

curso de formación sobre HEMOFILIA



Dr. Jose Antonio Romero Garrido

Farmacéutico Adjunto responsable del Area de Hemofilia del Servicio de Farmacia.
Hospital Universitario La Paz. Madrid

Entrevistada:

Dra. María Teresa Álvarez Román

Jefa de Sección de Hemostasia del Servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz. Madrid

EVALUACIÓN, RESULTADOS Y FARMACOECONOMÍA

1

¿Podría describir la evolución de los medicamentos utilizados en hemofilia y el avance de los resultados en salud obtenidos a través de esa evolución de medicamentos?

En los últimos años hemos vivido una auténtica revolución en el campo de la hemofilia y, ahora, tenemos tratamientos mucho más eficaces.

Entre los nuevos tratamientos utilizados en la práctica clínica tenemos, por un lado, los concentrados de vida media extendida, con mejores características de farmacocinética y, por tanto, más eficaces con un menor número de infusiones, y, por otro lado, un tratamiento subcutáneo, el emicizumab, ya aprobado para pacientes con hemofilia con y sin inhibidor.

Entre los concentrados de vida media extendida llaman la atención los del factor VIII de la coagulación (FVIII), que han reducido de forma muy importante el número de infusiones; algunos pacientes precisan infusiones solo cada 21 días.

El impacto que han tenido estos nuevos tratamientos en salud ha sido una disminución muy importante de los sangrados, lo que se traduce en un mejor estado articular, menos dolor, mejor calidad de vida y mayor integración en la vida escolar o laboral, según la edad del paciente. Igualmente, el paciente realiza más actividad física y está más integrado en todos los aspectos de la vida social.

2

¿Qué objetivos tenemos actualmente con los tratamientos actuales en los pacientes con hemofilia? ¿Son coincidentes los objetivos en el tratamiento de pacientes con hemofilia de todos los actores implicados: profesionales sanitarios, pacientes, industria, administración, etc.? ¿Debería intervenir el paciente para fijar los objetivos del tratamiento?

Yo creo que un objetivo común (tanto de los pacientes como de los profesionales sanitarios, administración y compañías farmacéuticas) es lograr la curación de la enfermedad. Pero, mientras esto llega, tenemos el objetivo de conseguir un tratamiento eficaz, seguro y que reduzca tanto la carga de la enfermedad como la carga que puede suponer su tratamiento.

En mente tanto de los pacientes como de los profesionales sanitarios está el objetivo de alcanzar el sangrado cero para evitar el desarrollo de artropatía y los sangrados de riesgo vital.

A la administración quizás le toca el papel más difícil al tener como función ajustar el gasto a los presupuestos. Es difícil, al ser estos tratamientos innovadores más costosos.

En mi opinión, el paciente tiene que estar involucrado en todo el proceso: desde el desarrollo de los ensayos clínicos hasta la toma de decisiones. Ahora que hay un amplio arsenal terapéutico es fundamental que el paciente participe en la toma de decisiones para consensuar el tratamiento, solo de esta manera se conseguirá una buena adherencia al tratamiento.

Lo primero que tenemos que hacer es conocer los objetivos que tiene el paciente, que a veces pueden diferir de los del médico. Y de este modo, posteriormente, podremos elegir el tratamiento y diseñar el esquema de tratamiento que mejor cubra sus necesidades.

3

¿Cómo considera que se debería hacer una evaluación de resultados en salud en la hemofilia? ¿Cómo interviene el paciente en la evaluación de esos resultados? ¿Qué peso tiene o debería tener la mejora en la calidad de vida en esa evaluación de resultados en salud?

Se debería hacer teniendo en cuenta:

- Criterios de eficacia como la tasa anualizada de sangrados, la tasa anualizada de sangrados articulares, la disminución del dolor y la existencia o no de sangrados subclínicos, evaluando estos por los cambios en la sinovial detectados mediante técnicas ecográficas.
- Criterios de seguridad como número de eventos adversos graves, como son la trombosis o el desarrollo de inhibidor contra el factor deficitario o antidroga, según el tratamiento que estemos utilizando.
- Criterios de reducción tanto de la carga de la enfermedad como de la carga que supone el tratamiento de dicha enfermedad, número de infusiones y vía de administración del tratamiento.

El paciente es fundamental en la evaluación de resultados, él tiene sus objetivos predefinidos y, dependiendo de estos, hará su propia valoración de los resultados.

Es fundamental valorar la mejora que pueden suponer los diferentes tratamientos en la calidad de vida de los pacientes. Y, teniendo en cuenta esto, la administración debería hacer un esfuerzo, pero fundamentalmente la industria farmacéutica, para que el precio de estos nuevos tratamientos sea asequible y más pacientes se puedan beneficiar de su utilización.

4

Respecto a esa relación de evolución de medicamentos/resultados en salud, ¿qué parte del total de resultados cree que es atribuible a la evolución de los medicamentos, a los regímenes terapéuticos (demanda/profilaxis) y a la adherencia e implicación del paciente? ¿Cómo cree que los profesionales sanitarios pueden concienciar a los pacientes sobre la importancia de los diferentes factores que podrían contribuir a unos mejores resultados en salud?

Yo creo que todos los factores mencionados son importantes. La profilaxis ha cambiado por completo la evolución de la enfermedad con indicadores como el aumento de la esperanza de vida, que ha pasado de ser de 14 años a prácticamente semejante a la de la población sin hemofilia.

La aparición de tratamientos más eficaces y con formas de administración más sencillas ha contribuido a que estos pacientes sean más adherentes al tratamiento y los resultados sean mejores.

Los profesionales sanitarios debemos acompañar al paciente en todo el proceso para que haga adecuadamente el tratamiento y así obtener el máximo de su eficacia. Debemos diseñar una estrategia terapéutica consensuada y adaptada a sus objetivos y necesidades y explicándole por qué es importante la adherencia al tratamiento.

El uso de aplicaciones educativas para explicar qué es lo que ocurre si no se administra una infusión y aplicaciones en las que se registren estas administraciones son fundamentales para fomentar y controlar la adherencia.

5

Nos gustaría conocer su opinión respecto a la evolución de los costes de los nuevos medicamentos en hemofilia y su relación con los resultados obtenidos en salud. ¿Es un cociente que considere equilibrado? ¿Cree que puede optimizarse ese cociente? ¿Cómo podría colaborar cada «actor» implicado en la atención integral al paciente de hemofilia (industria, administración, pacientes y profesionales) en la mejora de la eficiencia de los tratamientos de los pacientes con hemofilia?

Considero que la mejora de los tratamientos ha sido muy importante en el campo de la hemofilia en los últimos años, pero los costes que suponen son muy difíciles de abordar.

La administración y la industria farmacéutica deben buscar acuerdos innovadores para que estos tratamientos sean coste-efectivos y puedan llegar a más pacientes.

Por otro lado, todos los profesionales sanitarios (y, por supuesto, el paciente) pueden colaborar para optimizar el tratamiento y los costes derivados de este. Los profesionales, personalizando el tratamiento a las características y necesidades de cada paciente, y el paciente, con una adherencia estricta al tratamiento.

6

Finalmente, ¿qué necesidades no cubiertas cree que sigue habiendo en el tratamiento del paciente con hemofilia? ¿Qué propuestas de futuro de cara a una mejor utilización de los recursos podrían llevarse a cabo para mejorar esas necesidades no cubiertas en el paciente con hemofilia?

El paciente sigue teniendo que administrarse tratamiento continuado y de por vida. Por tanto, un tratamiento que administrado una sola vez sea efectivo, como puede hacerse con técnicas de edición génica, sería una solución definitiva que cubriría todas las necesidades que aún tiene el paciente con hemofilia.

Mientras esto llega, el principal problema que tenemos hoy es el elevado coste de los tratamientos y el acceso a ellos. Un esfuerzo es necesario por parte de todos los actores implicados para poder hacer que estos productos sean coste-efectivos.

Con el patrocinio de:

CSL Behring
Biotherapies for Life™