

11 Reunión Científica
Asociación Española de Evaluación de
Tecnologías Sanitarias

**El reto de la evaluación de la medicina
genómica: test diagnósticos y terapias**

Josep M Borràs
Director Pla director d'oncologia
y Universidad de Barcelona
Barcelona, 14 de noviembre del 2014

Consideraciones introductorias

- Terminología:
 - medicina genómica,
 - personalizada,
 - individualizada,
 - estratificada,
 - de precisión
- Son relevantes en la práctica clínica este tipo de pruebas y tratamientos?
- Marcadores de pronóstico vs marcadores predictivos

La secuenciación en la práctica clínica

IOM 2013

- Las posibilidades de la secuenciación del genoma permiten obtener una cantidad de datos que no sabemos interpretar.
- Límites entre investigación y utilidad clínica difusos
- Diferenciar entre '*clínicamente accionable*' (posibilidad de intervenir clínicamente en una alteración encontrada en el marco de una búsqueda extensa de mutaciones), *utilidad clínica* (que permite decisión clínica y mejores resultados clínicos) y *validez clínica* (fiabilidad y precisión de una alteración genética para predecir un problema de salud o que sea relevante clínicamente)

Sobre la implicación para la práctica clínica de los marcadores predictivos de respuesta terapéutica

- Foco: utilidad en la práctica clínica
- Como evaluamos el impacto de un marcador predictivo de la respuesta:
 - Biomarcador se debe evaluar con el tratamiento,
 - Qué significa utilidad clínica
 - Como la establecemos
 - Quién la determina

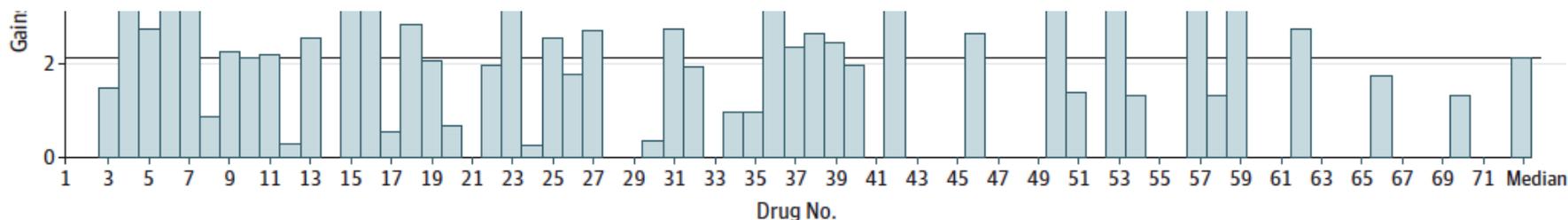
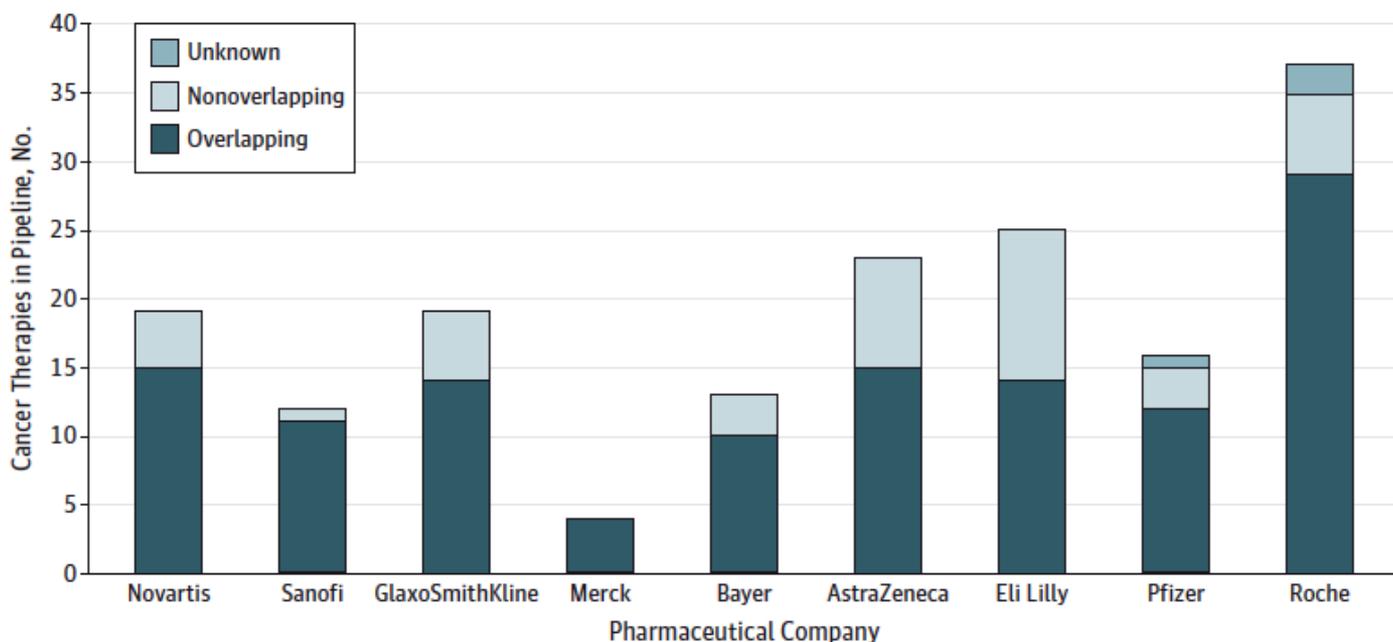
Y para los tratamientos basados en marcadores moleculares?

Implicaciones de coste por paciente:

- Teóricamente mejor racionalización del gasto farmacéutico
- Más aceptables desde la perspectiva de la aprobación de la indicación

Unintended Consequences of Expensive Cancer Therapeutics— The Pursuit of Marginal Indications and a Me-Too Mentality That Stifles Innovation and Creativity

Figure 2. Comparison of Cancer Therapies in the Pipelines of Pharmaceutical Companies According to Their Putative Mechanisms of Action



Risk of incremental toxicities and associated costs of new anticancer drugs: a meta-analysis

(Tannock I et al JCO 2014 in press)

- Drugs approved by FDA from 200-11 and pivotal trials as source of data
- Adverse effects (AE grade III-IV) from experimental and control drugs in pivotal trials: relative and absolute risk
- Meta-analysis
- Estimated of incremental drug prices and cost for management of AE.
- Categories of drugs: target specific, less-specific (including angiogenesis) and chemotherapeutic agents

Risk of incremental toxicities and associated costs of new anticancer drugs: a meta-analysis

- Target specific drugs showed no differences in incidence of AE than control (0.7; CI95% 0.4-1.2) whereas less-specific target drugs (including angiogenesis) (3.4; 2.2:5.1) and chemotherapeutic agents (1.7; 1.2:2.2) were more toxic.
- Median incremental drug price was higher in the experimental drug than in the control group for less specific target drugs and for chemotherapy

Risk of incremental toxicities and associated costs of new anticancer drugs: a meta-analysis

- This abstract allows to analyse the question of access in a more qualitative way:
 - Relevance of safety and risk:benefit ratio of new drugs
 - Impact on health care resources utilization and cost: different drugs showed a higher cost for cancer care
- A relevant question is if these differences should be taken into account in the approval process

La perspectiva de la planificación: cuestiones previas

- Cambia la clasificación de los tumores frecuentes?
- Sirven para estratificar los tratamientos de tumores frecuentes de forma distinta?
- Tiene consecuencias para la mejora de los resultados clínicos?
- Son, por tanto , mejoras que debemos introducir en la práctica clínica?

La perspectiva de la planificación: cuestiones prácticas

- Todos los tumores pueden ser clasificados como raros a largo plazo?
- Como decidimos introducir alguna prueba en nuestro sistema sanitario? Cuando alguien decide que se debe pagar?
- Como decidimos donde se realiza el marcador?
- La experiencia de las plataformas genéticas de cáncer de mama
- Como gestionar la accesibilidad según volumen asistencial y capacidad tecnológica del centro?
- Debemos concentrar según: pacientes, pruebas moleculares, tratamientos, profesionales o todos a la vez?
- Debemos concentrar tratamientos de forma distinta para cada tumor?

Para terminar...

Debemos dar más importancia en términos de evaluación:

- El impacto presupuestario
- Aspectos organizativos que supone el tratamiento o la prueba en cada sistema sanitario
- Calidad de la realización de la prueba
- Valor clínico