

**La carga económica de la enfermedad de
Gaucher y Fabry en Colombia.
Implicaciones para el Sistema General de
Seguridad Social en Salud de dos
enfermedades de alto costo.**

**Diana Pinto Masís, MD, DSc
Rodolfo Dennis Verano, MD, MSc
Oscar Parra Ortega**

FEDESARROLLO
Octubre 2008



AGRADECIMIENTOS

SuSalud

Dras. Astrid Medina, María
Helena Solano, Martha Vizcaino

Luz Victoria Salazar (ACOPEL)



Generalidades de la enfermedad de Gaucher tipo I y Fabry

- Enfermedades Huérfanas (5-7.5 casos por 10,000 habitantes)
- Origen genético
- Deficiencias enzimas causa acúmulo de sustancias celulares que dañan los tejidos
- Terapia de remplazo enzimático (TRE):
 - Cerezyme \$USD 7-14,000 adulto
 - Fabrazyme \$USD 14,000 adulto
 - Productores monopólicos



Historia natural Gaucher tipo I (EG)

- Edad de inicio, curso clínico y severidad muy variable
- Manifestaciones clínicas principales:
 - crecimiento de hígado y bazo (hepato y esplenomegalia)
 - decremento en los glóbulos rojos y plaquetas (anemia y trombocitopenia)
 - deterioro óseo (retardo en el crecimiento, dolor y fracturas)
- Importante impacto en la calidad de vida, se desconoce impacto en la mortalidad



Historia natural Fabry (EF)

- Edad de inicio temprano
- Afecta principalmente a hombres
- Manifestaciones clínicas principales:
 - Dolores en las extremidades (acroparestesias)
 - Dolor abdominal y diarrea
 - Compromiso renal (falla a los 55 años)
 - Compromiso cardíaco (arritmias y falla cardiaca)
 - Compromiso neurológico (derrames)
- Gran impacto en la calidad de vida, y sobrevida



Evidencia de efectividad Recomendaría TRE?

Criterio	Gaucher	Fabry
Calidad de la evidencia (confiabilidad del efecto)	-	-
Importancia clínica del los desenlaces	+	-
Tamaño del efecto	+-	-
Precisión del efecto	-	-
Riesgos	+-	+-
Costos	-	-

Fortaleza de la recomendación (GRADE): DEBIL
No es claro que la TRE genere más beneficios que daños

Costo efectividad de la TRE

- Costo incremental (CI): el costo para ganar un año de vida ajustado por calidad (AVAC) adicional
- En Europa si es mayor a £30.000 (42 millones de pesos) no es C/E
- RCI Gaucher: £391.000
- RCI Fabry: £252.000



Estudio de carga económica de la enfermedad

- Objetivo: Cuantificar los costos de la EG tipo I y la EF desde la perspectiva social
- Costos médicos (monitoreo, terapia, manejo clínico)
- Costos por productividad perdida (discapacidad, mortalidad prematura)
- Modelo enfermedades crónicas
 - cohorte de pacientes
 - estados de salud
 - probabilidades de transición
 - costo generado por cada estado



Estudio de carga económica de la enfermedad

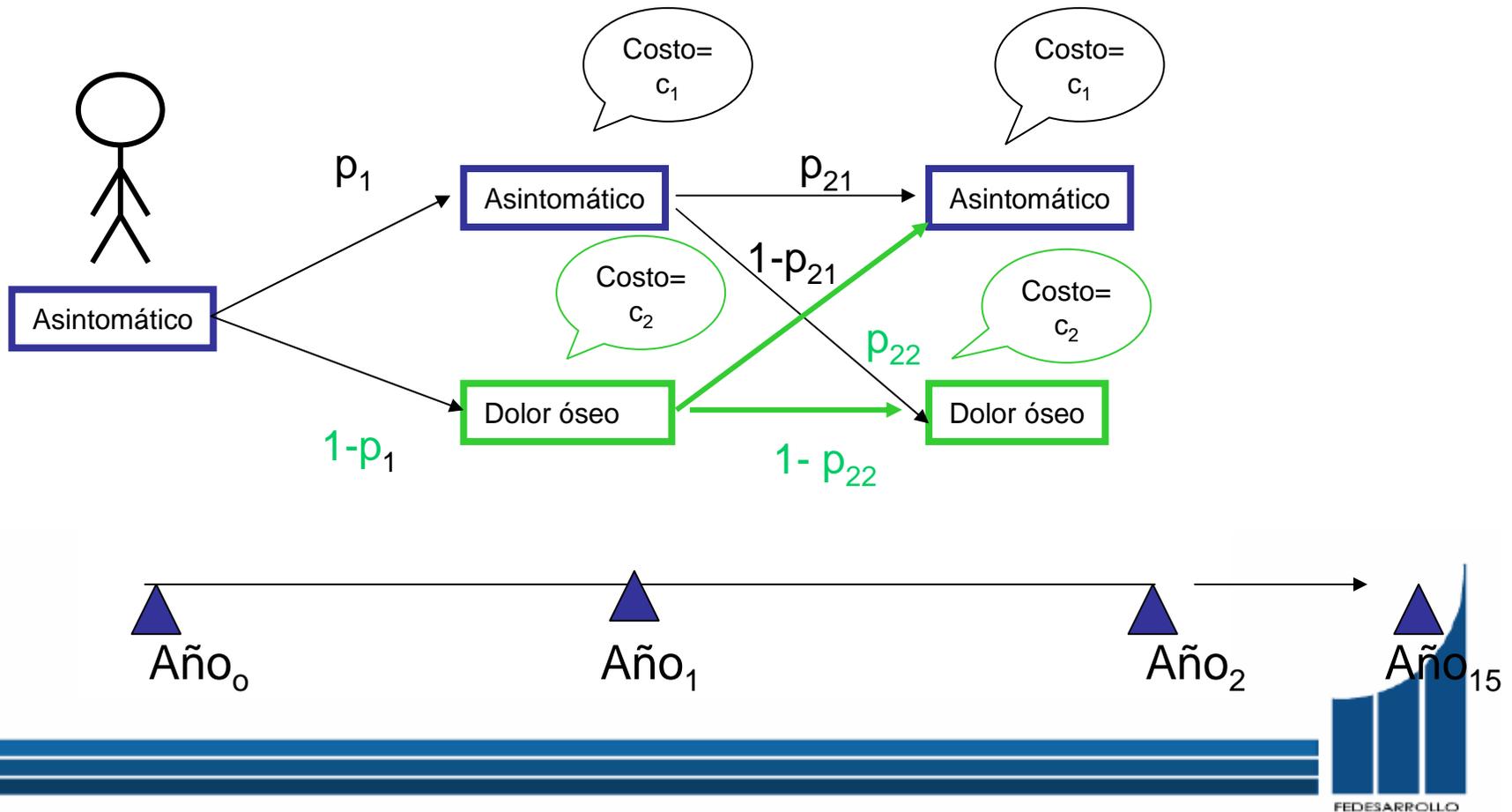
Modelo de simulación de enfermedades crónicas

- Cohorte dinámica de pacientes que se siguen 15 años, con y sin TRE
Gaucher =84 pacientes, Fabry =24
- Presentan las manifestaciones clínicas o permanecen asintomáticos de acuerdo a probabilidades definidas
- Cada estado de salud genera costos



Costo total esperado=

$$[(p_1 * x_1 + p_{21} * x_1 + (1 - p_{21}) * x_1] + [(1 - p_1) * x_2 + p_{22} * x_1 + (1 - p_{22}) * x_2]$$



Fuentes de información

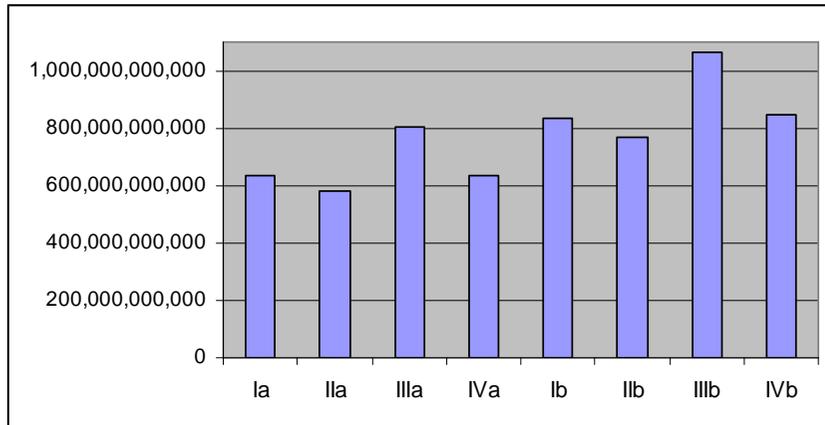
- Demografía y características de los pacientes:
 - Registro Internacional Gaucher y Fabry
 - Registro ACOPEL
 - ENDS 2005
 - Censo 2005
 - Datos laborales y empleo GEIH 2006, DANE
 - Encuesta Nacional Salud EU (discapacidad por enfermedad)
- Epidemiología, historia natural, manejo de eventos clínicos, TRE
 - 2 Revisiones sistemáticas de la literatura UK 1966-2004
 - Búsqueda complementaria 2004-2007
 - Consulta expertos
- Costos
 - Datos administrativos Susalud



RESULTADOS

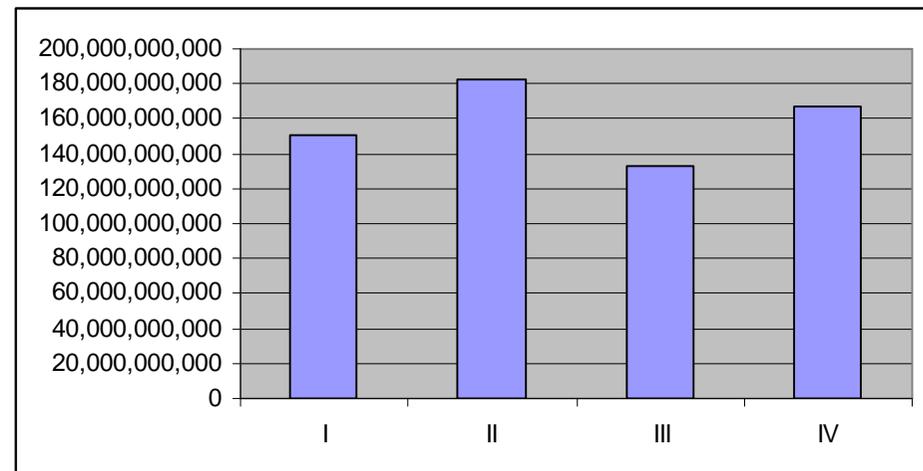


Costo total de la cohorte 2008-2022 para diferentes escenarios de dosificación y número de pacientes



Fabry: 160-183 mil millones de pesos

Gaucher: 638 mil millones a 1.06 billones de pesos



Costo total por paciente y para toda la cohorte año 2008

Enfermedad	Costo promedio por paciente año	Costo promedio toda la cohorte año
Gaucher tipo I	260-330 millones	22-33 mil millones
Fabry	224 millones	6 mil millones

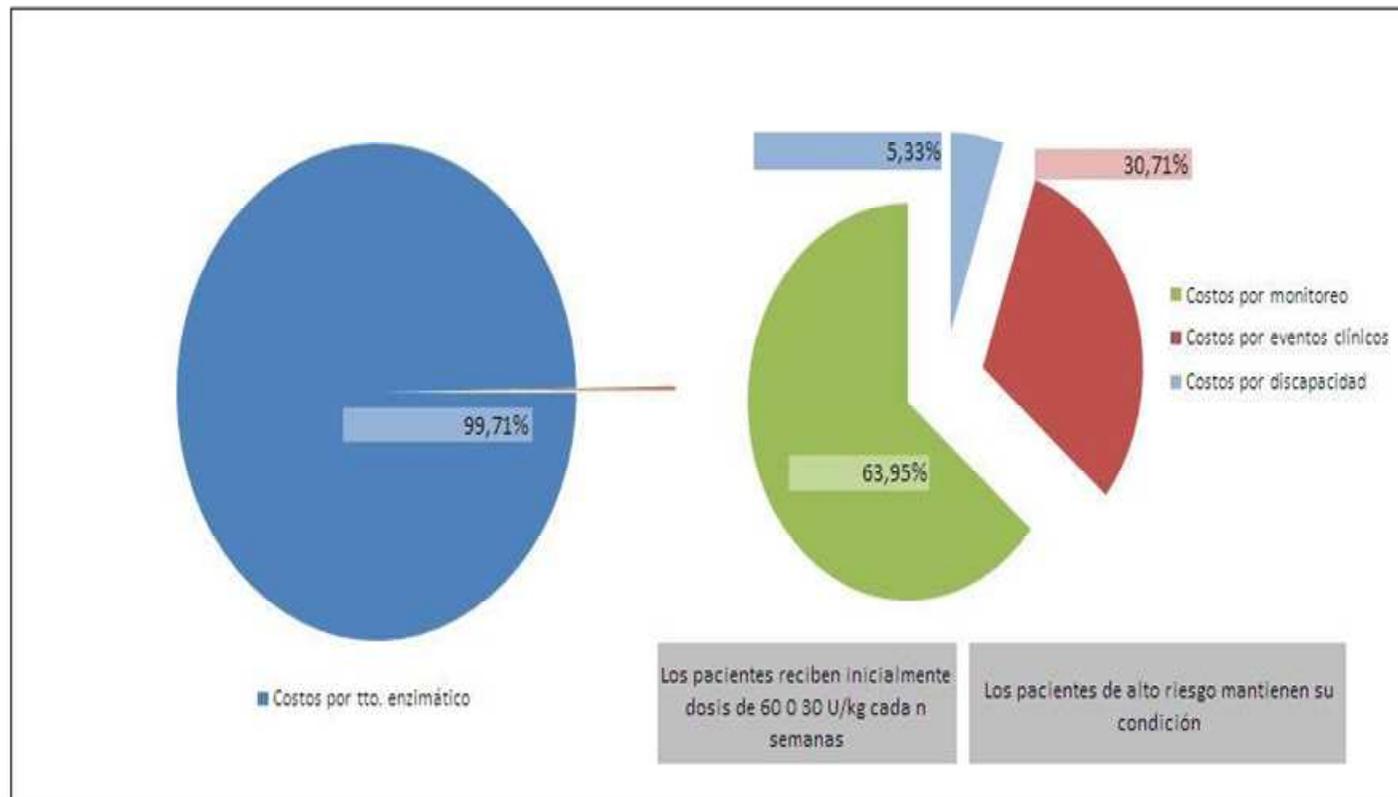


Costos de la TRE para EG tipo I expresados en UPCs del año 2008

Resultados de costo	Escenario Ila, Ideal, dosis reducida, incidencia "baja"		
	Millones \$ # Beneficiarios	Equivalente en UPCs RC	Equivalente en UPCs RS
Costo total TRE 2008-2022	\$581.000 122	1.349.631	2.397.161
Costo total TRE cohorte 2008	\$22.780 75	52.917	93.989
Costo total TRE por paciente 2008	\$306 1	711	1.264



Composición del costo, Gaucher



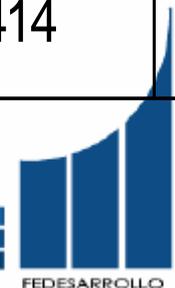
Proporción de costos – Enfermedad de Gaucher

(Dosis regulada sin cambios en la condición de riesgo de los pacientes)



Costos de la TRE para EF expresados en UPCs del año 2008

Resultados de costo	Escenario II, Fabrazyme prevalencia alta			Esce
	Millones \$ # Beneficiarios	Equivalente en UPCs RC	Equivalente en UPCs RS	M # Be
Costo total TRE 2008-2022	\$182.620 37	424.217	753.477	\$
Costo total TRE cohorte 2008	\$5.554 16	12.901	22.914	
Costo total TRE por paciente 2008	\$342 1	796	1.414	



Costos de la TRE para EG tipo I y EF como porcentaje del total presupuestado para el rubro “Apoyo otros eventos y fallos de tutela” FOSYGA, 2008

Resultados de costo	Gaucher		Fabry	
	Escenario IIa	Escenario IIIa	Escenario II	Escenario IV
Costo total TRE 2008-2022	67,2%	123,0%	21,1%	19,4%
Costo total promedio TRE cohorte 2008	2,7%	3,5%	0,7%	0,7%

El total presupuestado para el rubro “Apoyo otros eventos y fallos de tutela” para el año 2008 es \$864.233.477.564



Limitaciones

- POBRE CALIDAD de la información!!!
 - Efectividad
 - Registros de pacientes (propiedad de la industria farmacéutica...)
 - Discapacidad
- No se incluyen costos del diagnóstico
- Datos de costos clínicos de una sola fuente



Para debatir....

- Se están asignando recursos públicos de la salud para financiar intervenciones cuyos beneficios son cuestionables
- Restringir la financiación pública del tratamiento implica que los pacientes con estas enfermedades raras no serán tratados.
- El costo de oportunidad de tratar a estos pacientes es negar tratamientos costo efectivos a un número mayor de pacientes con otras patologías.
- Esta contraposición suscita problemas de equidad y lo que la sociedad considera justo.



Colombia vs otros en dosis/kg (% de pacientes)

DOSIS UI/KG	Colombia	America Lat	Mundo	UK	Israel	Brazil
15-45	7	14	25	75	80	25
45-90	29	52	14	25	12	50
90-150	63	33	61	-	8	25



REGULACION

Brazil pasó de tener a casi 80% de sus pacientes con dosis entre 92-140 UI/kg/mes a 75% con dosis entre 30-60 UI/kg/mes.

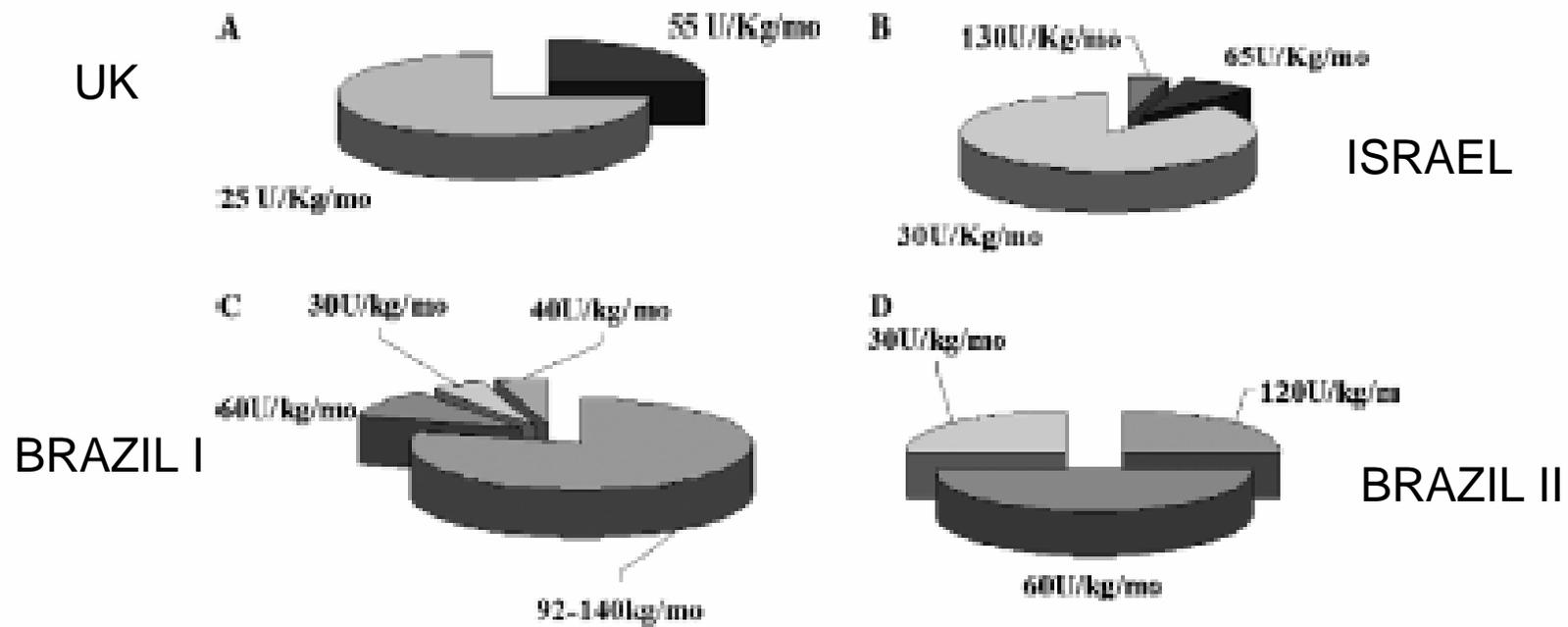


Fig. 8. The effect of regulating enzyme replacement therapy on initial doses in various countries. (A) The United Kingdom (courtesy Prof. Timothy Cox); (B) Israel (courtesy Prof. Ari Zimran); (C) Rio Grande Do Sul, Brazil before standards for therapy were established (courtesy Prof. Paulo Picon, Ida Schwartz and Barbara Krug); (D) Rio Grande Do Sul, Brazil after standards for therapy were established (courtesy Prof. Paulo Picon, Ida Schwartz and Barbara Krug). By comparison, the available data [34] suggest that in the USA the great majority of patients receive more than 100 UI/kg per month.

Alternativas de política

- Manejo centralizado de la TRE
 - Comité técnico
 - Guías de manejo clínico-quièn recibe, què dosis
 - Centros de excelencia-continuidad, monitoreo
 - Exigir calidad registros



Alternativas de política

- Fondos especiales
- “No results, no pay”; Reino Unido
esclerosis múltiple

