

Programa de Acceso a Pacientes con efmoctocog alfa (FVIII recombinante de vida media extendida) para profilaxis en hemofilia A en el Hospital Universitario i Politènic La Fe

Bonad S¹, Poveda JL¹, Megias JE¹, Gallardo-Escudero J², Haya S¹, Cid AR¹, Pérez Alenda S¹, Casado MA²

¹ Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia; ² Pharmacoconomics & Outcomes Research Iberia (PORIB), Madrid.

INTRODUCCIÓN

- Los factores VIII recombinantes (rFVIII) de vida media extendida (EHL) son una nueva opción terapéutica con ventajas clínicas, en términos de eficacia y pauta posológica /frecuencia de administración, para el tratamiento en profilaxis o episódico de pacientes con hemofilia A^{1,2}.
- Los Programas de Acceso a Pacientes (PAP) facilitan el uso de medicamentos innovadores, reduciendo la incertidumbre de su impacto económico en práctica clínica habitual, al considerar un pago diferenciado en función de los resultados sanitarios y/o financieros obtenidos³⁻⁵.

OBJETIVOS

El objetivo es diseñar un PAP en el Hospital Universitario i Politènic La Fe (HUPLF) con efmoctocog alfa (Elocta[®]), rFVIII Fc EHL, para la profilaxis en pacientes con hemofilia A, tratados previamente con rFVIII plasmáticos o convencionales de vida media estándar (SHL).

MÉTODOS

- En el proceso de elaboración del PAP participaron:
 - Miembros del HUPLF: Hematología, Farmacia Hospitalaria y Fisioterapia.
 - Representantes del laboratorio titular de comercialización de efmoctocog alfa.
 - Coordinadores externos como elemento facilitador y mediador entre ambas partes.
- El desarrollo del PAP se realizó de acuerdo a cuatro fases (Figura 1):
 - Fase I. Revisión bibliográfica y elaboración de primera propuesta del PAP.
 - Fase II. Proceso deliberativo con un grupo multidisciplinar del HUPLF.
 - Fase III. Elaboración de conclusiones y desarrollo de propuesta final del PAP.
 - Fase IV. Reunión con responsables del HUPLF y fijación de condiciones finales del PAP.

Figura 1. Fases de desarrollo del PAP

	Fase I	Fase II	Fase III	Fase IV
Objetivo	• Elaboración primera propuesta PAP	• Proceso deliberativo	• Desarrollo propuesta final PAP	• Fijación condiciones finales del PAP
Metodología	• Revisión bibliográfica • Identificación variables en salud más relevantes en Hemofilia A	• Discusión primera propuesta PAP • Recogida conclusiones	• Evaluación resultados fase II • Elaboración conclusiones finales	• Negociación condiciones sanitarias y financieras • Acuerdo y fijación condiciones finales
Participantes	• Laboratorio titular • Coordinadores externos	• Grupo multidisciplinar expertos HUPLF • Laboratorio titular • Coordinadores externos	• Laboratorio titular • Coordinadores externos	• Responsables HUPLF • Laboratorio titular • Coordinadores externos

PAP: Programa de Acceso a Pacientes; HUPLF: Hospital Universitario i Politènic La Fe

RESULTADOS

- En el diseño del PAP se valoraron los siguientes puntos: población diana, resultados a evaluar, horizonte temporal, medida de resultados y condiciones finales del PAP.
 - Población diana:
 - Criterios de inclusión: Pacientes de cualquier edad⁶, con hemofilia A moderada o grave del HUPLF, previamente en profilaxis con rFVIII SHL, que inicien tratamiento en profilaxis con efmoctocog alfa o que ya hayan iniciado este tratamiento, y dispongan de datos retrospectivos con el rFVIII SHL previo.
 - Criterios de exclusión: Pacientes con antecedentes de inhibidores, cirugías programadas o tratados previamente con otro rFVIII EHL.
 - Resultados a evaluar:
 - Variable principal: Consumo farmacológico (UI/kg).
 - Variables secundarias: Vida media (t_{1/2}) del fármaco y tasa de sangrados espontáneos.
 - Otros parámetros (no considerados para las condiciones del PAP): Calidad de vida relacionada con la salud, número de articulaciones diana y número de administraciones.
 - Horizonte temporal:
 - El seguimiento del PAP por paciente, se realizará durante un año desde el inicio del tratamiento con efmoctocog alfa.
 - Medida de resultados:
 - Las variables consideradas serán medidas, evaluadas y registradas por miembros del HUPLF.
 - Se estableció también la periodicidad y el método de medida de las variables (Tabla 1).
 - Condiciones finales:
 - Condiciones del PAP: Se acordaron entre el HUPLF y el laboratorio titular (Tabla 2).
 - Condiciones de reembolso por parte del laboratorio titular de comercialización, en función de la consecución de resultados (Tabla 3).

Tabla 1. Periodicidad de medida de las variables evaluadas en el PAP

	Mes 0 (basal)	Mes 3	Mes 6	Mes 9	Mes 12
Consumo farmacológico	Sí	Sí	Sí	Sí	Sí
Perfil farmacocinético	Sí	—	Sí	—	Sí
Número de sangrados	Sí	Sí	Sí	Sí	Sí
Adherencia	Sí	Sí	Sí	Sí	Sí
Articulaciones diana	Sí	—	—	—	Sí
Calidad de vida	Sí	—	—	—	Sí
Número de administraciones	Sí	—	Sí	—	Sí

PAP: Programa de Acceso a Pacientes

Tabla 2. Resultados evaluados y condiciones del PAP

	Resultados	Variable a medir	Método de medida	Condiciones*
Objetivo primario	Consumo farmacológico	UI por paciente	Recuento UI/kg administradas	Reducción de al menos un 19% frente rFVIII SHL
Objetivos secundarios	Evaluación del perfil farmacocinético	t _{1/2} del fármaco	Herramienta WAPPS-Hemo	Aumento t _{1/2} en 1,5 puntos frente rFVIII SHL
	Número de sangrados	Sangrados espontáneos	Ecografía	Reducción de un 50% sangrados espontáneos frente rFVIII SHL

PAP: Programa de Acceso a Pacientes; t_{1/2}: Vida Media; UI: Unidades Internacionales; rFVIII SHL: Factores VIII recombinantes de Vida Media Estándar.

*Se incluirán pacientes de cualquier rango de edad en tratamiento profiláctico con efmoctocog alfa tal y como se describe en los criterios de inclusión.

Tabla 3. Condiciones de reembolso en función de los resultados

Ahorro del consumo farmacológico	Mejoría del perfil farmacocinético	Reducción de Sangrados	% Reembolso* (% R)
≥19,0%	—	—	0,0%
19,0 - 8,0%	Cumple	Cumple	% R ₁
19,0 - 8,0%	Cumple uno de los dos criterios	Cumple	% R ₂
19,0 - 8,0%	No cumple	No cumple	% R ₃
8,0 - 0,0%	Cumple	Cumple	% R ₄
8,0 - 0,0%	Cumple uno de los dos criterios	Cumple	% R ₅
8,0 - 0,0%	No cumple	No cumple	% R ₆

* % R₁ < % R₂ < % R₃ < % R₄ < % R₅ < % R₆

CONCLUSIONES

- Los PAP basados en resultados son una herramienta muy útil para alinear los intereses y necesidades de profesionales sanitarios, administraciones públicas e industria farmacéutica, ya que responden a las incertidumbres económicas iniciales y generan evidencia en práctica clínica real.
- El desarrollo de un PAP en el HUPLF con efmoctocog alfa, ayudará a establecer un programa de riesgo compartido entre el hospital y el laboratorio titular, asentando las bases para la creación de programas similares en otros hospitales.

REFERENCIAS

- Mahlangu et al. Blood. 2014;123(3):317-25.
- Nolan et al. Haemophilia. 2016;22(1):72-80.
- Carlson et al. Health Policy Amst Neth. 2010;96(3):179-90.
- Espín et al. Gac Sanit. 2010;24(6):491-7.
- Segú et al. 2014; catsalut.gencat.cat
- Ficha técnica Elocta[®]; ema.europa.eu/en