

# curso de formación sobre ANGIOEDEMA HEREDITARIO



## **Dra. Alicia Herrero Ambrosio**

Servicio de Farmacia. Hospital Universitario La Paz (Madrid)

### **Entrevistada:**

#### **Dra. María Isabel Martín Herranz**

Jefe de Servicio de Farmacia Hospitalaria. Complejo Hospitalario Universitario A Coruña

## EVALUACIÓN ECONÓMICA DE LAS ENFERMEDADES RARAS

1

**De forma general, para la utilización de un medicamento y su introducción en los hospitales utilizamos los conceptos *eficacia, seguridad y coste*. ¿Qué grado de aplicabilidad consideras que tiene cada uno de ellos en el ámbito de las enfermedades raras (EERR)?**

Estos parámetros utilizados en la evaluación tradicional de medicamentos pierden en cierta medida su sentido en el caso de los tratamientos de las EERR, dado que la naturaleza de estas enfermedades, su baja prevalencia y los limitados beneficios obtenidos con su tratamiento en algunas patologías ponen en cuestión que el coste-efectividad incremental sea el parámetro más adecuado para su evaluación. Asimismo, el valor del umbral del coste máximo que se está dispuesto a pagar por «años de vida ajustados por calidad» (AVAC) en ocasiones supera al umbral aceptado por las agencias evaluadoras. Además, el carácter progresivo, crónico y discapacitante de muchas de las EERR hace que tengan un gran impacto social, sanitario y económico que hace muy compleja su valoración y la del coste de oportunidad de su tratamiento.

En cuanto a la eficacia de los medicamentos huérfanos, nos encontramos que la evidencia de los ensayos clínicos en muchos casos está basada en variables con relevancia clínica incierta o en variables subrogadas que difícilmente podemos correlacionar con resultados clínicos finales. Por otra parte, existe una controversia siempre presente en este tipo de tratamientos por la dificultad de obtener resultados que aporten modificaciones relevantes en el curso natural de la enfermedad frente a la obtención de eficacia basada en mejorar la calidad de vida, siempre en un contexto donde la ausencia de alternativas terapéuticas es algo habitual en el tratamiento de las EERR.

Por tanto, la incertidumbre de los resultados de eficacia obtenidos en los ensayos clínicos, si de verdad estos resultados aportan mejoras significativas frente a lo ya utilizado, así como el diseño, duración, número de pacientes y tipo de variables utilizadas en los mismos, hace necesario buscar otros sistemas alternativos para la evaluación de estos medicamentos que sirvan para tomar decisiones para su inclusión en la práctica asistencial.

En este sentido, algunos autores consideran que una innovación en salud debe aportar valor en términos de esperanza y calidad de vida para los pacientes cuando se compara con opciones previamente existentes, y esto es especialmente relevante en el ámbito de las EERR, por lo que la valoración basada en eficacia, seguridad y coste parece tener

limitaciones en el caso de estas enfermedades. A esto se une la incertidumbre derivada de los resultados de los ensayos clínicos.

Por esto, y respondiendo a esta primera cuestión, creo que una evaluación basada solo en parámetros de eficacia, seguridad y coste es insuficiente.

2

## ¿Consideras que deberíamos introducir algún otro parámetro necesario?

Opino que sí. Recientemente el análisis de decisión multicriterio (ADMC) se presenta como una herramienta metodológica que, aunque surgió hace tiempo para la toma de decisiones en el sector de empresas industriales y de servicio, se ha aplicado ahora al ámbito de la salud para priorizar intervenciones en función del *valor* relativo que aportan y, más concretamente, en el área de los medicamentos. El ADCM nos aporta una evaluación desde otros puntos de vista en relación con los sistemas tradicionales basados en eficacia, seguridad y coste.

Este valor relativo que un medicamento puede aportar se basa en considerar otros criterios como pueden ser, por ejemplo, la gravedad de la enfermedad, la disponibilidad de alternativas terapéuticas, el grupo de población afectada, la calidad de la evidencia disponible, el grado de innovación tecnológica o el valor para la salud pública. En este sentido, esta metodología de ADCM, que aún es de aplicación reciente en la evaluación de medicamentos, nos aporta una visión desde una perspectiva basada en criterios previamente establecidos que tienen en cuenta aspectos que van más allá de la evaluación del coste/efectividad de un medicamento y que puede complementar perfectamente a la evaluación clásica.

En el ADCM la elección de los criterios y su ponderación ofrecen controversia para algunos autores que encuentran en esta selección elementos de cierta subjetividad. Sin embargo, existe un amplio consenso en relación con la metodología para elegir esas dimensiones de valor y los criterios que deben cumplir, así como su ponderación para incluirlas en el ADCM.

Una definición de los métodos de ADCM que los contextualiza muy bien es que tienen como finalidad tener en cuenta de forma explícita los criterios múltiples implicados en la toma de decisiones, especialmente cuando estas se basan en más de un criterio, considerando siempre que debe ser un proceso replicable y transparente.

Uno de los marcos de trabajo del ADCM más conocidos y utilizados es EVIDEM (*Evidence and Value: Impact on Decision-Making*), que incluye en su última revisión un panel de 13 criterios que son: gravedad de la enfermedad, tamaño de la población afectada, necesidades no cubiertas, efectividad comparada, seguridad/tolerabilidad comparada, resultados reportados por los pacientes comparados, tipo de beneficio preventivo, tipo de beneficio terapéutico, coste comparado de la intervención, otros costes sanitarios comparados, costes no sanitarios comparados, calidad de la evidencia y, por último, consenso de expertos/guías de práctica clínica.

3

## ¿Consideras que la consolidación de los informes de posicionamiento terapéutico (IPT) como instrumento de referencia para el posicionamiento y también para la evaluación económica del coste-efectividad de los medicamentos en el Sistema Nacional de Salud (SNS) va a solucionar este problema?

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios elabora los IPT como canal de comunicación del posicionamiento terapéutico nacional de un nuevo fármaco y para dar soporte a las decisiones de precio y financiación. Estos informes están basados fundamentalmente en criterios de eficacia y seguridad comparativas.

Como novedad en esta área, se ha desarrollado y aprobado recientemente el Plan para la Consolidación de los IPT con el objetivo de consolidar los IPT en el SNS como instrumento de referencia para el posicionamiento y la evaluación económica del coste-efectividad de los medicamentos y la mejora de su proceso de evaluación mediante la inclusión de información

fármaco-económica, un mayor análisis de las alternativas terapéuticas, valoración del beneficio clínico incremental del medicamento e identificación de grupos y subgrupos en los que el medicamento pueda tener una mayor aplicación.

Para ello, se crea una red de evaluación **REvalMed** que establece siete nodos, uno de ellos de EERR, constituida por expertos gestores y clínicos que ayuden a la revisión del IPT en aspectos evaluación terapéutica y farmacoeconómica.

Es de esperar que la constitución de un nodo específico en el área de las EERR con expertos de las comunidades autónomas en esta materia tenga en cuenta las particularidades de la evaluación de medicamentos, especialmente en lo referido antes sobre el valor para el paciente y la sociedad.

4

**A menudo, las innovaciones farmacéuticas traen consigo nuevos retos de financiación, por lo que los sistemas están optando por introducir mecanismos más ágiles y adaptables. En este sentido, los acuerdos de entrada controlada (*managed entry agreements* [MEA]) están teniendo un papel creciente en la mayor parte de los países desarrollados como mecanismos de reembolso que permiten acceder a fármacos sobre cuyos resultados clínicos o financieros hay falta de evidencia. Así, nos encontramos con dos tipos principalmente:**

- **Los acuerdos basados en resultados financieros: acuerdos precio-volumen, los techos de gasto, los esquemas de acceso de los pacientes (incluyen dispensación gratuita o descuentos durante un período establecido de antemano) y los centrados en la utilización (límites de uso, tiempo o coste).**
- **Los contratos basados en el rendimiento o en los resultados clínicos.**

**¿Cómo ves estos tipos de acuerdos en las EERR? ¿Cuál de ellos sería aconsejable abordar?**

Es cierto que los acuerdos de entrada controlada, que podemos asimilar a acuerdos de riesgo compartido, son herramientas útiles cuando existe incertidumbre acerca de la eficacia de un medicamento o bien de su utilización en la práctica clínica real. Cualquiera que sea el tipo de acuerdo o la modalidad elegida, pueden resultar herramientas muy útiles, ya que en general permiten un acceso de los pacientes a estos tratamientos más rápido y obtener un retorno económico o compensación en el caso de que no se obtengan los resultados esperados.

Si se pretende aminorar el impacto presupuestario, es adecuado decantarse por un acuerdo precio-volumen o un techo de gasto. Si por el contrario existe incertidumbre clínica o sobre su coste-efectividad, se podrán utilizar acuerdos basados en los resultados clínicos.

En cualquier caso, lo importante es que hemos entrado en una dinámica de cambio en cuanto a las condiciones de financiación de los medicamentos que marca un camino hacia una cultura de registro de los resultados en salud, así como también a la existencia de unos criterios comunes y consensuados de lo que se considera respuesta terapéutica. El registro y la evaluación de los resultados de los medicamentos una vez puestos en el mercado como parte de los acuerdos para su financiación era algo impensable hace algo más de una década en nuestro país. Pero, para que este tipo de acuerdo sea más fácilmente aplicable, es necesario mejorar los sistemas de registro de la información clínica y la interoperabilidad de los sistemas.

En el caso de las EERR y los medicamentos huérfanos, este tipo de acuerdos encuentra su razón de ser al tratarse de un ámbito de máxima incertidumbre en cuanto a los resultados en la práctica real y en el alto coste de los medicamentos. El número reducido de pacientes en estas patologías también facilita la implantación de sistemas de registro de los datos.

