

# El futuro de la innovación en España: las visiones de los agentes implicados

Laura Cabiedes Miragaya

Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Oviedo

V Foro Europeo de Política Farmacéutica, Madrid, 25 de Mayo de 2009

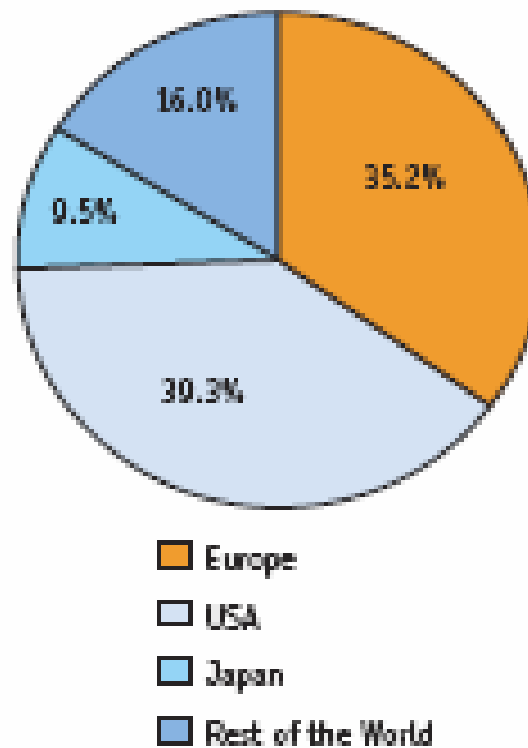
**1. Europa y España en el contexto internacional**

**2. Regulación europea y nuevas tendencias internacionales en política farmacéutica**

**3. Impacto de la farmacogenómica en el sector:  
¿nuevas tecnologías, luego nuevas medidas?**

# **1. Europa y España en el contexto internacional**

**BREAKDOWN OF THE WORLD  
PHARMACEUTICAL PRODUCTION  
(AT EX-FACTORY PRICES), 2006**



Source: EFPIA member associations,  
PhRMA, JPMA, OECD, IMS Health  
- Estimate (EFPIA calculations)

**El sector farmacéutico es el sector de alta tecnología con mayor VA por empleado (Eurostat) y la más alta ratio de gasto en I+D sobre ventas (casi el 16 % en 2006):**

**RANKING OF INDUSTRIAL SECTORS BY AGGREGATE R&D FROM THE WORLD TOP 1,400 COMPANIES IN THE 2007 EU SCOREBOARD - 2006**

| Sector<br>(according to the ICB)  | R&D investment<br>(€ million) | Share in R&D<br>investment (%) | R&D/Sales<br>ratio (%) |
|-----------------------------------|-------------------------------|--------------------------------|------------------------|
| Pharmaceuticals & Biotechnology   | 70,523.5                      | 19.3                           | 15.9                   |
| Technology hardware & equipment   | 64,531.5                      | 17.6                           | 8.6                    |
| Automobiles & parts               | 60,807.1                      | 16.6                           | 4.1                    |
| Electronic & electrical Equipment | 27,138.9                      | 7.4                            | 4.4                    |
| Software & computer services      | 26,522.8                      | 7.3                            | 9.8                    |
| Chemicals                         | 17,186.0                      | 4.7                            | 3.1                    |
| Aerospace & Defence               | 15,991.3                      | 4.4                            | 4.8                    |
| Leisure goods                     | 14,208.6                      | 3.9                            | 6.5                    |
| Industrial engineering            | 9,319.3                       | 2.5                            | 2.7                    |
| General industrials               | 8,867.6                       | 2.4                            | 2.1                    |
| Fixed line telecommunications     | 7,283.1                       | 2.0                            | 1.6                    |
| Health care equipment & services  | 6,446.1                       | 1.8                            | 6.8                    |
| Oil & gas producers               | 4,923.7                       | 1.3                            | 0.3                    |
| Food producers                    | 3,918.5                       | 1.1                            | 2.2                    |
| Household goods                   | 3,911.9                       | 1.1                            | 1.6                    |
| Others (22 sectors)               | 24,243.9                      | 6.6                            | 0.9                    |
| <b>Grand Total (37 sectors)*</b>  | <b>365,823.9</b>              | <b>100.0</b>                   | <b>3.4</b>             |

\* Totals do not add due to rounding

Note: ICB: Industrial Classification Benchmark set up by FTSE (Financial Times Stock Exchange) & Dow Jones

Data relate to the top 1,400 companies with registered offices in the EU, Japan, the USA and the Rest of the World, ranked by the size of their R&D investment (over € 23 million)

Source: The 2007 EU Industrial R&D Investment Scoreboard, Joint Research Centre, Directorate General Research, European Commission

**En España, el gasto de la IF en I+D representa el 6,8 % de las ventas (INE) En términos absolutos, los sectores que más gastan en I+D son: IF, industria aeroespacial e industria del automóvil.**

## PHARMACEUTICAL PRODUCTION

| EFPIA 2006     | € million      |
|----------------|----------------|
| Austria        | 1,874          |
| Belgium        | 5,261          |
| Bulgaria       | n.a.           |
| Cyprus         | n.a.           |
| Czech Republic | n.a.           |
| Denmark        | 5,278          |
| Estonia        | n.a.           |
| Finland        | 857            |
| France         | 34,444         |
| Germany        | 23,699         |
| Greece         | 666            |
| Hungary        | n.a.           |
| Iceland        | n.a.           |
| Ireland        | 14,900         |
| Italy          | 22,317         |
| Latvia         | 95             |
| Lithuania      | n.a.           |
| Malta          | 34             |
| Netherlands    | 5,664          |
| Norway         | 709            |
| Poland         | 1,367          |
| Portugal       | 1,829          |
| Romania        | 223            |
| Slovakia       | n.a.           |
| Slovenia       | n.a.           |
| Spain          | 12,459         |
| Sweden         | 7,196          |
| Switzerland    | 18,618         |
| United Kingdom | 24,849         |
| <b>Total</b>   | <b>182,339</b> |

Note: All data based on SITC 54

Malta, Poland: 2004 data

Netherlands: 2005 data

Greece: 2006 provisional data

Denmark, France, Ireland, Italy, Norway, Portugal, Spain, Sweden, Switzerland: estimate

Germany, Ireland, Norway, Switzerland: veterinary products excluded

Source: EFPIA member associations (official figures)

# Datos sobre producción, I+D y empleo en Europa

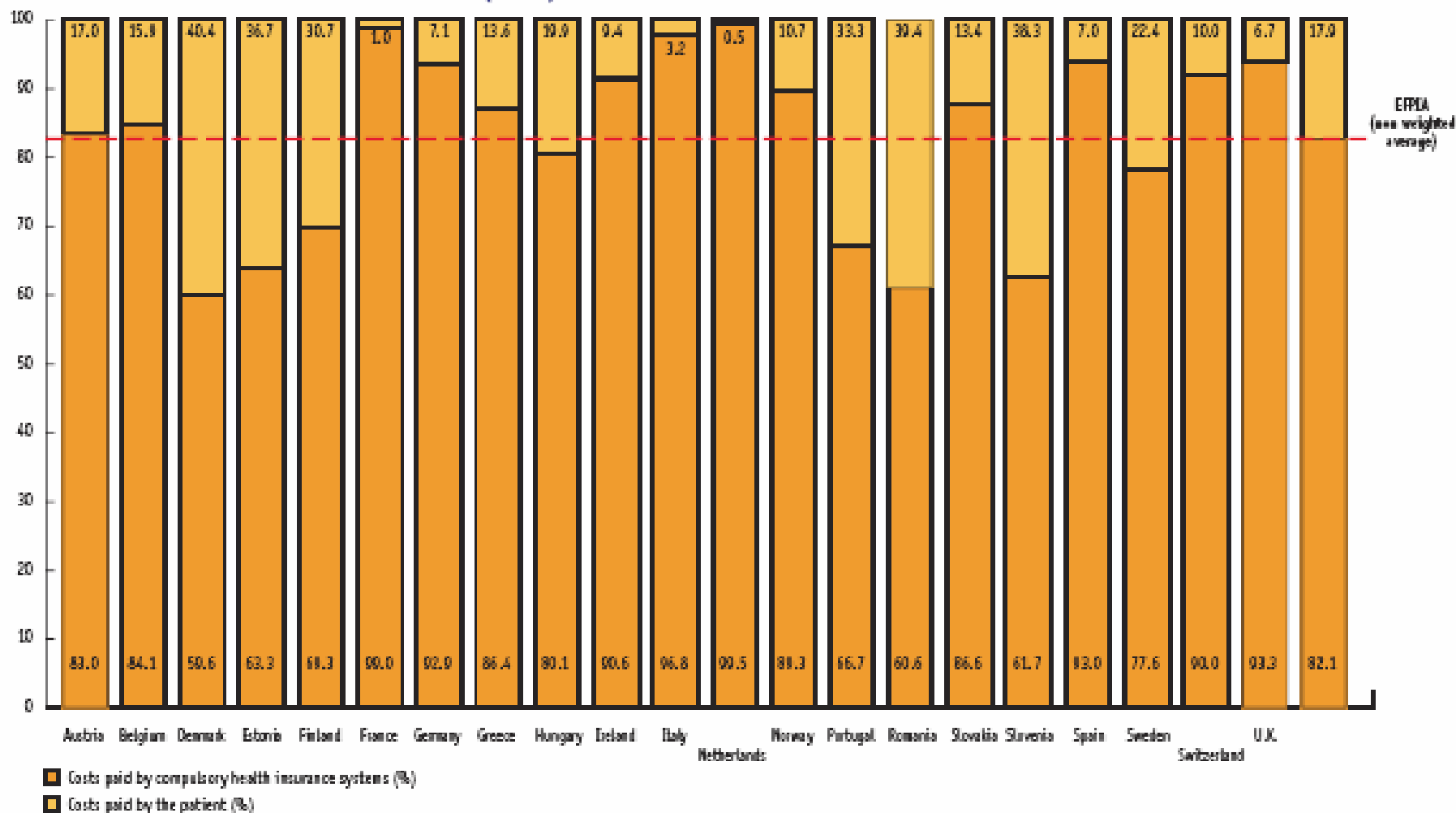
- La producción de UE-27+Noruega+Suiza en 2006:182.300 millones €
- Saldo de la balanza comercial netamente positivo (más de 44.000 millones de € en 2006, para UE-27+Noruega+Suiza)
- El sector representa en la UE en torno al 18 % de la inversión total en I+D, siendo el peso sobre el valor añadido manufacturero del 5 % (en España, según el ine, el gasto en I+D de la industria representa casi el 19 % del gasto total en I+D llevado a cabo por la industria española en su conjunto, cuando su peso en la facturación es de tan sólo el 2,1 %). El sector emplea a más de 640.000 personas en Europa, siendo una sexta parte capital humano centrado en actividades de I+D
- Preocupante pérdida de posiciones en los últimos años en términos de innovación y, en definitiva, de competitividad: en el período 1990-2007, el gasto en I+D en USA se multiplicó por 5,2, mientras que en Europa se multiplicó por 3,3. En los últimos cinco años, Europa perdió su papel líder en obtención de NPA, tomando el relevo USA. Concentración de las actividades de I+D en Norteamérica, generando cierta dependencia de Europa del conocimiento y NPA obtenidos en USA. Tendencia emergente en algunos países de Asia (como India y China)

**TABLA 47. Evolución del gasto farmacéutico como porcentaje del gasto sanitario total, 1995-2007**

|                | 1995 | 1996 | 1997 | 1998 | 1999 | 2000 | 2001 | 2002 | 2003 | 2004 | 2005 | 2006 | 2007 |
|----------------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|
| Canadá         | 13,8 | 14,0 | 14,7 | 15,1 | 15,5 | 15,9 | 16,2 | 16,7 | 17,0 | 17,3 | 17,7 | 17,4 | 17,5 |
| Dinamarca      | 9,1  | 8,9  | 9,0  | 9,0  | 8,7  | 8,8  | 9,2  | 9,8  | 9,3  | 9,0  | 8,9  | 8,5  | -    |
| Finlandia      | 14,1 | 14,4 | 14,8 | 14,6 | 15,0 | 15,5 | 15,8 | 16,0 | 16,0 | 16,3 | 16,3 | 14,6 | -    |
| Francia        | 16,0 | 16,0 | 16,4 | 16,9 | 17,7 | 18,2 | 18,8 | 18,7 | 16,5 | 16,6 | 16,4 | 16,4 | -    |
| Alemania       | 12,9 | 13,0 | 13,1 | 13,6 | 13,5 | 13,6 | 14,2 | 14,4 | 14,5 | 14,0 | 15,2 | 14,8 | -    |
| Islandia       | 13,4 | 14,0 | 15,1 | 14,3 | 13,7 | 14,6 | 14,1 | 14,1 | 14,6 | 14,4 | 13,3 | 13,1 | 12,9 |
| Irlanda        | 10,5 | 10,4 | 10,0 | 10,2 | 10,4 | 10,6 | 10,6 | 11,1 | 11,6 | 11,8 | 10,9 | -    | -    |
| Italia         | 20,7 | 21,1 | 21,2 | 21,5 | 22,1 | 22,0 | 22,5 | 22,5 | 21,8 | 21,2 | 20,1 | 20,0 | 19,4 |
| Noruega        | 9,0  | 9,1  | 9,1  | 8,9  | 8,9  | 9,5  | 9,3  | 9,4  | 9,2  | 9,4  | 9,1  | 8,5  | 7,9  |
| Portugal       | 23,6 | 23,8 | 23,8 | 23,4 | -    | 22,4 | 23,0 | 23,3 | 21,4 | 22,3 | 21,9 | 21,3 | -    |
| España         | 19,2 | 19,8 | 20,8 | 21,0 | 21,5 | 21,3 | 21,1 | 21,8 | 22,9 | 22,8 | 22,9 | 21,7 | -    |
| Suecia         | 12,3 | 13,6 | 12,4 | 13,6 | 13,9 | 13,8 | 13,2 | 13,0 | 12,6 | 12,5 | 12,0 | 13,3 | -    |
| Suiza          | 10,0 | 10,0 | 10,3 | 10,2 | 10,5 | 10,7 | 10,6 | 10,3 | 10,5 | 10,4 | 10,4 | -    | -    |
| Estados Unidos | 8,9  | 9,3  | 9,8  | 10,3 | 11,2 | 11,7 | 12,0 | 12,4 | 12,5 | 12,5 | 12,4 | 12,6 | -    |

De OECD Health Data, 2008.

**ESTIMATED COSTS PAID BY THE PATIENT IN THE TOTAL REIMBURSED PHARMACY MARKET VALUE AT RETAIL PRICES (IN %) – 2006**



Note: France: costs paid by compulsory health insurance system include costs paid by supplementary insurance (mutual or private), which amount to about 20.1% of total costs.

Hungary: 2004 data

Greece: 2005 data

EFPIA calculations – Estimate

Source: EFPIA member associations

## **2. Regulación europea y nuevas tendencias internacionales en política farmacéutica**

# Marco de la normativa supranacional

## Aspectos contemplados

**UE**

Fundamentalmente libre circulación de mercancías (y otros, como la **publicidad**)

Impacto indirecto en precios (y otros aspectos), **pero la fijación de precios y el sistema de financiación son competencias de los Estados miembros**

Armonización de **procedimientos de autorización** de medicamentos

**Comercio paralelo**

**OMC**

Derechos de propiedad intelectual relacionados con el comercio

ADPIC

(No se define en materia de comercio paralelo)

# Registro y Cuarta Garantía

## Perspectiva clínica

Calidad + Seguridad + **Eficacia** (absoluta) —————→ **Registro**  
¿Puede funcionar?  
(condiciones ideales)  
↓  
¿Funciona? **Efectividad**  
¿Es seguro? (**Farmacovigilancia**)  
(condiciones reales)

## Perspectiva financiera

### Eficiencia

¿Es la mejor alternativa posible?

(Comparar costes y resultados con otras opciones: evaluación económica).

En España: RD 1993: Registro ≠ Financiación, eficacia relativa vs. costes relativos: ¿financiación?. Plan Estratégico 2004: Comité de Evaluación de la Utilidad Terapéutica, aun no creado.

**Sector complejo y muy regulado, que se caracteriza por la participación de numerosos agentes, situación que dificulta la convergencia de intereses (compromiso del objetivo de control del gasto con otros objetivos legítimos, sobre todo en Europa. No obstante, en el caso español, se echa en falta mayor dosis de transparencia)**

En España:

- Marco comunitario
- Administración Central y Administraciones Autonómicas
- Dentro de la propia Administración Central (M<sup>o</sup> Sanidad y Política Social; M<sup>o</sup> Economía y Hacienda; M<sup>o</sup> Industria, Turismo y Comercio; M<sup>o</sup> Ciencia e Innovación...)
- Los ciudadanos como contribuyentes y como pacientes
- Los médicos
- Los mayoristas
- Las oficinas de farmacia
- La industria farmacéutica

# Nuevas tendencias internacionales en política farmacéutica

| Lado Oferta   | Lado Demanda  | Financiación/reembolso   |
|---|---|--|
| Control del precio:<br><i>External referencing</i> ( <b>precios internacionales</b> ) vs. <i>Internal referencing</i> (p. relacionado con el de ttos disponibles; precios de referencia; <b>fijación del precio inicial con apoyo en estudios de evaluación económica</b> ) | Medidas orientadas a los médicos:<br>guías de práctica clínica, formación e información, seguimiento de los patrones de prescripción, <b>incentivos</b> , presupuestos... | Listas positivas y/o negativas   |
| Control directo del gasto:<br>descuentos, rebajas globales, devoluciones, <b>acuerdos precio-volumen producto a producto...</b>   | Medidas orientadas a los pacientes:<br>co-pago, precios de referencia, educación para la salud...   | Precios de referencia  |
| Control de beneficios   | Medidas dirigidas a los farmacéuticos:<br>sustitución por genéricos y/o medicamentos importados paralelamente, forma de remuneración, incentivos...                       | <b>Decisiones de reembolso de nuevos medicamentos apoyadas en los resultados de estudios de evaluación económica</b> |

Clasificación adaptada a partir de Espín, J. y Rovira, J. (2007): *Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe*, DG Enterprise and Industry of the European Commission.

## Algunas medidas representativas de las nuevas tendencias internacionales en política farmacéutica

Decisiones sobre el precio inicial apoyadas en **precios internacionales**

**Acuerdos precio-volumen por productos** (precio condicionado a las ventas previstas, devoluciones de excesos...) **implícitamente CRC**

Decisiones sobre precios iniciales y reembolso apoyadas en estudios de **evaluación económica + CRC**

**Contratos de riesgo compartido** (financiador-productor), **CRC**

Contribuyen a evitar decisiones de “todo o nada” en condiciones de elevada incertidumbre. Pueden afectar a la propia decisión de reembolso, precio, devoluciones..., asociando las posibles devoluciones a la utilización adecuada, la efectividad del medicamento (vs. la eficacia) o su impacto sobre cantidades y/o gasto público. Se empezaron a aplicar en Australia, Bélgica, Canadá, Francia, Holanda, Nueva Zelanda, Reino Unido, USA... Implícitos en los acuerdos precio-volumen. Pueden complementar a los estudios de evaluación económica.

## A modo de síntesis ...

Parece haber una tendencia a utilizar cada vez en mayor medida los precios internacionales a modo de referencia y a aplicar políticas de corte microeconómico, algunas de éstas con pretensión de influir en la adecuación de la prescripción y en los resultados sobre la salud; en definitiva, con posibilidades de conseguir un uso más racional de los medicamentos. Conviene no olvidar que no sólo es importante cuánto se gasta, sino cómo y en qué: “dime cómo regulas y te diré cómo y en qué gastas”

### 3. Impacto de la farmacogenómica en el sector: ¿nuevas tecnologías, luego nuevas medidas?

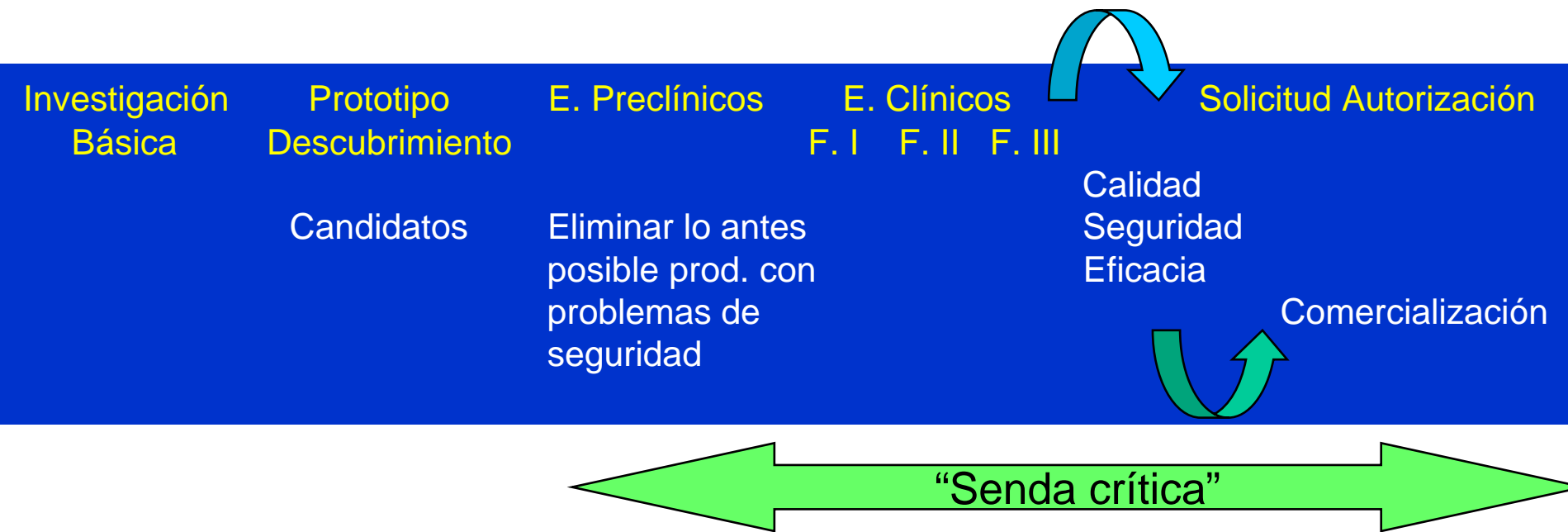
Con apoyo en Cabiedes, L. (2008): “Economía y Medicina personalizada: *allegro ma non troppo*”, *Revista de Administración Sanitaria*, 6 (4): 613-624.  
Resumen disponible en <http://www.proyectonets.org/>

# Investigación y Desarrollo de innovaciones farmacéuticas

## Proceso duradero y costoso

- Entre 10 y 15 años desarrollar un NPA
- Sólo una de cada 10.000 moléculas llegará finalmente al mercado
- Está cayendo la probabilidad de que una molécula en la fase I de los ensayos clínicos sea autorizada, sobre todo por problemas de seguridad y falta de efectividad
- El coste de conseguir un NPA es muy elevado (estimaciones muy dispares lo sitúan, según el método de cálculo, entre 150 y 800 mill. \$)

# “Senda crítica” del desarrollo de un nuevo medicamento



- Los avances en las ciencias básicas no acompañados por los avances en las ciencias aplicadas (distancia entre potencialidades y realidades: hacia estándares conservadores)
- Incremento sustancial de costes en los últimos años (partida clave: Fase III de los análisis clínicos)
- Mayor duración, mayores costes, menos innovaciones ... explican, en principio, el **modelo “Blockbuster”** de la industria
- Iniciativa “critical path” (FDA, 2004): modernizar el proceso del desarrollo que abarca desde el descubrimiento hasta el lanzamiento al mercado

# Impacto de la farmacogenómica en la “senda crítica” del desarrollo de un nuevo medicamento

E. Preclínicos

E. Clínicos  
F. I F. II F. III

Solicitud Autorización / comerc.

+

+

Calidad  
Seguridad ↑ +  
Eficacia ↑

> probabilidad de éxito y de conseguir la autorización en < t (> vida efectiva patente)

## Biomarcadores/tests genéticos

- Permiten eliminar antes productos no seguros
- Delimitar la población diana (selección de pacientes) ↑ Beneficio/Riesgo:  
en principio es más fácil demostrar la eficacia
- Rescatar productos fallidos
- En principio: < tiempo, < coste y < incertidumbre, sobre todo en la fase III  
de los ensayos clínicos (< tamaño, < tiempo)

# Pero...

- No todos los autores están de acuerdo sobre el impacto en el tiempo y en el coste de los ensayos clínicos: si la prevalencia genética es demasiado baja, enrolar sólo a quienes tienen el marcador podría absorber más tiempo (Phillips y Van Bebber, 2006)
- Críticas en la literatura sobre el diseño de los ensayos clínicos y posibles problemas derivados de la estratificación de los pacientes (de carácter estadístico, pero con repercusión en la salud)
- Los tests pueden ser muy fiables, pero lo relevante es la asociación genotipo-fenotipo: validar su utilidad clínica
- La mayoría de los procedimientos de autorización de un nuevo medicamento (UE, USA...) sólo exige demostrar la eficacia absoluta (frente a placebo), no la eficacia relativa

# Impacto de la farmacogenómica en el proceso de desarrollo de un nuevo medicamento:

## complementariedad medicamento-test

El medicamento precisa del test para explotar la información genómica

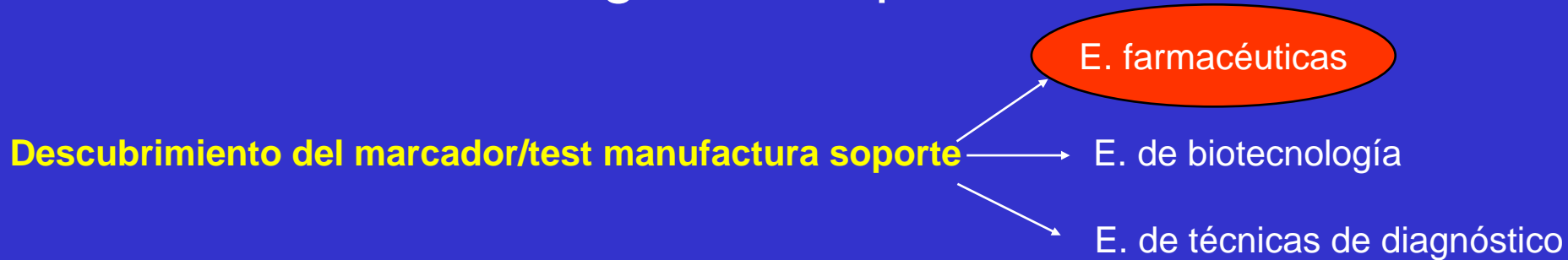
Existen tres posibilidades en cuanto a la disponibilidad del test en el tiempo:

- 1 1º medicamento, después test

  - Selección de pacientes: segmentación del mercado, amenaza el modelo “blockbuster”, relevancia patentes tests
  - Tratamientos alternativos: posible ventaja competitiva
- 2 1º test, después medicamento

  - Línea de avance para obtención de innovaciones
  - Rescate de medicamentos
- 3 Desarrollo simultáneo medicamento/test: lo ideal; la integración del marcador en el ensayo clínico para demostrar la eficacia del med. aportará evidencia sobre la utilidad clínica del test. Existen contados ejemplos: TRASTUZUMAB; IMATINIB y CETUXIMAB (en USA y UE entre 1998 y 2004) (Frueh, 2006)

# Los agentes implicados



**Intereses a veces opuestos** en cuanto a fragmentar el mercado

**La industria:** Si estrategia apoyada en la farmacogenómica: Operaciones de absorción  
Aprendizaje y desarrollo interno  
Alianzas  
Licencias/adquisición de derechos

**El regulador:** **La integración/asociación de actividades tan distintas** e históricamente reguladas de forma muy distinta, de un modo u otro, **es inevitable**. De momento, **la regulación del soporte de las pruebas diagnósticas es muy laxa** (UE: “mercado UE”)

**El pagador:** ¿Tiene sentido financiar el medicamento y no el test si está validado y permite obtener mejores resultados en salud?

**Los clínicos:** En la medida en la que afecta profundamente a la toma de decisiones, precisan apoyo del regulador y del pagador (validación pruebas; formación; diseño de guías, algoritmos...)

# Farmacogenómica y segmentación del mercado: ¿Impacto neto sobre la industria?

| Pros ( ↑ rentabilidad en I+D)  | Contras ( ↓ rentabilidad en I+D)   |
|--|--|
| <p>&lt; t y &lt; coste (en principio) en el desarrollo del producto</p> <p>&lt; t en la comercialización: &gt; vida efectiva de la patente</p> <p>Diferenciación técnica del producto (más allá de la marca)</p> <p>Según marco regulador: &gt; penetración en el mercado sin necesidad de incurrir en &gt; gastos en marketing</p> <p>Posibilidad de explotar el negocio asociado a los tests</p> <p>Expiración derechos de patente de medicamentos<br/>“blockbuster” y dificultades para obtener este tipo de p.</p> | <p>La medicina personalizada → segmentación del mercado: Exclusión de parte de la población y/o ajuste dosis/duración. La indicación queda mucho más acotada y, generalmente, &lt; tamaño del mercado, de ahí que la variable precio sea muy relevante</p> <p>Algunos autores hacen referencia a &lt; economías de escala en la producción, pero éstas no suelen ser importantes en esta etapa</p> |

En este ámbito los precios son clave. En particular, en un marco de precios administrados como es el español, serían muy pertinentes **los estudios de evaluación económica**: ayudarían a decidir sobre si procede o no financiar el producto con fondos públicos y, en caso afirmativo, a qué precio. Se trata de la “cuarta valla”: además de la calidad, seguridad y eficacia, comparar costes e impacto sobre la salud frente a otras alternativas (incluida “no hacer nada”). Para la industria sería una oportunidad de demostrar el valor del producto en términos de eficacia relativa.

# Y ... una vez en el mercado, ¿hacia una medicina personalizada?

**Farmacovigilancia:** en principio, < riesgo de retirada del producto del mercado

**Expectativas de la población:** no siempre satisfechas en la práctica clínica y/o con retardo. Incluso posibilidad de que surja el fenómeno de oferta inducida.

**Dificultades para la traslación a la práctica clínica:** desconfianza de los profesionales clínicos sobre la validez de los tests genéticos vs. los métodos de seguimiento tradicionales, en su caso.

Cuestiones éticas y posibles tensiones con las expectativas de los pacientes:

¿Qué puedo hacer? (conocimiento científico/ financiación)

¿Qué hago?

¿Cómo lo hago?

¿Qué decisión tomo? (no todos los tests tienen una interpretación fácil y/o directa)

Probablemente la farmacogenómica permita acortar la “senda crítica”, pero también es probable que se abra un nuevo tramo debido a las particularidades del uso clínico.

Dependerá mucho del **modelo sanitario predominante**. En un sistema predominantemente público como es el español, las autoridades tienen un papel clave en dos ámbitos: validación de las pruebas y análisis del impacto (sobre la salud y sobre los recursos), con vistas a la posible financiación con fondos públicos.

“La medicina personalizada nos dará la posibilidad, cada vez en mayor medida, de proveer el tratamiento adecuado al paciente adecuado en el momento adecuado...”

HHS Secretary M. Leavitt (US Department of Health & Human Services)

Pero... no a cualquier coste... De ahí la pertinencia de los estudios de Evaluación Económica

# La Evaluación Económica de la estrategia apoyada en la farmacogenómica vs. el modelo tradicional

**El análisis de sensibilidad tiene particular relevancia en este ámbito:**

- **Incertidumbre:** los marcadores se usan para predecir efectos (implícita la incertidumbre); incertidumbre sobre la prevalencia del perfil genético y la penetración
- **Multicausalidad: el paso de genotipo a fenotipo**  
Falsos negativos o error tipo I: puede ser que no genotipo (con prueba muy fiable) y sí fenotipo (que sí desarrolle la enfermedad)  
**Falsos positivos o error tipo II**, con consecuencias relevantes en este ámbito; sí genotipo y no fenotipo: puede implicar tratar innecesariamente o, por ej., si el 40 % de los pacientes con una variante tiene efectos adversos, no tratar con apoyo en el genotipo implica privar del tto al 60 % restante. Existen métodos estadísticos para correlacionar el fenotipo con grupos de genes y riesgos (Rubinstein y López-Soler, 2001), pero, ¿existen datos?
- **La dimensión temporal:** se precisa hacer predicciones, supuestos para extrapolar datos (por ej. para estimar la E vida). En este ámbito son muy útiles los **modelos de decisión**

**A modo de conclusión:** la evaluación de la estrategia farmacogenómica es particularmente compleja (incertidumbre/análisis de sensibilidad, problemas de disponibilidad de datos, además de la brecha efectividad vs. eficacia... ), pero no exime de la responsabilidad de tomar decisiones... **Particular interés en este terreno de los contratos de riesgo compartido CRC**

# Algunos factores clave que permiten prever (*ceteris paribus*) una buena relación coste-efectividad o, al menos, sugieren el interés de realizar un estudio de evaluación económica

**Gravedad de la enfermedad y pocos ttos alternativos/alta mortalidad y/o morbilidad**

**Elevados costes del tratamiento aplicado**

**Seguimiento de la enfermedad o del efecto del medicamento difícil o inviable**

**Medicamentos con bajo índice terapéutico**

**Percepción de elevada variabilidad interpersonal en la respuesta a un tratamiento**

**Elevada prevalencia de la variante**

**Alta Penetración del genotipo (menos falsos positivos)**

**Validez clínica del test (que sea útil para predecir resultados clínicos)**

**Disponibilidad de una prueba validada y relativamente poco costosa**

**Existencia de tratamiento efectivo para intervenir con apoyo en la información genética**

# Áreas particularmente adecuadas, aunque obviamente sea preciso hacer un análisis caso por caso

## Enfermedades agudas

Algunos autores: escaso potencial ahorro recursos vs. severidad y efectos adversos; de hecho, aquí se centran muchos de los estudios de evaluación económica

### **Oncología:**

- Relevante de antemano (subtipificación genética de las enfermedades)
- Severidad de la enfermedad y tratamientos disponibles costosos
- Bajo índice terapéutico
- Variabilidad en la respuesta

**Enfermedades infecciosas:** SIDA (elección terapia)  
Hepatitis C (duración tratamiento)

## Enfermedades crónicas

Atractivo: evitar muchos años de terapia innecesaria/inadecuada, pero < optimismo (influencia de muchos polimorfismos y factores de riesgo). En general, < potencialidad en enf. que prácticamente toda la población es susceptible de padecer

En todo caso, tests deseables cuando existen dificultades en el seguimiento con los marcadores tradicionales

**Alzheimer/depresión:** buenos candidatos (el seguimiento de la respuesta es difícil y consume mucho tiempo)

**Psiquiatría:** terreno prometedor (varios estudios han mostrado que la respuesta a antipsicóticos y antidepresivos se puede predecir con apoyo en polimorfismos; Hinrichs y van der Weide, 2008)

# Parcelas en las que conviene profundizar

## Ámbito público-privado

En muchos casos una sola entidad no tendrá capacidad para conseguir la información necesaria, por ejemplo, para validar un marcador: nuevos modelos de cooperación (Frueh, 2006), como los **consorcios**

## Ámbito de la Regulación

### **Replantear viejos problemas:**

Sólo el 50 % de los pacientes responde positivamente a los ttos (Spear et al., 2001. Tomado de Williams-Jones y Ozdemir, 2008)

Sobre patentabilidad de información genética y su impacto sobre la innovación

### **Validación clínica de las pruebas genéticas**

**Regulación laxa soporte pruebas/posibilidad de revisión paralela** medicamento y test (previsto en USA)

Posibilidad de ahondar en la concesión de la **condición de medicamento huérfano**

**Evaluación económica** para financiación/fijación de precios de forma transparente y sistemática: sistemas públicos de **legislación blanda** (España) vs. **legislación dura** [véase Llano del, Pinto y Abellán (dirs.): *Eficiencia y Medicamentos: Revisión de las Guías de Evaluación Económica La Cuarta Garantía*, Sanofi-Aventis]