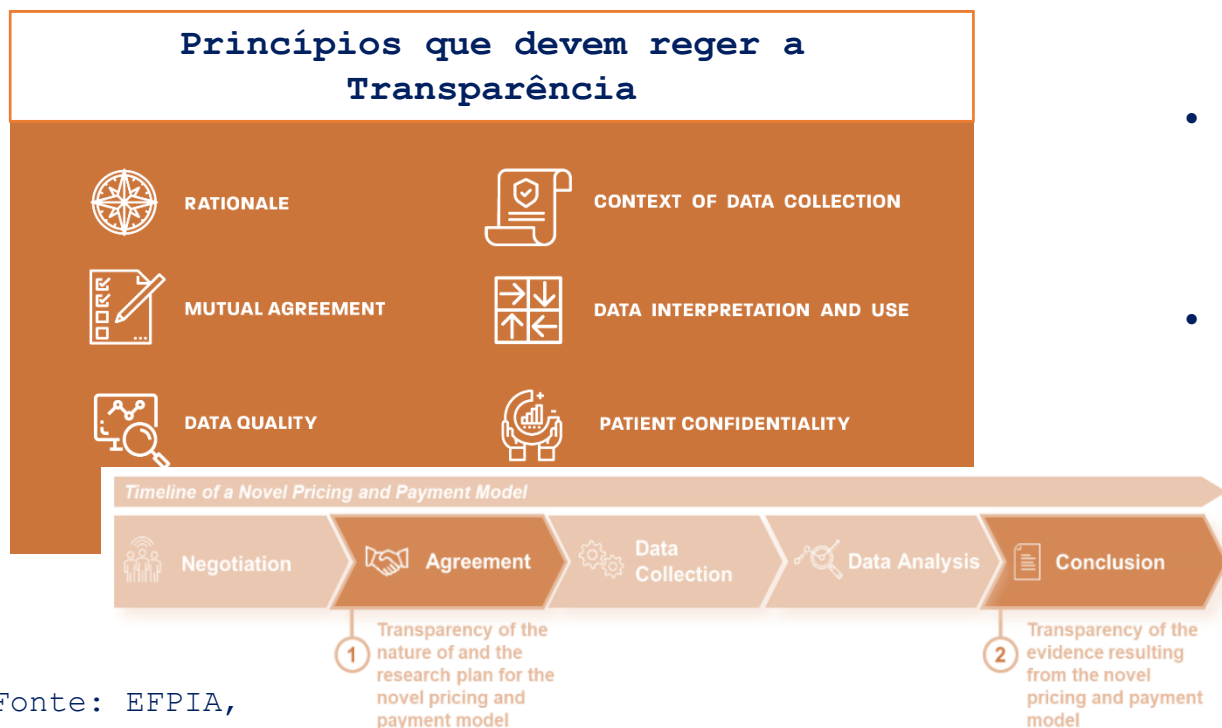
As razões inerentes aos atrasos no acesso são **MULTIFACTORIAIS** e só podem ser ultrapassadas com o trabalho conjunto de todas as partes interessadas

CATEGORIA	POTENCIAIS CAUSAS
Tempo até à autorização de introdução no mercado	<ol style="list-style-type: none"> 1. Tempo de avaliação do processo regulamentar (A.I.M) 2. Tempo de Acessibilidade ao medicamento até à autorização de comercialização (ver abaixo - Financiamento)
Processo relacionado com a atribuição de Preço & Participação	<ol style="list-style-type: none"> 3. Início do processo 4. Tempos do processo (calendário nacional) e não cumprimento dos prazos
Processo de avaliação do valor	<ol style="list-style-type: none"> 5. Falta de alinhamento na evidência exigida 6. Falta de alinhamento sobre o valor e preço 7. Valor atribuído para efeitos de diferenciação e de opção terapêutica de um dado produto
Preparação dos Sistemas de Saúde	<ol style="list-style-type: none"> 8. Orçamentos restritivos para a implementação das decisões 9. Diagnóstico, infra-estrutura de apoio e relevância para os doentes
Atrasos nas aprovações a nível nacional e regional	<ol style="list-style-type: none"> 10. Diversos níveis no processo de tomada de decisão

Promoção do Acesso à Inovação em Saúde:

Novos modelos de remuneração baseados nos resultados em saúde

Acelerar o acesso dos doentes aos novos medicamentos, permitindo que os pagadores possam gerir a incerteza clínica, o impacto orçamental e a sustentabilidade do sistema de saúde, ao mesmo tempo incentivando à inovação.



COMPROMISSO DA INDÚSTRIA FARMACÊUTICA:

- Trabalho colaborativo entre as partes interessadas **alinhando os princípios para a divulgação da evidência** que suportará os novos modelos de remuneração com base em resultados.
- Diálogo aberto sobre como **melhorar a transparência de novos modelos remuneração** (desenvolver mecanismos de transparência que promovam a boa gestão e responsabilidade, identificar a plataforma mais apropriada para a recolha de dados, os mecanismos de divulgação dos mesmos e como serão utilizados).

Promoção do Acesso à Inovação em Saúde:

Fórum Multilateral

Uma Europa coesa e preparada para o futuro, dependerá, *à priori*, da capacidade de constituir um Fórum de Alto Nível para Melhorar o Acesso à Inovação em Saúde, tal como proposto pela European Union Health Coalition



- **Acelerar o processo regulamentar**, fornecendo diagnósticos, vacinas e tratamentos seguros e de alta qualidade aos doentes o mais rapidamente possível;
- **Aumentar o rigor da informação** relativa à disponibilização ao doente de *produtos aprovados a nível central*;
- Considerar o **valor acrescentado dos medicamentos para a sociedade na sua total amplitude**, avaliá-los de acordo com os *resultados em saúde* que geram e desenvolver e implementar *novas abordagens de pagamento* aquando da negociação de acordos do seu financiamento;
- Melhorar a *eficiência e a qualidade* da **avaliação de valor**;
- Assegurar a **equidade de acesso e solidariedade** entre os Estados-Membros da União Europeia.



Fórum Multilateral

Uma Europa coesa e preparada para o futuro, dependerá, *à priori*, da capacidade de constituir um Fórum de Alto Nível para Melhorar o Acesso à Inovação em Saúde, tal como proposto pela European Union Health Coalition

A High-Level Forum would enable a comprehensive discussion and analysis of the root causes of unequal patient access and supply of medicines, also taking into consideration the fragmentation of the EU single market and the different national approaches to pricing and reimbursement as well as healthcare investment and organisation.

This analysis will show that an effective, targeted response to the access and availability challenges does not lie in a reduction of incentives for innovation or in wholesale changes to the pharmaceutical legislation but rather requires a structured and inclusive dialogue among all relevant stakeholders.

To bring different stakeholders together in a **High-Level Multi-Stakeholder Forum on Better Access to Health Innovation**, will be a vehicle to co-create:

- Proposals to speed up the regulatory process, delivering safe and high-quality diagnostics, vaccines and treatments to patients as fast as possible
- Proposals that aim to increase transparency of information regarding placing on the market of centrally approved products
- Proposals to facilitate a process that allows prices to align with value
- Proposals to improve the efficiency and quality of value assessment
- Proposals to ensure equity of access and solidarity across EU member states

We are ready to work together to ensure that access to medicines is based on the patient's clinical need, not on their "postcode" (political and financial criteria).

NOTE

From:	General Secretariat of the Council
To:	Delegations
Subject:	Draft Council Conclusions on Access to medicines and medical devices for a Stronger and Resilient EU

Delegations will find in the Annex a Presidency proposal for Council Conclusions on the abovementioned subject to be examined at the informal videoconference of the members of the Working Party on Pharmaceutical and Medical devices on 18 May 2021.

INVITES THE MEMBER STATES and THE COMMISSION to set up a forum facilitated by the European Commission where the various stakeholders – from Member States, Governments, patients and consumers, health professionals, industry and academia - would debate the policy options to feed a European agenda on pharmaceutical and medical device policies.



#NãoDesistimos
na procura de um Mundo
melhor. A Indústria
Farmacêutica assume
a inovação como parte
integrante do seu ADN
e não descansa, nunca, na
procura constante e na
descoberta de soluções
para os problemas de
saúde sem tratamento.
Cada obstáculo é um
alento para continuar.
Cada desafio é uma
oportunidade de tornar
a vida mais saudável.

—
#WeWontRest
LISBOA, PT
HEITOR COSTA
MÉDICO
DIRECTOR EXECUTIVO APIFARMA

OBRIGADO

Heitor Costa

heitor.costa@apifarma.pt

18.05.2021