

De la efectividad relativa a la utilidad terapéutica de los medicamentos

Juan del Llano, Julián Ruiz, Jaume Puig, Carlos Polanco, Jaime Espín, Pedro Gómez y
Gema Pi.

Documento final.

Informe encargado por GSK a la Fundación Gaspar Casal.

Madrid, 31 marzo 2009

Índice:

1. Introducción

- 1.1. Antecedentes
- 1.2. El concepto de utilidad terapéutica
- 1.3. La utilidad terapéutica en el contexto europeo

2. Objetivos

3. **Documento de síntesis:** ¿Qué es y para que sirve la utilidad terapéutica?: de la efectividad relativa de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental sobre la salud

- 3.1. Introducción
- 3.2. El concepto de utilidad terapéutica: más allá de la semántica
- 3.3. Innovaciones regulatorias en el sistema comparado (UE)
- 3.4. El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio
- 3.5. A modo de epílogo

4. **Abordaje cualitativo:** Análisis del discurso a partir de los Grupos de Discusión

- 4.1. Concepto y aplicación de la utilidad terapéutica de los medicamentos y otras tecnologías sanitarias en España: Análisis del discurso a partir de los Grupos de Discusión
- 4.2. Utilidad terapéutica como valor relativo
- 4.3. Su medición: potencial de la historia clínica electrónica y las TICs
- 4.4. Evolución de la indicación, financiación selectiva *y me-toos*
- 4.5. Fármacos vs. otras tecnologías sanitarias
- 4.6. Papel de las agencias: ¿evaluadoras y/o decisoras?
- 4.7. Ministerio de Sanidad y Consumo, Ministerio de Economía y Ministerio de Ciencia y Tecnología
- 4.8. Contratos de riesgo compartido
- 4.9. Papel de la evaluación económica
- 4.10. Necesidad de transparencia
- 4.11. Oportunidad de una agencia de ámbito europeo
- 4.12. Diferencias entre grupos

5. Conclusiones

6. ¿Cómo avanzamos?

7. Referencias bibliográficas

Anexo I: Guías

Anexo II: Participantes

1. Introducción

La evaluación de los medicamentos ha transcurrido por diferentes fases en relación con el progreso científico, las necesidades terapéuticas y con la situación económico-sanitaria reinante en cada momento. En la década de los setenta se produjo la gran eclosión de la investigación clínica, realizándose ensayos clínicos cuyos resultados aportaban credibilidad y validez. En la mayoría de los países se hizo indispensable la realización de ensayos clínicos (EC) para valorar la eficacia y seguridad de cualquier nuevo medicamento, en la fase previa de autorización de registro. A partir de la segunda parte de la década de los ochenta se han ido desarrollando métodos de análisis de evaluación económica de medicamentos (AEEM), con la pretensión de calcular la eficiencia como criterio de priorización en un entorno en el que los recursos públicos disponibles pueden no ser suficientes para satisfacer una demanda cada vez mayor.

El concepto de **eficacia relativa** está cada vez más presente en las evaluaciones económicas de medicamentos que realizan los Estados miembros de la Unión Europea. La eficacia relativa consta de dos componentes: el **valor terapéutico añadido** (VTA) de un medicamento (su eficacia clínica frente a otros medicamentos) y su **rentabilidad**, basada en el VTA y que introduce la consideración del precio en la comparación. Las autoridades competentes cada vez tienen más presente la rentabilidad al tomar sus decisiones, ya que la permanente incorporación de nuevos medicamentos constituye un importante factor de aumento de los costes de la asistencia sanitaria.

Las Autoridades Sanitarias tienen como competencia autorizar el registro de los nuevos medicamentos, establecer su precio y decidir sobre su reembolso a cargo del presupuesto del Sistema Nacional de Salud. La utilización de los

AEEM como herramienta para determinar dónde y en qué invertir los recursos disponibles -junto con la evaluación de la eficacia, seguridad y calidad- constituye un instrumento de ayuda para la toma de decisiones y la asignación de recursos, permitiendo incluir dentro del reembolso público a los medicamentos con una mejor relación coste-efectividad. De esta manera, las Autoridades Sanitarias estiman que se incrementará el correcto uso de los medicamentos, utilizándose los más adecuados a cada situación, redundando todo ello en un aumento de la calidad asistencial.

En España, la Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos, realiza una clara vinculación entre la utilidad terapéutica de un medicamento y la financiación selectiva, señalando que será la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios –AEMPS- la que realizará los informes que, entre otras cosas, ayudarán en la toma de decisiones sobre el precio (art. 90) y sobre la inclusión o no en la financiación pública (art. 89). Para esta financiación pública, además de la utilidad terapéutica, otros criterios serán también tenidos en cuenta, como son el grado de innovación del medicamento, la gravedad de la enfermedad, etc. Este artículo 89 de la ley, aunque en relación a la enumeración de la utilidad terapéutica como criterio a tener en cuenta para la financiación pública no difiere de su predecesor (art. 94 de la ley 25/1990, de 20 de diciembre, del medicamento), si incluye dos conceptos que son de gran repercusión: en primer lugar, habla de financiación selectiva e indiscriminada; y en segundo lugar, el grado de innovación es otro de los elementos a tener en cuenta para la financiación.

Ante esta lectura de los artículos de la Ley, es necesario tener una definición clara de que conceptos o criterios nos pueden ayudar para medir la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento, especialmente teniendo en cuenta que si

bien existe una clara asociación entre utilidad terapéutica y resultados clínicos (contraindicaciones, efectos adversos, etc.), posiblemente esa relación tenga que tener una definición más amplia donde se incluyan más elementos.

1.1. Antecedentes

Un reciente informe de la Agencia Estatal de Evaluación de las Políticas Públicas y la Calidad de los Servicios (www.aeval.es), dependiente del Ministerio de Administraciones Públicas, analiza el Plan Estratégico de Política Farmacéutica para el Sistema Nacional de Salud español de noviembre de 2004. Entre las medidas sugeridas por el informe para avanzar en los objetivos del Plan Estratégico se sugiere el desarrollo de medidas que permitan "la aplicación efectiva del principio de financiación selectiva", para lo que considera necesario la implantación de un "procedimiento reglado y basado en la evidencia científica" que cuantifique el valor terapéutico de los medicamentos a financiar basados en su eficiencia. Asimismo, afirma que es necesario plantear, de manera conjunta entre Estado y CCAA, una línea de trabajo con la que evaluar la utilidad terapéutica de los medicamentos, bajo la coordinación de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

1.2. El concepto de utilidad terapéutica

En el año 2004, en un informe realizado para la Comisión Europea sobre la innovación en el sector farmacéutico¹, se señala como recomendación la

¹ Innovation in the pharmaceutical sector, A study undertaken for the European Commission by: Charles River Associates, 8th November 2004

estandarización del concepto utilidad o valor terapéutico, y exactamente propone “el desarrollo de una metodología común en la UE para la evaluación clínica relativa y coste efectividad. Si se hiciera a nivel europeo, proporcionaría un punto de referencia útil para la evaluación de la calidad de la innovación farmacéutica (en términos de valor terapéutico de nuevos productos)²”. Ese mismo informe define el término innovación como el “progreso tecnológico que lleva a la creación de un nuevo producto o a la reducción en el coste de producción o a un incremento del valor terapéutico de un producto existente”

Aunque la Ley 29/2006 utiliza el término utilidad terapéutica, existen en el entorno otras denominaciones que vienen a significar más o menos lo mismo, como por ejemplo, aportación terapéutica, que es la expresión que utiliza el Comité Mixto de Evaluación de Nuevos Medicamentos³, o valor terapéutico añadido, traducción del anglosajón “*added therapeutic value*”. Este documento los utilizará de un modo indistinto.

La tendencia ha sido entender la utilidad terapéutica sólo con criterios clínicos, pero un concepto amplio de utilidad terapéutica nos llevaría a incluir no únicamente esos beneficios clínicos, sino también los económicos y de calidad de vida que derivan de utilizar un tratamiento. Un ejemplo puede ser la utilización o no de la mejora del cumplimiento terapéutico como elemento a tener en cuenta en la utilidad terapéutica. Si no se tiene en cuenta, puede darse el caso de un medicamento que con una mayor eficacia y mayor seguridad que el de referencia, y que por tanto tendría una alta calificación como novedad terapéutica, tuviera, sin embargo, una baja adherencia porque este nuevo fármaco requiere cuatro tomas diarias y el anterior sólo una.

² Traducción del autor

³ Evaluación de nuevos medicamentos en España. Boletín Terapéutico Andaluz. Año 2007, Volume 23, nº1

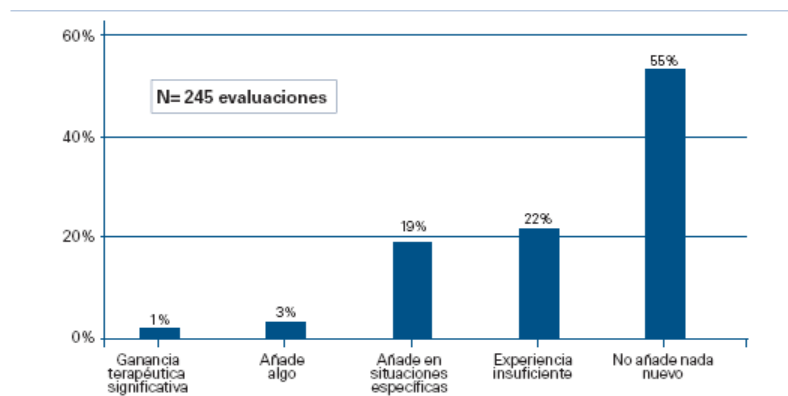
El tema de los costes asociados a los nuevos medicamentos requiere un análisis pormenorizado que se tiene que completar con los estudios de evaluación económica. Comparar solamente los precios de medicamentos (o costes por DDD), que suele asemejarse a un análisis de minimización de costes, no es recomendable ni por consistencia ni por rigor.

Por tanto, en el concepto de utilidad terapéutica se deben incluir elementos como:

- Grado de innovación del fármaco, en el que se tendrán en cuenta su calidad, eficacia y seguridad en relación a los tratamientos alternativos disponibles.
- Importancia de la patología. Por ejemplo, los nuevos tratamiento en cáncer deben tener una mayor prioridad que aquellos medicamentos destinados a otras enfermedades “menores”
- Número de personas afectadas. Se deberá tener en cuenta el valor añadido que puede aportar a la sociedad este nuevo fármaco y si la necesidad médica no está cubierta, por ejemplo, medicamentos huérfanos.
- Facilidad en el seguimiento del tratamiento. El cumplimiento terapéutico y la adherencia son muy importantes, y se deberá asignar una mayor utilidad terapéutica a aquellos que los faciliten (1 toma en vez de tres, por ejemplo).
- Necesidades en el sistema sanitario. Los nuevos medicamentos deben cubrir los huecos terapéuticos de los que ya existen en el sistema sanitario y no centrarse tanto en modificaciones de los ya existentes (me-toos). Deberían existir unas guías que marquen las prioridades terapéuticas y que sirvan asimismo de orientación para la recompensa de la innovación.
- Calidad de vida del paciente. Las experiencias y preferencias del paciente, así como su grado de satisfacción con el tratamiento, también han de ser tenidos en cuenta.

La práctica habitual en España es la financiación pública de la mayor parte de los medicamentos que se incorporan al mercado. Sin embargo, como puede verse en el gráfico 1, sólo un número pequeño de fármacos es calificado por tres centros regionales de evaluación de medicamentos (Andalucía, País Vasco y Cataluña, con datos entre 1994 y 2005) con “Ganancia terapéutica significativa” o “añade algo”, destacan la evaluación de “no añade nada nuevo” como la prevalente.

Gráfico 1: Respuestas de evaluación según grado de innovación



Fuente: B. Jönsson, U. Staginnus y N. Wilking. Acceso a fármacos para el cáncer y el rol de la economía de la salud. Revista Española de Economía de la Salud. Vol 6. Nº 3

Como comentamos anteriormente, la nueva ley encarga a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios la realización de los informes de utilidad terapéutica, y señala que contará “con una red de colaboradores externos constituida por expertos independientes de reconocido prestigio científico, que serán propuestos por las Comunidades Autónomas, en la forma que se determine reglamentariamente” (art 90). Siguiendo este esquema, sólo los que añadan algo o tienen una ganancia terapéutica significativa mostrada podría entrar en distintos esquemas de financiación pública.

1.3. La utilidad terapéutica en el contexto europeo

Desde el punto de vista de las decisiones sobre precios y reembolsos, en los Estados miembros de la Unión Europea hay variados sistemas obligatorios o voluntarios que ofrecen un mecanismo para la asignación de recursos limitados en el que se tienen en cuenta las cuestiones relacionadas con la eficacia relativa. Los primeros países en solicitar evaluaciones económicas de medicamentos (EEM) como requisito legal para decidir el reembolso de los nuevos medicamentos, fueron primero Australia y después Canadá. En Australia existen guías muy detalladas para la presentación de estudios de evaluación económica en el proceso de solicitud de reembolso para nuevos fármacos, nuevas indicaciones y en la solicitud de expansión del número de pacientes a ser tratados. En el caso de Canadá, la información económica es obligatoria para algunos fármacos; las empresas farmacéuticas deben incluir la información económica en la solicitud de reembolso en varias provincias y existe un organismo – *Canadian Co-ordinating Office for Health Technology Assessment* – que realiza estudios de evaluación económica de fármacos ya existentes. Desde entonces, alrededor de una decena de países, la mayoría de ellos en Europa (Portugal, Holanda, Finlandia, Noruega, Dinamarca, Alemania y Suecia, y en menor medida Italia y Bélgica), han requerido formalmente EEM a las compañías farmacéuticas como paso previo a la fijación de precio y/o a la financiación pública de los nuevos medicamentos para la toma de decisiones. En el caso de Holanda, la Federación de Fondos de Enfermedad requiere la evaluación económica como requisito de reembolso en las innovaciones terapéuticas.

En el Reino Unido, el NICE (*National Institute for Health and Clinical Excellence*, establecido en 1999) se encarga de decidir cuáles de los nuevos medicamentos comercializados serán reembolsados con cargo al SNS para Inglaterra y Gales.

Uno de los criterios que tiene en cuenta este organismo a la hora de tomar decisiones, es la eficiencia del nuevo medicamento respecto a los ya existentes, por lo que la presentación de EEM a este organismo cuando se solicita el reembolso es imprescindible.

En Italia, la información económica, es considerada como input en la solicitud de reembolso de nuevos fármacos, el Ministerio de Sanidad solicita justificación económica de los nuevos fármacos, aunque no existe claridad sobre como esta información se evalúa.

Una de las características principales que tienen los países europeos para la fijación del precio de los medicamentos es la constante referencia a los precios de los países del entorno (conocido como *internacional reference pricing*).

Esta situación plantea ciertas incongruencias. Tomemos por ejemplo un país que al decidir el precio de su medicamento está tomando en cuenta dos elementos (utilidad terapéutica y precio internacional de referencia) que nos pueden dar las siguientes situaciones: país que no tiene en cuenta la evaluación económica a la hora de fijar el precio o financiación de un medicamento y en cambio si tiene en cuenta el precio de otro país que si la utiliza; país de precio regulado que tiene en cuenta el precio de otros país cuyo precio es libre, etc. De hecho, en un reciente estudio⁴ se señala que uno de los países que es más referenciado es Alemania, país con los precios más altos, situación que produce inevitablemente que los precios europeos suban sin tener en cuenta su utilidad terapéutica (convergencia de precios de los medicamentos en el entorno europeo).

⁴ Espín, J. y Rovira, J. (2007): «Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe», A study funded by DG Enterprise and Industry of the European Commission, EASP Final Report, June 2007.

Hay que destacar que en el marco del *Pharmaceutical Forum*⁵ se han constituido varios grupos de trabajo, destacando el de Efectividad Relativa⁶, que ha tratado de buscar el intercambio de información entre los Estados Miembros sobre el concepto de valor terapéutico relativo. En este sentido, se determinaron tres parámetros distintos a la hora de realizar la evaluación de la efectividad relativa: los parámetros clínicos/terapéuticos, los de calidad de vida y los socio-económicos.

La inclusión o no de los aspectos económicos dentro del concepto utilidad terapéutica es algo complejo. En un glosario realizado durante las sesiones del grupo de trabajo del *Pharmaceutical Forum* de la Unión Europea, se clarificó que el concepto de efectividad relativa incluye dos elementos, utilidad terapéutica y coste efectividad, y clarifica que el concepto utilidad terapéutica siempre evalúa los beneficios y riesgos de los medicamentos, sin tener en cuenta las consideraciones económicas. Sin embargo, es importante tener en cuenta los conceptos de eficiencia e impacto presupuestario para tener una verdadera realidad de que es utilidad terapéutica como concepto global.

Es importante destacar que tres fueron los objetivos de este grupo de trabajo⁷, porque en parte tiene mucho que ver con este documento de revisión del concepto utilidad terapéutica: en primer lugar, desarrollar mecanismos que incrementen la calidad y cantidad de los datos disponibles que permiten realizar las evaluaciones y tener en cuenta como trabajar con la incertidumbre;

⁵ http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_en.htm

⁶ The Working Group on Relative Effectiveness aims to support Member States apply Relative Effectiveness systems in order to allow containment of pharmaceutical costs as well as a fair reward for innovation. Relative Effectiveness systems are relatively new for many Member States and rather complex. Nevertheless the outcome of relative effectiveness is promising as they will help allow identify the most valuable medicines, both in terms of clinical efficiency as of cost-effectiveness, and will help set a fair price for these medicines. The Working Group will bring experiences of different Member States and of industry together in order to further develop this promising field

⁷ http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_mtng_20070626.htm

en segundo lugar, mejorar el grado de consenso a nivel europeo sobre los datos necesarios para realizar estudios de utilidad terapéutica y coste efectividad; y por último, desarrollar una propuesta para analizar los actuales procesos de evaluación e identificar buenas prácticas.

Seguidamente se detalla como se utiliza la evaluación de las innovaciones terapéuticas en algunos países de la Unión Europea para la fijación del precio y la financiación pública o no de los medicamentos.

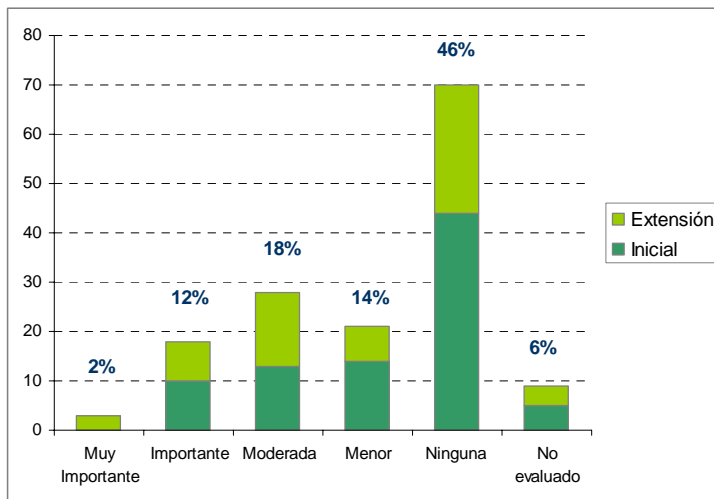
Francia

Francia es uno de los países en el contexto europeo donde existe una clasificación y delimitación del concepto valor terapéutico. Si un medicamento quiere estar en la lista positiva de medicamentos reembolsables (financiación pública), previamente se realiza un informe donde el Comité de Transparencia determina su clasificación según su beneficio actual (*SMR- Service Médical Rendu*) que puede ser: muy importante, importante, bajo o insuficiente. Los criterios principales que se tienen en cuenta son: el nivel de eficacia (beneficios/riesgos), el impacto en la salud pública, y la gravedad de la enfermedad. Los medicamentos que son calificados como insuficientes son excluidos de la financiación.

La fijación del precio se determina mediante el criterio de mejora del beneficio (*ASMR- Amélioration du SMR*), donde se compara el nuevo medicamento con el de referencia. La calificación puede ser muy importante (*ASMR I*), importante (*ASMR II*), moderada (*ASMR III*), menor (*ASMR IV*) y no hay mejora clínica (*ASMR V*). Si no hay mejora, el medicamento puede ser reembolsado solamente si el precio es inferior a su comparador. En cambio, si existe mejora, el precio puede ser mayor que el de referencia. En este contexto,

los que han obtenido la máxima calificación (I, II y II), consiguen un mejor precio además de una más rápida accesibilidad al mercado porque se produce una notificación de precio en vez de una negociación. Un detalle de las evaluaciones del año 2006 puede verse en el gráfico 2, clasificación que coincide en parte con los porcentajes del gráfico 1 (evaluaciones de los centros de las CCAA en España).

Gráfico 2: ASMR en 2006 -Inicial + Extensión de la indicación (n=152)



Fuente: Elaboración propia con datos del Ministerio de Salud francés

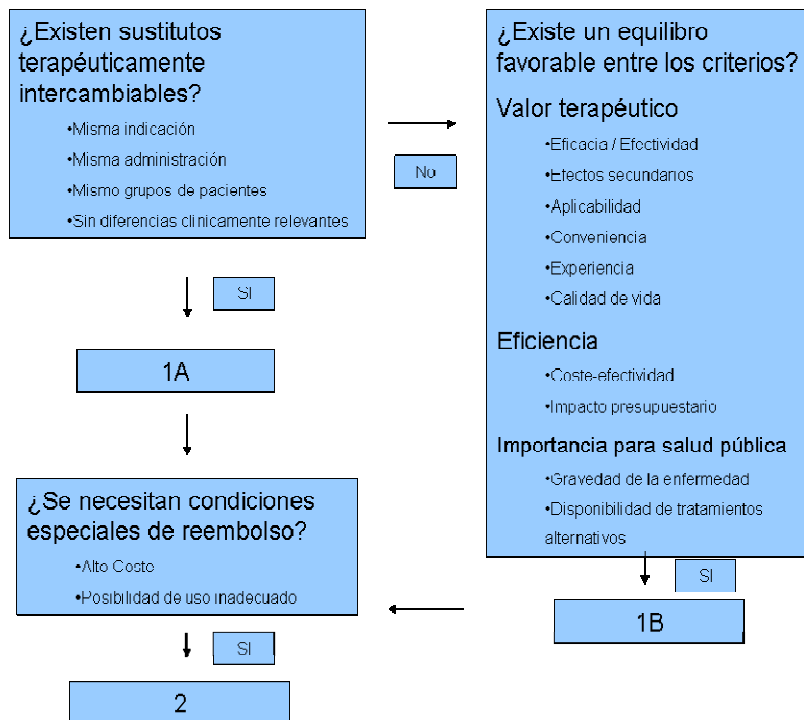
Holanda

En Holanda, los elementos que configuran la utilidad terapéutica de un medicamento están especificados a priori y son los que ayudan a determinar el tipo de reembolso asignado. En este sentido, dentro del concepto de valor terapéutico se encuentra la eficacia/efectividad, los efectos secundarios, la aplicabilidad, la conveniencia, la experiencia y la calidad de vida. Aparte de la utilidad terapéutica, se tiene en cuenta la eficiencia a través de estudios de evaluación económica y de impacto presupuestario, así como la importancia de

ese medicamento para la salud pública (gravedad de la enfermedad, disponibilidad de tratamientos alternativos, etc)

Como se puede observar en el gráfico 3, la financiación pública en Holanda tiene distintas clasificaciones dependiendo de la existencia o no de sustitutos terapéuticamente intercambiables. En el grupo 1A se recogen los medicamentos que tienen referencia y cuya financiación pública se realiza de acuerdo a la media de los que están en el mismo grupo terapéutico. Aquellos medicamentos que se clasifican en el grupo 1B no disponen de referencia para reembolso, por lo que su límite dependerá de su valor terapéutico y evaluación económica. Por último, los medicamentos que se encuentra en el grupo 2 son medicamentos con un reembolso condicionado (limitación de indicación, protocolos de tratamiento, etc.) donde las aseguradoras sanitarias pueden poner condiciones o incluso solicitar autorizaciones previas (tipo visados).

Gráfico 3: Valoración de la utilidad terapéutica en Holanda para el reembolso de medicamentos



Fuente: Elaboración propia con datos del Ministerio de Salud de Holanda

Bélgica

La Comisión de Reembolso de Medicamentos (Comisión de Remboursement des Médicaments-CRM-) de Bélgica utiliza la eficacia, seguridad, la comodidad y conveniencia del uso y la aplicabilidad. Si al medicamento se le encuentra una utilidad terapéutica añadida importante, se le clasifica como Clase 1 y se le exige a la industria la aportación de estudios farmacoeconómicos. El resto de los productos son calificados como Clase 2 (la Clase 3 está reservada para las copias y los genéricos).

Suecia

En el año 2002 se produjo una importante reforma en Suecia en el sistema de reembolso de medicamentos. Varias fueron las razones que justificaron este cambio, especialmente, el importante aumento en el gasto público desde los años 90, pero las autoridades suecas alegaron que una de las primera razones era no saber si los medicamentos merecían su precio (*value for money*) y si los aumentos en costes estaban equilibrados con un aumento en valor terapéutico. Tras esta reforma, la evaluación económica, con la perspectiva de la sociedad, juega un papel clave en los sistemas de reembolso de Suecia.

Reino Unido

El Reino Unido es uno de los pocos países donde el precio de los medicamentos innovadores es libre y que por tanto no se tiene en cuenta su utilidad terapéutica para la fijación de su precio. Sin embargo, para la financiación

pública, se tiene en cuenta su utilidad terapéutica a través de las evaluaciones que el NICE – *National Institute for Health and Clinical Excellence*-, realiza.

En un reciente informe de la *Office of Fair Trading* (Comisión de la Competencia) para evaluar el sistema de reembolso del Reino Unido, que está basado principalmente en el precio libre de los medicamentos con un control de beneficios, recomendaba que se cambiara a un enfoque basado en su valor (*value-based approach*) que permitiera garantizar que el precio de los medicamentos reflejara su valor clínico y terapéutico. En ese mismo informe se indicaba que la noción de valor terapéutico no sólo debe recoger los beneficios que produce al paciente, sino también a todos los que están afectados por su condición, como por ejemplo, sus cuidadores.

Alemania

En Alemania muchos medicamentos se reembolsan de acuerdo a su grupo de referencia. Si un medicamento aporta un valor terapéutico añadido, ese medicamento no forma parte del grupo y su reembolso íntegramente. Las aseguradoras (G-BA) ⁸ pueden limitar el nivel de reembolso en base a los resultados de estudios de evaluación económica.

Recientemente se creó el IQWiG – *German Institute for Quality and Efficiency in Health Care*- que realiza estudios de evaluación de la evidencia tanto para el Ministerio de Salud como para la G-BA. Actualmente está en fase de incorporar, junto a la evaluación de beneficios clínicos, los estudios de evaluación económica en sus decisiones.

⁸ G-BA=Joint Federal Committee of Physicians, Dentists, Hospitals, and Health Insurance Funds

Finalmente, merece mención el proyecto EMINet – *European Medicines Information Network*- cofinanciado por la Comisión Europea, tiene una duración de cuatro años, y ha sido iniciado a finales del año 2008. Participan GÖG/ÖBIG (Instituto Austriaco de Salud), EASP (Escuela Andaluza de Salud Pública) y LSE Health (Health Research Centre of the London School of Economics)

El objetivo principal del proyecto es aumentar el conocimiento mutuo de los sistemas de precios y reembolso de medicamentos de los Estados Miembros de la Unión Europea y dar la oportunidad de intercambio de información que permita una transferencia de conocimiento y diseminación de datos y análisis.

El proyecto creará una página Web con información, realizará análisis de temas relevantes en materia de precios y reembolso de medicamentos, actuará como soporte técnico en algunas de las actividades de la Comisión Europea, etc.

Este proyecto va a facilitar el intercambio de información en materia de política farmacéutica lo que va a contribuir a la búsqueda de buenas prácticas.

Algunas experiencias anteriores fueron desarrolladas por la EASP en el marco del High Level Pharmaceutical Forum y publicas en el informe “Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe” (http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_en.htm)

2. Objetivos

El primer objetivo de este estudio es disponer de un documento que ponga al día sistemáticamente todo aquello que pueda ser considerado bajo la rúbrica de utilidad terapéutica. Este documento pretende analizar las diversas interpretaciones que pueden hacerse del concepto de utilidad terapéutica y describir como se encuentra el debate en el contexto europeo y muy especialmente, en España.

El segundo objetivo es conocer las opiniones de expertos acerca de los contenidos del documento de síntesis previamente generado con la emisión de juicios críticos sobre la caracterización del concepto, las opciones posibles en nuestro país, a través de la ejecución de dos grupos de discusión (*focus group*), con sus respectivos análisis del discurso finales. El primero, más macro, reunió tanto a miembros de los distintos Centros de Evaluación Medicamentos Regionales, de las Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y de las Direcciones Generales de Farmacia de distintas CCAA, así como expertos procedentes de la universidad. El segundo, más meso-micro, contó con prescriptores, farmacéuticos, farmacólogos, gestores y foro de pacientes (ver anexo, lista de participantes).

3. Documento de síntesis: ¿Qué es y para que sirve la utilidad terapéutica?: de la efectividad relativa de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental sobre la salud

3.1. Introducción

La cuestión relevante sobre la deseabilidad de los aumentos del gasto sanitario reside en saber si más dinero para la atención sanitaria permitirá conseguir una mejor salud y calidad de vida relacionada con el estado de salud. Otro aspecto que cobra una importancia creciente es que el único resultado que se valora de la atención sanitaria no es la mejora en la salud sino que los pacientes, y sus familiares, tienen muy en cuenta la satisfacción con el propio proceso de la atención (información, trámites burocráticos, comodidad, amabilidad, etc.).

La deseabilidad del aumento de la financiación destinada a los servicios sanitarios depende del valor de las mejoras de salud y de bienestar que supongan los servicios concretos en los que se invierta. El problema real que enfrenta el SNS no es tanto la factibilidad o *sostenibilidad* de los aumentos del gasto sanitario público como la *deseabilidad* social del mismo. Aún cuando nos podamos permitir determinados crecimientos en el gasto, la pregunta relevante, a suscitar en tiempo y lugar, es si éstos valen lo que cuestan.

La mejora de la relación entre cantidad y calidad de vida ganada y recursos empleados tiene bastante de política de salud y mucho de decisión clínica, diagnóstica o terapéutica, coste-efectiva. Sabido es que la eficiencia de un sistema sanitario depende de que los profesionales sanitarios, fundamentalmente clínicos, que adoptan las decisiones diagnósticas y

terapéuticas, tengan la información y los incentivos necesarios para actuar de forma coste-efectiva.

El objetivo de estas notas consiste en presentar un comentario y visión complementaria al necesario debate sobre el desarrollo del concepto de utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos y su utilización en el marco de las decisiones relacionadas con: (i) la regulación de precios; (ii) el nivel de financiación pública; (iii) la inclusión en formularios y guías terapéuticas; y, (iv) las recomendaciones en boletines terapéuticos y sistemas electrónicos de prescripción. El punto de vista adoptado en los comentarios que siguen se basa en relacionar de forma directa y necesaria los conceptos de utilidad terapéutica y grado de innovación con la valoración de la contribución marginal de las innovaciones farmacéuticas a su impacto incremental sobre la mejora del estado de salud (supervivencia y calidad de vida, comodidad) y sobre el consumo de recursos (relación coste-efectividad⁹). Los instrumentos aplicados de la medicina basada en la evidencia y la evaluación económica de medicamentos deben constituir la caja de herramientas (eficacia y efectividad relativa o marginal; relación coste-efectividad incremental¹⁰; disposición social a pagar; impacto presupuestario) a la que acudir para modernizar la información que debe guiar u orientar (que no determinar) unas decisiones más eficientes y responsables de financiación pública de medicamentos. Los textos de J. Espín¹¹ y de P. Gómez¹² (disponibles en www.fgcasal.org) ofrecen una visión muy interesante

⁹ En este texto se emplea el término coste-efectividad como expresión general de los resultados de los estudios de evaluación económica al margen de cuál sea el método concreto de evaluación empleado (coste-efectividad, coste-utilidad, coste-beneficio). Véase: Detsky AS, Laupacis A. Relevance of cost-effectiveness analysis to clinicians and policy makers, *JAMA* 2007; 298(2): 221-4.

¹⁰ Rawlins MD, Culyer AJ. National Institute for Clinical Excellence and its value judgements, *BMJ* 2004; 329: 224-7.

¹¹ J. Espín Balbino, "La utilidad terapéutica de los medicamentos", Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

¹² P. Gómez Pajuelo, "La utilidad terapéutica: definición, conveniencia de su uso, y su relación con la financiación pública", Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

y apropiada de la necesidad de revisar los criterios de valoración de la utilidad terapéutica y del grado de innovación en el contexto del SNS español. Más allá de los acuerdos y desacuerdos con los aspectos señalados en ambos trabajos, no se puede dejar de reconocer y elogiar que sus reflexiones llegan en un momento muy oportuno.

3.2. El concepto de utilidad terapéutica: más allá de la semántica

Desde la perspectiva social, los conceptos de utilidad terapéutica y de grado de innovación de los nuevos medicamentos deben ser entendidos, en el contexto de la financiación de un sistema sanitario público, como el valor social añadido o aportado por los mismos con relación a las alternativas de tratamiento y/o de diagnóstico disponibles para la misma indicación. Tres elementos analíticos destacan desde esta perspectiva: (i) las dimensiones del valor social del impacto sobre la salud y el bienestar social; (ii) el carácter relativo o incremental de este valor; y (iii) las escalas alternativas de medida de este valor añadido o incremental.

De forma general, el valor de las innovaciones sanitarias y farmacéuticas depende conjuntamente de su efecto o impacto incremental sobre los resultados en salud y en calidad de vida relacionada con la salud (*outcomes*), y de su efecto o impacto sobre los recursos implicados (coste de oportunidad). El valor de estas innovaciones puede ser valorado adoptando una perspectiva restringida o limitada (por ejemplo, la perspectiva del proveedor sanitario, del paciente, etc.), o bien desde una perspectiva social más amplia sobre la inclusión/exclusión de efectos sobre resultados y recursos.

Desde una perspectiva clínica e individual, el denominado comúnmente valor terapéutico añadido (*added therapeutic value*) se limita, como se puede verificar fácilmente en una parte importante de la literatura clínica, al impacto sobre la eficacia incremental medida a través de los resultados de ensayos clínicos sobre variables clínicas intermedias (además de calidad, seguridad y tolerabilidad en algunos casos) y aspectos clínicos directamente relacionados (efectos adversos, complicaciones, interacciones, etc.)¹³. En cambio, desde la perspectiva más amplia y comprehensiva del conjunto de la sociedad, el valor social de los nuevos medicamentos depende de su impacto incremental sobre: (i) la salud de los individuos y de la población medida a través de la eficacia y la efectividad (efecto en condiciones reales de aplicación, incluyendo la adherencia al tratamiento) relativa a supervivencia (variables de resultado final) y calidad de vida relacionada con el estado de salud (incluyendo el valor de las preferencias sobre la comodidad y facilidad de uso); y (ii) el coste de recursos farmacéuticos y sanitarios así como los costes sociales de productividad (costes de mortalidad y de morbilidad; coste del tiempo remunerado y no remunerado, etc.). Así pues, la lógica de la perspectiva social define la utilidad terapéutica a partir de la lógica de la efectividad incremental y el coste de oportunidad (relación coste-efectividad incremental).

Tal como ya señalaba Soto¹⁴, la definición del valor terapéutico añadido no puede limitarse a las condiciones ideales de un ensayo clínico controlado (eficacia, seguridad y calidad) sino que debe extenderse a otros posibles efectos positivos sobre la salud (calidad de vida relacionada con la salud; cumplimiento

¹³ Debiera resultar innecesario observar aquí que la inclusión en estas escalas básicamente clínicas de criterios pseudos-económicos como podrían ser el coste farmacéutico por tratamiento y día o el coste por dosis diaria definida es una práctica que se aleja claramente de la medida de la dimensión del impacto sobre el consumo de recursos y sobre la eficiencia al basarse en una simple y errónea aplicación del análisis de minimización de costes.

¹⁴ Soto Álvarez J. Valor terapéutico añadido de los medicamentos: ¿qué es, cómo se evalúa y cual debería ser su papel en política farmacéutica?, *An Med Interna* 2005; 22: 39-42.

terapéutico y persistencia en el tratamiento) o sobre el bienestar de los pacientes (satisfacción con el tratamiento; preferencias del paciente), así como las posibles ventajas en eficiencia, incluyendo las ventajas en productividad laboral. Las cuatro dimensiones básicas del valor de las innovaciones señaladas por el trabajo de Gómez Pajuelo apuntan también en la dirección de adoptar la perspectiva social y alejarse de la perspectiva clínica e individual: la mejora de la salud de las personas, la conveniencia del paciente, el aporte de valor al conjunto de la sociedad y el avance científico-tecnológico.

La utilidad terapéutica entendida como valor social de las innovaciones se define de forma incremental respecto de las alternativas de tratamiento disponibles o existentes en el mercado: nuevo no es lo mismo que innovador. La aportación de valor puede ser en ambos lados de la balanza o tan sólo en uno de ellos: en los resultados y/o en la relación coste/efectividad. El hecho de que se trate siempre de una medida de carácter relativo o incremental resta utilidad a las medidas de efectividad comparada con el placebo y requiere mejor conocimiento de la eficacia y efectividad comparada con los tratamientos disponibles para la misma indicación. La necesidad de re-evaluación a lo largo del tiempo se impone en la medida que la mejora de la información (eficacia frente a placebo versus eficacia frente a comparadores; efectividad versus eficacia) permita una estimación más apropiada del valor incremental de las innovaciones. Entre las dificultades que el análisis incremental comporta se encuentran la elección del comparador (elección, dosis y posología), la selección de pacientes y grupos de riesgo, y otros sesgos en la investigación clínica^{15,16} y económica¹⁷. El valor incremental debe buscarse en primer lugar por el lado de

¹⁵ Peiró S. ¿Se puede confiar en los resultados de la investigación clínica?. *Humanitas* 2006, 5.

¹⁶ Smith R. Medical journals are an extension of the marketing arm of pharmaceutical companies, *PLoS Medicine* 2005, 2(5): 100-2.

¹⁷ Peiró S et al. La evaluación económica de medicamentos. ¿Ciencia o marketing farmacéutico?, *Farmacia de Atención Primaria* 2006, 4(1): 28-30.

los resultados, pero la ausencia de un valor incremental importante por el lado de los resultados (por ejemplo, en el caso de los denominados *mee-too*) no constituye prueba de ausencia de valor o utilidad del nuevo medicamento si el mismo presenta una mejor relación coste-efectividad que las alternativas disponibles y/o presenta un potencial importante de fomento de la competencia de precios entre sustitutos terapéuticos. La necesidad de excluir de la financiación pública los sustitutos terapéuticos o *me-too's*¹⁸ sólo se puede sostener si se olvida el potencial para la competencia de precios que supone la existencia de sustitutos terapéuticos.

Resulta un lugar común en el sistema comparado la utilización de conceptos y escalas de medida y/o de clasificación de los nuevos medicamentos según su valor terapéutico añadido –*added therapeutic value*– de carácter discreto (número reducido de categorías¹⁹) y basadas en la valoración de dimensiones más cercanas a la perspectiva clínica e individual que a la perspectiva social. Desde 1950 hasta principios de los años noventa la *Food and Drug Administration* (FDA) norteamericana utilizó un sistema de clasificación clínica en tres únicas categorías que ha sufrido modificaciones sucesivas²⁰ basadas en la eficacia y seguridad. La *Medical Products Agency* (MPA) sueca utiliza la escala de Rosen que clasifica los nuevos medicamentos en 8 categorías según su eficacia, comodidad y mecanismo de acción. Al margen de las limitaciones que impone una clasificación discreta en un número muy reducido de categorías, incluso en el caso de las clasificaciones emitidas por agencias independientes (sin

¹⁸ J. Espín Balbino, “La utilidad terapéutica de los medicamentos”, Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

¹⁹ J. Espín Balbino, “La utilidad terapéutica de los medicamentos”, Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

²⁰ *Class A: Important therapeutic gain. Class B: modest therapeutic gain. Class C: Little or no therapeutic gain.*

implicaciones en el mercado farmacéutico, sea por el lado de la oferta o por el de la demanda)²¹ existe un amplio margen para la variabilidad.

Una comparación entre la clasificación de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos introducidos en el mercado entre 1997 y 1999 por una agencia independiente francesa (*Gaspard score* empleado por *La Revue Prescrire* –LRP-) y la MPA sueca (*Rosen grading system*) señala como motivos principales de las notables discrepancias documentadas en las clasificaciones publicadas por ambas agencias²²: el valor atribuido a resultados intermedios (variables subrogadas), la elección de un comparador más o menos eficaz, la comodidad del tratamiento, las diferencias en el *timing* de entrada de nuevos medicamentos en cada mercado nacional, las diferencias nacionales en la gestión de los problemas de salud, la interpretación sesgada o equivocada de los resultados de los ensayos clínicos, y la documentación disponible en el momento de adoptar la decisión de clasificación²³.

En la mayoría de las clasificaciones del valor añadido de los medicamentos de carácter discreto no tan sólo se limita arbitrariamente el número de dimensiones que forman parte de la escala de valoración sino que se emplean pesos relativos

²¹ Las clasificaciones emitidas por organismos aseguradores nacionales que emplean las mismas para justificar legítimas políticas de regulación de precios o de inclusión/exclusión de la cobertura aseguradora pública carecen de la necesaria independencia en la medida en la que son parte implicada (comprador y regulador), al margen de la necesaria transparencia y rendición de cuentas de los criterios e información empleada para avalar la clasificación.

²² Ahlqvist-Rastad J et al. Judging the therapeutic value of drugs: A comparison between *La revue Prescrire* and *Information fran Läkemedelsverket*, the bulletin of the Swedish Medical Products Agency, *International Journal of Risk & Safety in Medicine* 2004, 16: 83-90.

²³ La comparación de las escalas discretas empleadas por el Ministerio de Sanidad y Consumo (A*: Novedad terapéutica excepcional; A: Importante aportación terapéutica; B: Moderada aportación terapéutica; C: Nula o muy pequeña aportación terapéutica; D: Sin calificación) y por el Centro Andaluz de Información del Medicamento (1: Novedad terapéutica especial; 2: Mejora terapéutica de interés; 3: Utilidad eventual; 4: No aporta nada nuevo; 5: Insuficiente experiencia clínica) arroja también algunas diferencias destacables para algunas de los 20 nuevos principios activos con mayor volumen de ventas e introducidos en el mercado entre 1996 y 2003 (Gaspar MD et al. Impacto y grado de innovación terapéutica de los nuevos fármacos autorizados en España, VII Congreso de la SEFIG, Salamanca).

subjetivos y escasamente transparentes para cada dimensión incluida en la valoración y se desdibuja el valor de la magnitud de las variaciones en las dimensiones incluidas²⁴, a no ser que éstas sean de una magnitud considerable a través de umbrales generalmente no explícitos y subjetivos. La utilización de escalas con valores continuos no está exenta de problemas, como los de agregación, pero permite una aproximación más comprehensiva y cercana a la perspectiva social del valor de las innovaciones: desde medidas parciales del resultado (por ejemplo, número necesario de casos a tratar para evitar una muerte²⁵) hasta medidas agregadas que combinan el impacto incremental sobre la supervivencia y la calidad de vida (por ejemplo, los años de vida ajustados por calidad, AVAC), o bien medidas que combinan el impacto global sobre resultados y sobre costes (la relación coste-efectividad de los estudios de evaluación económica).

En la adopción de decisiones de cobertura y financiación pública, los aseguradores pueden adoptar de forma absolutamente legítima una perspectiva más limitada que la del conjunto de la sociedad. Ello situaría las decisiones de financiación más allá de la simple inclusión/exclusión de la cobertura y abriría margen objetivo para la inclusión dentro de la cobertura con una aportación financiera (copago) a cargo del paciente en función de la efectividad relativa del medicamento y de su relación coste-efectividad incremental. Así, por ejemplo, un seguro público puede establecer una disposición a pagar reducida o incluso nula por el valor del medicamento relacionado con la simple mejora de la comodidad en la administración del mismo, como podría ser el caso de las

²⁴ Resulta significativo observar las dimensiones incluidas los criterios del sistema de clasificación que proponen Ahlqvist-Rastad et al y que sirven como ejemplo de aquello que incluyen/excluyen la mayoría de clasificaciones clínicas: “i) ¿es el primer medicamento indicado para el tratamiento o prevención de esta enfermedad; ii) ¿es más efectivo que los medicamentos o tratamientos previos?; iii) ¿es más seguro?; iv) ¿es más cómodo para el paciente?; v) ¿es menos efectivo?; vi) ¿es menos seguro?”.

²⁵ Soto Álvarez J. Valor terapéutico añadido de los medicamentos: ¿qué es, cómo se evalúa y cual debería ser su papel en política farmacéutica?, An Med Interna 2005; 22: 39-42.

formas de liberación prolongada o retardada de un principio activo, pero sí podría manifestar una disposición a pagar positiva por la potencial mejora en la adherencia terapéutica (copagos diferenciales y evitables).

3. 3. Innovaciones regulatorias en el sistema comparado (UE)

Existe amplia evidencia de que la financiación eficiente de innovaciones farmacéuticas debería estar guiada por criterios objetivos relacionados con la aportación marginal del fármaco a la mejora del estado de salud y a la relación coste-efectividad incremental^{26,27}. Para ello, en lugar de precios inflexibles para toda la vida y establecidos de forma escasamente transparente, resulta extremadamente útil una evaluación objetiva y transparente realizada por una agencia externa independiente de los agentes implicados y especializada que podría incluso ser un euro-NICE –*National Institute for Health and Clinical Excellence*^{28,29}-, siendo la decisión de financiación de los aseguradores nacionales o regionales.

La tarea de un euro-NICE, así como la de agencias nacionales creadas con propósito similar, se enfrenta al problema de la adaptabilidad o transferibilidad de los estudios de evaluación económica realizados en otros medios. Aunque un estudio sea técnicamente impecable, puede no ser aplicable a nuestro medio por diversas razones (diferencias epidemiológicas entre poblaciones, diferentes estructuras de coste, diferencias en esperanza de vida que afecta al resultado

²⁶ del Llano J, Pinto JL, Abellán JM. Eficiencia y Medicamentos: Revisión de las Guías de Evaluación Económica. La Cuarta Garantía, Sanofi Aventis, Madrid 2008.

²⁷ Tierney M et al. Optimizing the use of prescription drugs in Canada through the Common Drug Review, CMAJ 2008, 178(4): 432-5.

²⁸ Drummond M. Time for a change in drug licensing requirements? Eur J Health Econ 2002; 3: 137-138.

²⁹ Maynard A. Towards a Euro-NICE? Eurohealth 2001; 7(2): 26.

final, etc.)³⁰. Un Euro-NICE, así como cualquier agencia nacional, tendría que realizar una importante labor de adaptación de sus informes a la realidad sanitaria de cada país. A este respecto, los problemas de calidad de los estudios publicados pueden resultar una dificultad importante: al revisar una muestra de 27 estudios españoles sobre enfermedades infecciosas, Antoñanzas et al³⁰ encuentran que 11 de ellos no son transferibles de ninguna manera y el índice global de transferibilidad para los restantes es sólo de 0,54, en una escala entre 0 y 1.

En los últimos años, varios países de la Unión Europea han adoptado medidas tendentes a incorporar la evaluación económica (y los estudios de impacto presupuestario³¹) entre el conjunto de herramientas que guíen las estrategias de adopción y difusión de las innovaciones sanitarias. Cada país ha adoptado diferentes procesos en sus apuestas para insertar la información proveniente de la evaluación económica de tecnologías sanitarias en la toma de decisiones^{32,33,34}. No obstante, lo relevante es que los conceptos y la cultura evaluadora proveniente de este campo han impregnado a los agentes sanitarios en diferentes ámbitos de decisión. Es el primer paso de un proceso que se debe consolidar y en el que se debería avanzar en los próximos años.

³⁰ Al respecto resulta relevante e interesante al respecto el índice general y específico de transferibilidad de los estudios de evaluación económica propuesto por Antoñanzas et al. (Antoñanzas et al. Transferability indices for health economic evaluations: methods and applications, *Health Econ* 2008, DOI: 10.1002/hec.1397.

³¹ Las decisiones de adopción y financiación de innovaciones que tienen en cuenta el impacto presupuestario tanto o más que la relación coste-efectividad incremental deben ser interpretadas no como un conflicto entre las reglas de eficiencia y las presupuestarias sino precisamente como la forma de tener en cuenta el coste de oportunidad para los aseguradores (Parsons J et al. Role of budget impact in drug reimbursement decisions, *Journal of Health Politics, Policy and Law* 2008, 33(2): 225-47). No obstante el análisis de las reglas de decisión basadas en el coste de oportunidad escapan al alcance y objetivo de este texto.

³² Pinto JL, Abellán JM. Farmacoeconomía: el gran reto de la sanidad Pública, *Humanitas* 2008 (en prensa).

³³ Sacristán JA, Dilla T, Antoñanzas F, Pinto JL. Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance, *Gac Sanit* 2008; 22(4): 354-7.

³⁴ Oliva J, Puig-Junoy J, Bernal Q. Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance. Una visión complementaria, *Gac Sanit* 2008; 22(4): 358-61.

La relación coste-efectividad puede y debe ser una buena guía para la identificación de prioridades relacionadas con la financiación pública de los nuevos medicamentos y tecnologías médicas para un financiador inteligente. Resulta difícil imaginar una aproximación a la valoración de la utilidad terapéutica y del grado de innovación que se encuentre alejada de la medida de la aportación marginal del fármaco a la mejora del estado de salud y a la relación coste-efectividad incremental. ¿Cuál es el valor económico de las mejoras adicionales en el estado de salud que han aportado los cambios tecnológicos en el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades?, ¿qué parte de la mejora en la esperanza de vida y en la calidad de vida es atribuible a la atención sanitaria y a los medicamentos?, ¿valen lo que cuestan los aumentos en el gasto en medicamentos?

Los criterios para una priorización transparente, eficiente y equitativa en las decisiones de financiación pública de los medicamentos deben estar guiados por la evidencia sobre la relación entre el beneficio marginal (contribución marginal a la mejora del estado de salud) y el coste marginal del tratamiento completo (a no confundir con el precio de venta del medicamento), por ejemplo, mediante el establecimiento de un umbral indicativo de coste por año de vida ajustado por calidad máximo (AVAC). El principal criterio de financiación pública para los medicamentos innovadores (accesibilidad) protegidos por una patente debe ser que el nivel de esta financiación dependa de la eficacia relativa de la innovación y de la relación coste-efectividad, siendo estos criterios la mejor expresión de la utilidad terapéutica y del grado de innovación de los nuevos medicamentos.

3. 4. El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio³⁵

En España, más allá de las declaraciones políticas, el marco regulatorio y la voluntad de los decisores sanitarios no ha favorecido hasta el momento el desarrollo de la evaluación económica de medicamentos (EEM) aplicada a las decisiones de financiación pública de prestaciones sanitarias y a las decisiones de precios de medicamentos y de tecnologías médicas. Tampoco se han favorecido, más allá del valor secundario y voluntario, instrumentos y criterios objetivos tendentes a la inclusión del valor terapéutico añadido de los medicamentos en la negociación del precio y del nivel de financiación³⁶. Por una parte, aunque la Ley del Medicamento del año 1990 establecía que la prestación de medicamentos por el SNS se debería realizar mediante la financiación selectiva en función de los recursos disponibles (gasto público presupuestado) y, por tanto, dejaba abierta la posibilidad de introducción de la evaluación económica de medicamentos (EEM), ello no se tradujo en la práctica en la implementación de un sistema transparente y conocido por Administraciones Públicas y empresas comercializadoras sobre cuan selectiva podría llegar a ser la financiación y sobre qué elementos se iba a basar el proceso de fijación del precio.

El Plan Estratégico de Política Farmacéutica para el Sistema Nacional de Salud (2004), apostaba claramente por el análisis "*farmacoeconómico*" en varios de sus puntos. No obstante, la Ley de Uso Racional y Garantías de Medicamentos y Productos Sanitarios de 28 julio de 2006 no hace referencia explícita alguna a estos términos y, por ello, habrá que esperar al desarrollo reglamentario de la

³⁵ Éste epígrafe está basado parcialmente en Oliva J, Puig-Junoy J, Bernal Q. Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance. Una visión complementaria, Gac Sanit 2008; 22(4): 358-61.

³⁶ Soto Álvarez J. Valor terapéutico añadido de los medicamentos: ¿qué es, cómo se evalúa y cual debería ser su papel en política farmacéutica?, An Med Interna 2005; 22: 39-42.

Ley para ver si se incorpora la EEM como criterio de peso en la negociación del precio y la decisión de financiación pública de los medicamentos. Sin duda la promulgación del reglamento que ordene las funciones de la Agencia Española de Medicamento y Productos Sanitarios y la creación del llamado Comité de Evaluación de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos jugará un papel clave en esta cuestión.

Por otra parte, no parecería lógica la exclusión de la evaluación económica de medicamentos dentro de las medidas de evaluación de los costes y beneficios terapéuticos de los nuevos medicamentos. Y ello, no sólo por la dinámica europea ya citada, sino por coherencia con la financiación de otro tipo de tecnologías sanitarias. Así, la publicación del Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, por el que se establece la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización sí señala en su artículo 5.1. que “Para la definición, detalle y actualización de la cartera de servicios comunes se tendrá en cuenta la seguridad, eficacia, eficiencia, efectividad y utilidad terapéuticas de las técnicas, tecnologías y procedimientos, así como las ventajas y alternativas asistenciales, el cuidado de grupos menos protegidos o de riesgo y las necesidades sociales, y su impacto económico y organizativo...”. Dicho texto se matiza y amplía posteriormente en el artículo 6.8 de la ORDEN SCO/3422/2007, de 21 de noviembre por la que se desarrolla el procedimiento de actualización de la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud. Por tanto, si se quiere tener en cuenta el criterio de eficiencia como un elemento relevante en la toma de decisiones sanitarias, el balance entre el coste adicional y el beneficio terapéutico adicional tendrá que ser un elemento esencial a la hora de incorporar o no en la cartera de servicios del SNS nuevas prestaciones o mejoras en las ya existentes. No parece razonable que este criterio se aplique a un programa de cribado o a un determinado dispositivo médico y no a un medicamento sin estar dispuestos a

asumir un elevado coste social derivado de la distorsión que supondría tener un sistema con reglas diferentes para la adopción de tecnologías sanitarias en función de su naturaleza (medicamento vs. no medicamento).

Junto a los recientes cambios en el marco normativo nacional, merece destacar otra serie de factores impulsores de la EEM. En primer lugar, aunque existen varias agencias de evaluación de tecnologías sanitarias desde hace años, en los últimos tiempos han crecido tanto en número como en recursos. A las partidas presupuestarias aportadas por cada Comunidad Autónoma, habría que sumar la dotación de fondos acordados en la Conferencia de Presidentes y gestionados por la Agencia de Calidad del Ministerio de Sanidad y Consumo, junto con las crecientes convocatorias de proyectos de evaluación de tecnologías sanitarias y proyectos de investigación del Fondo de Investigaciones Sanitarias convocadas por el Instituto Carlos III, más las correspondientes a la creación de grupos CIBER y Redes temáticas de Investigación Cooperativa. En suma, recursos y actividad crecientes, si bien es justo reconocer que en España aún no se ha realizado un estudio sobre el impacto de estas agencias en la adopción de nuevas tecnologías, tal y como se hecho en otros países^{37,38}. El escenario que ofrece el florecimiento de agencias regionales de evaluación en España, ajenas a la existencia de economías de escala en la sistematización y producción de evidencia científica, ofrece un marco organizativo y regulatorio con un amplio margen para la mejora de las decisiones públicas y para una discusión sobre sus funciones y objetivos que esté más basada en la evidencia.

³⁷ Sheldon TA, Cullum N, Dawson D, Lankshear A, Lowson K, Watt I, et al. What's the evidence that NICE guidance has been implemented? Results from a national evaluation using time series analysis, audit of patients' notes, and interviews. *BMJ*. 2004;329:999.

³⁸ Hanney S, Buxton M, Green C, Coulson D, Raftery J. An assessment of the impact of the NHS Health Technology Assessment Programme. *Health Technol Assess*. 2007;11:1-200.

En segundo lugar, en un contexto de crecimiento del gasto en medicamentos, no ya en términos absolutos, sino como porcentaje del total de recursos sanitarios del SNS, y dada la ambigüedad mostrada por la Administración Central desde el año 90 sobre el papel que ha de jugar la EEM, en varias CCAA se han creado unidades de evaluación de medicamentos, que han ido incorporando el componente económico cada vez en mayor medida. Fruto de ello ha sido la creación del Comité Mixto de Evaluación de Nuevos Medicamentos compuesto por Andalucía, País Vasco, Navarra, Aragón y Cataluña, cuyo objetivo principal es el análisis de la aportación terapéutica de los nuevos medicamentos.

En tercer lugar, en el medio sanitario, incluso a niveles de microgestión, se comienza a transitar del “todo vale, sea cual sea cualquier precio” a plantearse como cuestión relevante “¿vale lo que cuesta?”. El esfuerzo realizado en programas de formación que incorporan conceptos generales de economía y gestión de la salud o específicos de evaluación económica y los propios cambios en los sistemas de incentivos a prescriptores va cambiando la mirada de los profesionales y provocan que el discurso de la eficiencia vaya calando. Experiencias como la desarrollada por Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos (GENESIS), dentro de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, en el desarrollo de Guías Farmacoterapéuticas que incorporan información relativa a la relación coste-efectividad de los fármacos analizados son ejemplo de ello³⁹.

³⁹ La Comisión de Evaluación Económica e Impacto Presupuestario (CAEIP) del Servicio Catalán de la Salud (CatSalut), cuya atención se ha centrado en la evaluación comparada de los principios activos de los grupos terapéuticos de mayor consumo, constituye una referencia destacable en el contexto del SNS español (Magem et al. Evaluaciones económicas como instrumento de soporte a la gestión de la prestación farmacéutica. XXVIII Jornadas de Economía de la Salud, Salamanca).

En suma, parece que existe una cierta efervescencia, en parte derivada de mirar a Europa y a otros países y ver que sus iniciativas en el empleo e herramientas de evaluación económica se consolidan y contribuyen a reducir la opacidad de la regulación farmacéutica⁴⁰, en parte por el convencimiento de distintos actores del sistema sanitario de la utilidad de estas herramientas, pero falta culminar. Y para ello, deben emitirse las señales adecuadas desde el más alto nivel (Consejo Interterritorial).

3. 5. A modo de epílogo

En España parece conveniente y necesario revisar la clasificación y los criterios para establecer el grado de aportación relativa que supone un nuevo medicamento⁴¹. Las Comunidades Autónomas y el Consejo Interterritorial deberían tomar la palabra y tomar ejemplo de lo que ya existe y funciona en Europa (NICE en Reino Unido, LFN en Suecia, IQWiG en Alemania, etc.).

En este contexto, las decisiones de autorización y comercialización (seguridad, eficacia y calidad) debieran ser independientes de las de financiación pública (efectividad marginal relativa y relación coste/efectividad incremental). En términos generales, debiera distinguirse el tratamiento regulatorio, a efectos de la financiación pública, de las innovaciones con una elevada efectividad marginal (establecida cada vez más en el ámbito europeo por la EMEA) del resto (muy numerosas, con una reducida efectividad marginal y con una elevada relación coste/efectividad incremental). Para las primeras es

⁴⁰ Dhalla I, Laupacis A. Moving from opacity to transparency in pharmaceutical policy, *CMAJ* 2008, 178(4): 428-31.

⁴¹ Asociación de Economía de la Salud (AES). Posición de la Asociación de Economía de la salud en relación a la necesidad de un mayor uso de la evaluación económica en las decisiones que afectan la financiación pública de las prestaciones y tecnologías en el Sistema Nacional de Salud, 2008: www.aes.es.

recomendable establecer la disposición a pagar, por parte de la administración pública, sobre la base de criterios relativos al coste/efectividad incremental (“cuarta garantía” de la evaluación económica de medicamentos), al estilo del NICE británico⁴² o, mucho mejor, un NICER (*National Institute for Cost-Effectiveness Reviews*), tal como propuso Alan Williams⁴³. La omisión de estos aspectos, difícilmente justificable, en el desarrollo de los conceptos clave de utilidad terapéutica y grado de innovación previstos en la Ley 29/2006 no contribuiría precisamente a dar al nuevo marco legal una impresión cercana de un “*déjà vu*” con olor a naftalina cuando se la compara con las innovaciones regulatorias en otros países europeos⁴⁴.

A estos nuevos medicamentos y tecnologías médicas hay que pedirles no sólo eficacia respecto del placebo sino eficacia relativa respecto de los medicamentos con los que va a competir o que va a sustituir. La evidencia disponible indica que en muchos casos la aportación marginal es muy pequeña, pero, a cambio, el coste es mucho más elevado. La estandarización de los procedimientos de evaluación económica⁴⁵, el requerimiento y realización en condiciones de transparencia e independencia de este tipo de estudios para las innovaciones (alejamiento del marketing científico) y el establecimiento de un umbral indicativo del coste máximo por AVAC que no se debiera superar (por ejemplo, una especie de “guía” situada alrededor de los €30.000 por AVAC o un valor análogo mejor fundamentado y flexible pero representativo de la disposición

⁴² Pearson SD, Rawlins MD. Quality, innovation, and value for money, NICE and the British National Health Service. *JAMA* 2005; 294(20): 2618-2622.

⁴³ Williams A. What could be NICER than NICE? OHE Annual Lecture. London: The Office of Health Economics. 2004.

⁴⁴ Puig-Junoy J. La financiación y la regulación del precio de los medicamentos en el Sistema Nacional de Salud: cambios y continuidad, *Gac Sanit* 2007; 21(1): 1-4.

⁴⁵ López-Bastida J et al. Una propuesta de guía para la evaluación económica aplicada a las tecnologías sanitarias: ¿ha llegado el momento, *Economía y Salud* 2008, 62: 1-2.

social a pagar)⁴⁶ serían actuaciones en la línea de determinar la disposición pública a pagar en función del valor adicional del medicamento y en la de proporcionar indicaciones eficientes a la actividad investigadora.

La principal virtud de los trabajos de J. Espín y de P. Gómez sobre el concepto, medida y utilización de la utilidad terapéutica de los medicamentos consiste en aportar argumentos teóricos y aplicados, desde la óptica de la experiencia en el sistema comparado, de forma rigurosa y ponderada a favor de la aplicación de una medida objetiva del valor de la utilidad terapéutica en la toma de decisiones de precios y financiación de medicamentos a fin de favorecer un uso más racional y más eficiente de los recursos públicos.

⁴⁶ Sacristán JA, Oliva J, Del Llano J, Prieto L, Pinto JL. ¿Qué es una tecnología sanitaria eficiente en España? Gac Sanit 2002; 16(4): 334-43.

4. Abordaje cualitativo: Análisis del discurso a partir de los Grupos de Discusión

4.1. Concepto y aplicación de la utilidad terapéutica de medicamentos y otras tecnologías sanitarias en España: Análisis del discurso a partir de los Grupos de Discusión

Este epígrafe recoge los resultados de un análisis cualitativo de las opiniones de expertos procedentes tanto del mundo académico como de la política y la gestión sanitarias acerca de la noción de *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias en nuestro país y su aplicación en los procesos de fijación de precio y financiación pública de las mismas. La bondad de este ejercicio es la posibilidad de comparar los resultados presentados en los anteriores apartados de este texto con una visión más vivencial y próxima a la actividad diaria de los expertos consultados. Dicho contraste debiera permitir que el lector obtuviera una visión suficientemente amplia y exhaustiva de la complejidad que rodea una potencial mayor aplicación práctica del concepto de *utilidad terapéutica* para la evaluación de las actuales y nuevas tecnologías sanitarias que disfrutan o solicitan reembolso por parte del sistema nacional de salud.

Objetivos:

- a.** Conocer las opiniones y propuestas de los expertos acerca de la definición, medición y aplicación actual y futura de la noción de *utilidad terapéutica* en los procesos de evaluación de las innovaciones y financiación pública de las tecnologías sanitarias en nuestro país en su sentido más amplio.
- b.** Estudiar la viabilidad de una aplicación sistemática del concepto de *utilidad terapéutica* en nuestro sistema sanitario, así como su encaje dentro tanto de su

realidad descentralizada como de las posibilidades de economías de escala derivadas de la posible colaboración en el ámbito de la Unión Europea.

c. Determinar sus preferencias acerca de las características metodológicas de dicho proceso de evaluación de la *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias a la luz del documento de síntesis previamente elaborado y difundido entre los panelistas.

d. Explorar su percepción acerca de otras características (como la integración de la evaluación económica y el grado de transparencia) del proceso normativo y técnico para la evaluación de la *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias.

Metodología:

La metodología más frecuentemente empleada para investigar en ciencias de la salud es la cuantitativa o epidemiológica. Sin embargo, en el terreno de las ciencias sociales se pueden estudiar tanto los hechos y su frecuencia de presentación como el sentido y la significación de las representaciones y los discursos. Mientras de la primera tarea se encarga la metodología cuantitativa, la segunda corresponde a la metodología cualitativa (1). Otra clasificación estima que la investigación cualitativa se centra en desarrollar explicaciones a los fenómenos sociales (2).

Los métodos cualitativos ayudan a estudiar las interacciones entre varias personas con un papel relevante ante un asunto de salud pública. Las técnicas cualitativas son una herramienta esencial en el proceso de análisis de cuestiones emergentes o altamente complejas, ya que proporcionan un profundo entendimiento del fenómeno objeto de estudio y contribuyen a la formación de hipótesis. El empleo de técnicas cualitativas es especialmente útil cuando existe una gran carga de significados, estereotipos y prejuicios asociados a la cuestión estudiada. Otra característica de los métodos cualitativos es su flexibilidad, que

las convierte en apropiadas para procesos en desarrollo, cambiantes, para investigaciones exploratorias o para tratar eventos imprevistos (3).

Las entrevistas grupales se diferencian de las entrevistas individuales en que tratan de aprovechar la dinámica grupal que se genera en la relación para hacer emerger los procesos de construcción conjunta mediante estrategias de confrontación, oposición y divergencia. Existe cierta confusión originada por la utilización de tres denominaciones diferentes: *entrevista grupal*, *grupo focal* y *grupo de discusión*. Mientras el *grupo focal* pretende enfatizar el carácter focalizado en un tópico específico de una entrevista en un contexto grupal, el *grupo de discusión* (término más usado en la tradición española en métodos cualitativos) pretende reproducir un contexto social específico. Hay autores que prefieren la denominación entrevista grupal para referirse a una situación de interrogación desarrollada en un contexto de dinámica grupal que pretende emular una conversación cotidiana (4).

En el ámbito sanitario se emplea sobre todo el *grupo focal* que, a diferencia del *grupo de discusión*, no prescinde nunca de un guión de preguntas relacionadas con el objetivo de la investigación que el moderador dirige a los participantes del mismo. De este modo, la reunión grupal se convierte en una entrevista semiestructurada y dirigida que, como la metodología cuantitativa, busca con preguntas las respuestas del grupo. Por el contrario, en un *grupo de discusión* la intervención inicial del moderador debe producir el discurso del grupo, que no será interrumpido con preguntas directas (1).

El *grupo de discusión* se centra en la visión colectiva sobre el problema de estudio, a la vez que posibilita la recuperación del contexto social y cultural de los fenómenos estudiados (5). Se trata de un método de investigación cualitativa

que emplea discusiones grupales dirigidas a generar información sobre experiencias y creencias (6).

El moderador de la reunión, además de ser el representante del poder y la instancia investigadora, se convierte en una especie de “conmutador de la circulación” (7). Debe conceder el turno a las intervenciones de unos y otros participantes pero, sobre todo, dar paso a unos temas y cerrar otros poco o nada relacionados con los objetivos de la investigación.

Se aconseja que cada proyecto de investigación cuente con más de un grupo focal, ya que un único grupo estaría sujeto a factores internos y externos, de los que el investigador no es consciente, y sesgaría el análisis (2).

El tamaño recomendado de los grupos focales es de entre seis y diez personas, ya que un número menor limita el potencial de información colectiva, y uno superior dificulta la participación e interacción de todos los miembros (2,7). Los participantes deben tener características homogéneas e, idealmente, no conocerse previamente entre sí (8). Sin embargo, en investigaciones como la presente asumir que los participantes no se conozcan previamente implica dejar de reconocer que estos estudios se llevan a cabo en contextos sociales y culturales muy específicos (5). El criterio opuesto aparece en autores que creen favorable que los miembros del grupo tengan características en común, y que el hecho de que se conozcan o no previamente puede suponer tanto ventajas como inconvenientes para la investigación (2), como el riesgo de que la existencia de un cierto sesgo o perspectiva común en un grupo limite el potencial de información.

Grupos de Discusión para el análisis de la *utilidad terapéutica*

A la luz de los objetivos anteriormente citados y las características expuestas de las distintas técnicas cualitativas de investigación, se consideró que el diseño más adecuado para analizar el valor y potencial del criterio de *utilidad terapéutica* contextualizado a las características sociales y culturales de nuestro sistema sanitario era la realización de un grupo de discusión. Dicha técnica debería fomentar la interacción del grupo y permitir la exploración de los temas de mayor relevancia para los participantes.

Para dicha elección se valoró especialmente la posibilidad de que los participantes replantearan el tema de estudio adentrándose en direcciones no esperadas que finalmente resultarían muy significativas. El equipo investigador trató de no limitar la expresión de los conocimientos y experiencia de los participantes a meras respuestas sesudas ante preguntas muy directas. El moderador, con experiencia en proyectos similares, otorgó un turno de palabra inicial a cada uno de los participantes, para enseguida comenzar con las comunicaciones cruzadas sobre preguntas concretas hasta su agotamiento. Se siguió un guión (ver anexo 1) sin que ello impidiera que se lograra un ambiente permisivo y poco directivo, que mantenía el carácter estrictamente confidencial y anónimo de cada intervención.

El primer grupo estaba constituido por siete panelistas procedentes del mundo académico y la macrogestión sanitaria (direcciones generales de farmacia y servicios de evaluación de tecnologías sanitarias), y su reunión se celebró el 19 de noviembre de 2008. El segundo grupo contaba con seis panelistas de la micro y mesogestión sanitaria en nuestro país, y se reunió el 11 de diciembre de 2008.

Las características de los integrantes de ambos grupos fueron la experiencia en el tema objeto de estudio y su relevancia académica y/o política (ver anexo 2). Cada participante en cualquiera de los dos grupos recibió con la debida antelación el documento de síntesis “*De la utilidad terapéutica de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental sobre la salud*”, elaborado por Jaume Puig a partir de escritos de Pedro Gómez y Jaime Espín. Más allá de la muy favorable acogida a dicho documento por parte de los panelistas, éste sirvió para centrar los distintos conceptos, preguntas y respuestas que surgieron a lo largo de las discusiones.

Cada reunión duró más de 3 horas y, a partir de la grabación de las mismas, se realizó la transcripción de las grabaciones (2). Esta técnica permite anotar información importante y citas textuales en aquellos casos en que la transcripción de las reuniones queda desincentivada por su excesiva duración (se estima que la ratio de tiempo necesario para transcribir entrevistas es 5:1). Estas notas se cotejaron con las que tomó el equipo investigador durante la celebración de las reuniones. Posteriormente se analizó el grado de consenso y disenso sobre los diferentes temas tratados, y se comprobó que esta interacción grupal genera comentarios más críticos que otras técnicas como la entrevista individual.

Resultados:

El discurso de los expertos reunidos acerca del valor actual de la *utilidad terapéutica* y potencial futuro de implantación como criterio en los procesos de autorización y financiación pública de las tecnologías sanitarias en el sistema nacional de salud español incluye aspectos tanto normativos como técnicos, así como las características que podrían tomarse de otras experiencias internacionales y las peculiaridades que es necesario considerar antes de cualquier acción.

4.2. Utilidad terapéutica como valor relativo

En ninguna de las reuniones se alcanzó una definición consensuada y precisa de lo que se entiende por *utilidad terapéutica*: “*todo producto químico que mejora la salud, la calidad de vida, los síntomas, la adherencia, reduce los efectos adversos...*”; “*todo medicamento que aporta alguna de estas ventajas es útil terapéuticamente: algunos sólo mejoran la farmacocinética*”. Ni siquiera se puede afirmar que sea un valor intrínseco a la terapia (“*utilidad no es la misma para todos (...) Existen factores que intervienen en esa utilidad y ayudan al paciente a percibirla mejor (como, por ejemplo, el menor precio)*”).

Sí tenían claro los participantes que la relación entre utilidad y eficacia debía partir de una medida real de eficacia en práctica clínica (efectividad). Los datos procedentes de ensayos clínicos o comparaciones con respecto a placebo no permiten alcanzar conclusiones en términos de utilidad terapéutica. Existen grupos de pacientes, como pueden ser los que acuden a cualquier consulta de Atención Primaria, que difieren en buena manera de las características de los pacientes incluidos en los ensayos clínicos. Esto no implica que estos ensayos no sean necesarios para evaluar las innovaciones terapéuticas en la fase pre-autorización, sino que sus resultados no se trasladan a la práctica médica. En este sentido, aparece repetidas veces la idea de permitir una ventana de 3-5 años tras la comercialización de la terapia, para evaluar la efectividad de la misma en pacientes no escogidos. No resulta congruente que “*en esa ventana en la que aún se desconoce la efectividad, se estén tomando decisiones*”.

Un concepto frecuente en las discusiones fue el de *utilidad social* (“*lo que percibe el paciente que le aporta la nueva terapia*”). Pero dicho valor social está también sujeto a factores políticos y de otra índole: “*la utilidad es un valor social variable*.” Incluso dicha definición puede variar según la especialidad (“*en oncología, el*

valor terapéutico es lo que diga mi oncólogo”). Una voz pide que al discutir acerca de la utilidad terapéutica no se olvide la utilidad social y la utilidad política: “actualmente disponemos de un arsenal terapéutico suficiente para tratar bien las patologías actuales, y está financiado públicamente. Si aparecen nuevas terapias que no aportan nada, o todos los comités se equivocan o la industria pretende obtener valor a partir de algo que no lo aporta (...) A pesar de existir consenso acerca del tratamiento de muchas patologías, la industria aporta innovaciones incrementales: todo lo nuevo debe ser evaluado con criterios exhaustivos. Autorizar no supone un problema, pero sí financiar”. A este respecto, coinciden los panelistas en que no se puede confundir el proceso de autorización de una innovación con su financiación pública, si bien en la actualidad “se financia casi todo lo que se autoriza”.

En este sentido, se formula una pregunta acerca de esta elevada correlación entre las decisiones de los procesos de autorización y financiación por parte del sistema público: “¿Todo lo eficaz es útil?” ¿Basta con demostrar que una tecnología sanitaria cumple con los requisitos de seguridad, calidad y eficacia para considerarla útil para la población general o un determinado grupo de pacientes? Responder esta pregunta implica *revisitar* la sentencia de Archie Cochrane “todo tratamiento efectivo debe ser gratis” (9). Desafortunadamente, en la actualidad no todo aquello que es efectivo y se financia públicamente podrá ser abordado con cargo a presupuestos públicos. Es por ello que, y con cierto sesgo utilitarista, es necesario encontrar alguna fórmula que permita emplear las intervenciones efectivas de manera que los recursos económicos de que dispone el sistema sanitario público sirvan para optimizar el estado de salud de la población (10).

También aportaron una visión más exhaustiva de la *utilidad terapéutica* que considera que una innovación debe evaluarse según los criterios de maximización de la efectividad, de minimización de los riesgos y efectos

adversos, si se tiene en consideración la decisión del paciente y, por último, contribuye al control del gasto sanitario.

Si de evaluar la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento se trata, habrá que tener siempre en cuenta que la prestación farmacéutica es muy valorada por la población, que acepta muy mal cualquier desigualdad autonómica en materia de financiación pública, y, por lo tanto, siempre habrá que plantearse por parte de los poderes públicos qué es lo que aporta al paciente el nuevo medicamento objeto de evaluación (*“la prestación farmacéutica es de las más valoradas por los pacientes en el sistema sanitario público, sin embargo existen dudas acerca de lo que aporta”*).

No obstante, sí hubo consenso en estimar que el concepto de utilidad terapéutica es una categoría relativa, por cuanto la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento viene a suponer su valor diferencial respecto a la terapéutica farmacológica y no farmacológica utilizada hasta el momento en una indicación clínica determinada.

Existe unanimidad en considerar que el concepto de utilidad terapéutica se correlaciona directamente con el de innovación, aunque dejando claro que nuevo medicamento no quiere decir necesariamente medicamento innovador, y que no todo medicamento innovador aporta utilidad terapéutica.

4.3. Su medición: potencial de la historia clínica electrónica y las TICs

Los panelistas mostraron sus dudas acerca de la posibilidad de que a partir de ensayos clínicos (*“limitado tamaño muestral, pacientes de bajo riesgo”*) con pacientes seleccionados según sus características puedan extraerse conclusiones en

términos de utilidad terapéutica. Los ensayos clínicos están sujetos a una serie de problemas tales como su escasa aplicabilidad en procesos clínicos complejos, su corta duración, y el estar realizados en pacientes colaboradores y sin comorbilidad, todo lo cual redundaría en una limitada aplicabilidad clínica (11,12).

Esta percepción no parte sólo de las diferencias entre los pacientes estudiados y los reales en la práctica terapéutica, sino también de hechos como que en los ensayos las nuevas terapias se suelen analizar “uno contra uno”, mientras que en la realidad se suelen emplear combinadas con otros tratamientos. El problema es que no se posee, y ni siquiera se plantea el papel terapéutico de la innovación englobado en una visión transversal del proceso asistencial que incluya tanto la atención primaria como la hospitalaria y la sociosanitaria en clave de *disease management*.

Asimismo, es frecuente emplear variables intermedias de resultados en salud (“*faltan variables duras*”). Recordemos que el uso de variables intermedias o subrogadas como medida de resultado está justificado sólo cuando el efecto de una intervención sobre un resultado clínicamente importante requiere un tiempo de seguimiento muy prolongado y un número elevado de pacientes. Además, la utilización de estas variables intermedias comporta varias limitaciones: para que pueda considerarse adecuada, debe presentar una asociación fuerte, consistente entre diferentes estudios e independiente, con el resultado clínicamente relevante. Asimismo deben existir evidencias a partir de ensayos clínicos aleatorizados bien diseñados de que la mejora en el resultado intermedio conduce a una mejoría en el resultado clínicamente relevante (13).

Otra limitación es la difícil interpretación y reducida comparación de un ratio coste-efectividad basado en variables intermedias (“*¿Qué pasa por un cambio de 3 puntos de glucosa? ¿Cuánto es razonable que cueste ese cambio?*”). Algunos

participantes indican que observan una mayor utilización de variables finales en la investigación clínica.

Así, podemos concluir que en opinión de los expertos consultados parece sumamente complicado poder comparar y objetivar la utilidad terapéutica marginal de un nuevo medicamento en relación con otros medicamentos utilizados en terapéutica en indicaciones clínicas similares.

Un motivo esgrimido para la medición de los resultados a partir de variables intermedias son los deficientes sistemas de información sanitaria. Cualquier mecanismo de evaluación requiere, para ser implantado, de fuentes de información apropiadas que reduzcan la incertidumbre. Esta carencia (14) se agravó tras la descentralización administrativa del sistema sanitario público y dio lugar a iniciativas que recopilaron y analizaron dicha información dispersa (15). Cualquier evaluación de una tecnología, programa o sistema sanitario requiere de sistemas de información que permitan medir su rendimiento. De este modo, dicha carencia técnica podría limitar de facto cualquier intento de implantación de un criterio de evaluación de la innovación (como la *utilidad terapéutica*) en nuestro sistema sanitario.

Diversos panelistas muestran su convencimiento de que en los próximos años la generalización de la utilización de historias clínicas electrónicas permitirá un mejor control de la utilización en la práctica clínica de nuevos medicamentos, lo que sin duda simplificará y favorecerá la realización de estudios que evalúen la utilidad terapéutica de los medicamentos (*“este sistema se basa en la disciplina del prescriptor y ya contamos con una experiencia piloto: se podrá medir el grado de cumplimiento de la indicación. Es necesario depurar el sistema, pero en un plazo de 3 años se podría tener información e importantes resultados”*). Esta visión no es unánime, y algún participante mostró su escepticismo acerca de un tan rápido

avance de la historia clínica electrónica, que podría demorarse más de una década.

Otra opinión considera que si bien *“los sistemas informáticos jugarán a favor del sistema, la herramienta más impopular pero útil es el visado: es el uso más ajustado a la indicación autorizada. El poder reflejar la indicación en la prescripción electrónica tendrá el mismo efecto que el visado.”*

4.4. Evolución de la indicación, financiación selectiva y me-toos

Dicho tema del uso ajustado a la indicación lleva a discutir acerca del fenómeno de evolución de la indicación (16), empleado originariamente para los fármacos biotecnológicos. Esta circunstancia tiene importantes implicaciones ya que la indicación inicial de la innovación se suele centrar en un grupo reducido de pacientes, tanto por su escaso impacto presupuestario como porque éstos presentarán mejores resultados de eficacia. Una vez introducido el fármaco en el mercado, puede avanzar hacia grupos mayores de pacientes mediante la aprobación de indicaciones adicionales o mediante el fomento de una observancia más relajada de las condiciones impuestas para su prescripción. Puede suceder entonces que el impacto presupuestario asociado al fármaco multiplique al inicialmente estimado por las autoridades, o que su extensión a otros grupos de pacientes se traduzca en ganancias cada vez mejores en resultados en salud.

Existe consenso sobre la necesidad de evaluar la eficiencia del producto para cada una de las indicaciones. Estas consideraciones son consistentes, por ejemplo, con la práctica del NICE de evaluar cada nueva tecnología para cada una de las posibles indicaciones y cada subgrupo de pacientes.

Un argumento empleado es que, con la extensión de las indicaciones, *“la utilidad decrece significativamente al llegar a poblaciones de bajo riesgo.”* De este modo, la efectividad marginal es distinta según la indicación. Incluso es necesario reconsiderar el coste del comparador empleado, ya que en la fijación de su precio no se emplearon criterios de utilidad terapéutica. Es decir, *“se trataría de una comparación sesgada, ya que el diferencial de precio para la innovación no refleja la utilidad incremental sino el efecto de las estructuras administrativas.”*

Estas consideraciones de precio conducen a otra reflexión: ¿cómo evaluar los *“me-toos”*? Se trata precisamente de aquellos fármacos que no aportan ningún valor terapéutico con respecto a las opciones ya disponibles. Sin embargo, no se alcanza un consenso acerca de este punto porque algún participante valora las propiedades de los distintos excipientes y los respectivos perfiles de seguridad de cada fármaco: *“Cada medicamento, en sí mismo, puede ser considerado un tesoro”*. *“Discrepo: eso no ocurre con los me-toos”*. *“Existen reacciones adversas a algunas presentaciones de un principio activo pero no a otras: dos fármacos no son idénticos.”*

4.5 Fármacos vs. otras tecnologías sanitarias

Vuelve a presentarse la dicotomía entre fármacos y otras tecnologías sanitarias, y en este caso parece que se pueden extraer enseñanzas de la evaluación de los dispositivos médicos: *“La evaluación de tecnologías sanitarias no farmacéuticas realiza análisis de seguridad y eficacia, y evalúa tanto efectividad como eficiencia. Existe la posibilidad de una introducción tutelada y monitorizada en un primer centro hospitalario, de modo que hasta que no se demuestra la eficiencia no se extiende su uso a otros centros. Esto para mí supone una diferencia abismal con las decisiones que se toman acerca de los fármacos.”*

Esta dicotomía también tiene una vertiente normativa, ya que *“para los dispositivos médicos, la decisión queda a nivel autonómico: existe un precio libre y no intervenido.”* Por otra parte, lo habitual es que la introducción de un nuevo dispositivo suponga la sustitución del hasta entonces empleado. Vincular esta realidad con la recientemente comentada de los *me-toos* lleva a reflexiones como *“el nuevo fármaco debería bajar el precio del grupo, como ocurre con los dispositivos.”* La ausencia de un precio libre para las terapias farmacológicas, junto a prácticas como el reconocimiento del precio del país donde se financió inicialmente o la asimilación con el fármaco innovador que obtuvo un precio que reconocía el mismo perfil, llevan a que se acumulen alternativas terapéuticas con un mismo coste para el sistema sanitario. Hay panelistas que encuentran más atractiva cierta libertad en los precios o que el fármaco *me-too* no tenga necesariamente el mismo nivel de financiación pública que el medicamento innovador que le precedió.

4.6. Papel de las agencias: ¿evaluadoras y/o decisoras?

Parece existir consenso en que hay que desligar la aprobación técnica de un nuevo medicamento de su financiación pública, debido a que ésta última no se basa exclusivamente en decisiones técnicas, sino que las decisiones políticas pesan tanto o más que las primeras. En efecto, un mismo órgano que evaluara y financiara se encontraría con un conflicto de intereses. Pero la separación de estas funciones en distintas agencias contribuye a la actual multiplicidad de agencias (por ejemplo, regionales de evaluación de tecnologías sanitarias). Por ello, sería deseable la separación a nivel funcional (evaluación versus financiación) pero también un avance en la integración (o al menos coordinación) a nivel territorial.

Un punto sobre el que parece existir un acuerdo prácticamente total entre todos los expertos consultados es que, desde un punto de vista regulatorio, el ente que lleve a cabo una evaluación técnica de eficacia, seguridad y calidad, no debería determinar si el nuevo medicamento en cuestión es útil o no terapéuticamente, porque la evaluación económica debe mantenerse desligada de la evaluación farmacológica-clínica. Esto en la práctica supondría desligar completamente la evaluación farmacológica-clínica a realizar por la Agencia Española de Medicamentos, de la evaluación farmacoeconómica, cuya responsabilidad recaería en principio sobre la Dirección General de Farmacia, que debería de fijar el precio del nuevo medicamento y su financiación por el Sistema Nacional de Salud.

Se considera por parte de los panelistas que ni la Agencia Española de Medicamentos, ni la Dirección General de Farmacia poseen recursos humanos suficientes para llevar a cabo todas sus tareas encomendadas, y que es fundamental el concurso de expertos externos independientes. En Consejerías como la del País Vasco, *“el financiador no evalúa: son funciones separadas.”* Sin embargo, esto genera un problema como es la falta de economías de escala ante la multiplicidad de organismos evaluadores de tecnologías sanitarias, por lo que se aboga por un órgano nacional o una coordinación entre evaluadores regionales. Siempre hay un momento para reflexionar acerca de *“¿cómo lo hacen en Inglaterra y Gales?”*, donde el precio es libre y el NICE sólo evalúa. Su repercusión se debe, según indica un participante, al explícito apoyo público con que contó desde su creación.

4.7. Ministerio de Sanidad y Consumo, Ministerio de Economía y Ministerio de Ciencia y Tecnología

La reciente situación del Instituto de Salud Carlos III y su vinculación al Ministerio de Ciencia y Tecnología tuvieron su presencia en las reuniones. Algún panelista plantea si, en el contexto de la antes citada división de funciones de evaluación, no debería de incluirse un órgano de asesoramiento como el Instituto de Salud Carlos III, dependiente ahora del Ministerio de Ciencia y Tecnología.

Como también la requirió el papel del Ministerio de Economía en la toma de decisiones acerca de innovaciones terapéuticas: *“primero se registra la innovación en los países con mayor nivel de precios o donde tienes la casa matriz”*. *“Esto ya sucedía en la década de los ochenta.”*. *“Todo acaba como un sistema de reconocimiento mutuo.”* El peso que se otorga a consideraciones como el nivel de empleo del fabricante en el país en el que se negocia el precio contrasta con las peticiones de basar el sistema en la utilidad terapéutica, e incluso con la legislación vigente. Si bien tanto la Ley del Medicamento (25/1990, de 20 de diciembre) como la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios (29/2006, de 25 de julio) citan la *“utilidad terapéutica y social del medicamento”* como un criterio general, objetivo y publicado para la financiación pública, en la práctica la consideración de la utilidad terapéutica en la negociación ha sido muy limitada.

De este modo, se percibe una necesidad de una aplicación transparente y estandarizada de los criterios listados:

- Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías.
- Necesidades de ciertos colectivos.
- Utilidad terapéutica y social del medicamento.

- Limitación del gasto público destinado a la prestación farmacéutica (en la ley de 2006 se sustituye “limitación” por “racionalización”).
- Existencia de medicamentos ya disponibles y otras alternativas mejores o iguales para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.
- El grado de innovación del medicamento (criterio introducido en la Ley de 2006).

Se puede concluir por tanto que, en España, el peso político es mucho más importante que el peso técnico a la hora de evaluar y financiar nuevos medicamentos.

4.8. Contratos de riesgo compartido

Hemos visto que las innovaciones farmacológicas llevan asociado un importante nivel de incertidumbre acerca de su impacto presupuestario, su efectividad y la relación coste-efectividad. Un objetivo de la política farmacéutica es corresponsabilizar a la industria en la sostenibilidad del gasto y en los resultados en salud (17). Frente a los mecanismos clásicos (decisiones de inclusión o exclusión de la financiación pública de las innovaciones farmacológicas), se disponen en la actualidad de herramientas más eficientes para racionalizar el gasto que la mera introducción de visados.

Una propuesta que contó con apoyos en ambas reuniones fueron los acuerdos de riesgo compartido (*cost-sharing*) para la monitorización del primer periodo de uso de una innovación y, en base a esta evaluación de su efectividad, volver a acordar las condiciones de financiación por parte del sistema público. La experiencia del NICE británico con una terapia para el mieloma múltiple ha tenido mucha repercusión: mientras unos panelistas consideran apropiada esta

solución de autorizar en “dos vueltas” (“la primera si se cumplen los requisitos de seguridad, eficacia y calidad, y la segunda tras 3-5 años de evaluación de la utilidad terapéutica en la práctica real”), otros lo encuentran “complicado de implantar.” En cualquier caso, esta experiencia no sólo tiene interés por el nuevo procedimiento sino, como recalca un participante, también porque se trata de una verdadera innovación, que evita fracturas en los pacientes.

Esta solución responde a las demandas de una toma de decisiones más basada en evidencias de efectividad, y a un deseo de pasar de datos procedentes de ensayos clínicos a otros extraídos de la práctica clínica. Otra bondad de este sistema es que podrá informar en mejor medida a los ejercicios de evaluación económica al proporcionar evidencia acerca de tanto el consumo de recursos real como la efectividad.

Los contratos de riesgo compartido presentan oportunidades para ambas partes: el financiador traslada la innovación a los pacientes sin exponerse al crecimiento descontrolado de los costes como consecuencia de la extensión de las indicaciones más allá de las definidas en el contrato. El productor evita quedar excluido de la financiación pública y puede planificar sus previsiones de comercialización, costes y beneficios. Ambas partes pueden colaborar en la estimación de la efectividad real del producto en condiciones concretas de aplicación mediante el diseño de contratos rigurosos no limitados a las muestras habituales en los ensayos clínicos (17).

4.9. Papel de la evaluación económica

Los panelistas estiman fundamental la evaluación del ratio coste/efectividad incremental (ICER), no sólo a la hora de estudiar un nuevo medicamento sino

en la reevaluación de los ya existentes en la práctica clínica. Esta noción de incremental coincide con sus indicaciones previas de que la *utilidad terapéutica* es un concepto relativo, que parte de la comparación con respecto a la práctica habitual. No obstante, consideran que hoy por hoy la disquisición es un tanto teórica y su puesta en práctica extremadamente difícil. Persisten las dudas acerca de algunos de los supuestos que subyacen a conceptos como los años de vida ajustados por calidad (AVAC), y sus implicaciones éticas.

Los panelistas estiman que la introducción de costes máximos por AVAC puede provocar retrasos en la toma de decisiones en relación con la financiación pública de nuevos medicamentos, y que puede resultar muy comprometido, políticamente hablando, el llegar a consensos sobre costes máximos por AVAC. Surgen soluciones intermedias que sugieren tomar el umbral por AVAC como el máximo precio financiado públicamente, de modo que el paciente pueda asumir el resto del coste si desea emplear la nueva terapia. Esta solución técnica o teórica es difícilmente implantable en nuestro país ya que *“estamos acostumbrados a que la prestación farmacéutica sea gratuita.”*

Existe un escepticismo generalizado en relación con los estudios de farmacoeconomía realizados y/o patrocinados por la industria farmacéutica, pero al tiempo se reconoce la extrema dificultad para llevar a cabo este tipo de estudios por parte de expertos independientes sufragados con fondos públicos (la supuesta independencia de los poderes públicos, podría ser el sujeto de otro debate...).

Esta reticencia acerca de los criterios y métodos empleados en los ejercicios de evaluación económica promovidos por la industria farmacéutica es paralela a la citada anteriormente acerca de los resultados de los ensayos clínicos. No se trata sólo de que los estudios farmacoeconómicos se nutran de la cuestionada

información obtenida en ensayos clínicos, sino de los supuestos que añade y lo costoso que resulta revisar exhaustivamente los modelos para la evaluación económica. Se proponen modelos de colaboración como los observados en otros países: que la agencia encargue un estudio de evaluación económica y lo compare con el que le facilita el fabricante (*“no se puede encargar la evaluación al fabricante”*), o que exista colaboración internacional dada la rápida adaptación de un modelo para distintos países (*“en la industria, la matriz facilita el modelo y las filiales nacionales lo adaptan”*).

En cualquier caso, se sigue percibiendo la evaluación económica como una *“asignatura conceptual pendiente”* del sistema y sus profesionales. Si bien ha existido un considerable avance en los últimos años, es un campo que depende mucho del voluntarismo de profesionales interesados. Por último, también se apunta que el proceso de evaluación de la nueva tecnología retrasa enormemente la decisión de la financiación o no de la innovación.

4.10. Necesidad de transparencia

Los expertos reunidos no acaban de ver la aplicación práctica de lo que sustenta la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento en relación con su financiación. En general, se considera que el sistema español de autorización y fijación de precios es opaco y que no parece racional el modo de fijar precios en España y se considera clave alinear los intereses públicos con los de la industria farmacéutica en la búsqueda de soluciones a los medicamentos que realmente añadan valor (como en los citados acuerdos de riesgo compartido).

Existe una razonable unanimidad en considerar que el Ministerio de Sanidad y Consumo no está siguiendo una línea transparente de actuación en materia de

evaluación y financiación de nuevos medicamentos. Se mencionaron anteriormente el peso de factores políticos en las decisiones, así como las consideraciones macroeconómicas en la negociación de la financiación pública para una innovación terapéutica.

Si los mecanismos de decisión fueran transparentes y de dominio público, de tal modo que cualquier empresa o institución implicada pueda conocerlos y reproducirlos, se eliminaría cierta incertidumbre regulatoria que lastra la inversión y la iniciativa innovadora. En consecuencia, este requisito de transparencia constituiría una de las bases de un sistema idóneo de evaluación de la utilidad terapéutica y garantizaría unas reglas de actuación para todos los agentes del sistema sanitario.

Son recomendables mayores niveles de transparencia en los procesos de evaluación y toma de decisiones acerca de la financiación pública. Pero también se reconoce que es necesario cierto margen de confianza en los criterios y decisiones de la Administración. Si no es posible eliminar la arbitrariedad o la influencia decisiva de elementos no técnicos, al menos que se reduzca de modo que no se sigan produciendo situaciones incoherentes.

4.11. Oportunidad de una agencia de ámbito europeo

Recientemente se propuso la posibilidad de que se creara una agencia de evaluación de tecnologías sanitarias de ámbito europeo, y citaba de modo tentativo la denominación *EURICE (European Institute of Clinical Excellence)*(18). La principal virtud de dicho organismo sería que se beneficiaría de la existencia de obvias economías de escala de la evaluación a nivel europeo en lugar de los habituales procedimientos a escala nacional. Además, lograría una mayor

independencia con respecto a los fabricantes de tecnologías. Dicha idea para la implantación de la *cuarta barrera* a nivel continental tuvo cierta acogida, si bien los autores que la propusieron ya exponían que: *“Queda fuera del alcance de la Unión Europea el tratar de armonizar las regulaciones de precios de forma que internalizaran el bienestar de los actores implicados: Existe poco espacio de maniobra para que la Comisión europea interfiera en las políticas de precios de los países miembros en virtud de dos principios consagrados en la UE: subsidiariedad (el poder ha de ejercerse por la administración competente más próxima al ciudadano) y libre circulación de bienes, que posibilita el comercio paralelo, bien que decreciente dada la convergencia de precios entre países de la UE.”*

En cualquier caso, la propuesta era que los informes de dicha agencia europea pudieran *“orientar las decisiones sobre precios de los financiadores públicos. Incluso cabe contemplar una negociación europea sobre precios aplicable, de entrada, a aquellos países cuyos niveles de renta e instituciones sanitarias sean más parecidos; nada impediría su extensión posterior a otros países de la UE en la medida que se fuera convergiendo en instituciones, políticas, renta, y precios relativos.”*

Al ser consultados al respecto de esta posibilidad, los participantes coinciden en mostrar una opinión contraria a que un órgano europeo pueda asumir responsabilidades normativas: existe unanimidad en estimar que una agencia europea de evaluación de tecnologías sanitarias que tuviese entre sus responsabilidades la evaluación terapéutica de nuevos medicamentos no es viable, ya que los países miembros tienen sus singularidades políticas y organizativas y sin duda quieren preservar su cuota de autonomía en relación con la financiación pública de medicamentos.

Desde un punto de vista técnico, no se rechaza una propuesta similar ya que *“el 80% de los informes del NICE te valen, el resto puede hacerse localmente.”* Esta

posibilidad de trasladar las evaluaciones entre distintas poblaciones europeas se ve apoyada por el hecho de que, por ejemplo, la industria farmacéutica emplea un mismo modelo para apoyar sus negociaciones en distintos países, con ajustes para reflejar las peculiaridades epidemiológica, normativa y de práctica clínica.

4.12. Diferencias entre grupos de discusión

Los apartados anteriores de este análisis han mostrado los principales argumentos y puntos de consenso en los dos grupos focales celebrados. A continuación presentamos un breve resumen de las características propias del discurso de cada uno: el primero, entre académicos, analíticos y gestores a nivel macro; el segundo, formado por meso y microgestores (farmacólogos clínicos, farmacéuticos y médicos).

Así, la principal característica que diferencia a los participantes del primer grupo es la relevancia que otorgan a los factores políticos en su argumentación. Éstos son el motivo de que su definición de *utilidad terapéutica* tienda hacia una *utilidad social* y/o *utilidad política*, que incluye más consideraciones que una *utilidad* basada únicamente en consideraciones de efectividad e innovación incrementales.

Este rasgo también va asociado con cierta defensa del arsenal terapéutico actual como *statu quo*, una situación alcanzada tras mucho trabajo y que se complica, sobre todo en términos de coste, con cada nueva decisión de autorización y financiación pública de una tecnología (especialmente si no tiene un marcado carácter innovador).

El discurso de los participantes en el primer grupo focal sitúa a los pacientes como principal *target* y beneficiarios de las decisiones de inclusión/financiación, proceso en el que la negociación con la industria proveedora de innovaciones aparece como un instrumento para alcanzar dicho fin.

Estas consideraciones no pueden llevarnos a concluir que los macrogestores obvian los factores técnicos en la toma de decisiones, sino que son conscientes y admiten que el proceso no puede abstraerse de dichos factores políticos. Incluso se reclama en un momento de la discusión que el afán de transparencia en los procesos de toma de decisiones no puede acabar con cierto reducto de discrecionalidad necesario para la gestión a este nivel.

Por su parte, el discurso de los participantes en el segundo grupo focal tiene en menor consideración estos factores políticos y discute en mayor profundidad los aspectos técnicos relativos a la *utilidad terapéutica*. Esta diferencia entre grupos es tenue, por cuanto en ambos se discutió acerca de aspectos como la brecha entre eficacia y efectividad, la aplicabilidad de los resultados obtenidos en un ensayo clínico, variables intermedias versus variables finales, la necesaria separación entre las decisiones de autorización de comercialización y de las de financiación pública o los potenciales sesgos en los estudios de evaluación económica de tecnologías sanitarias.

Sin embargo, en este grupo se percibe una mayor cercanía con la realidad de los profesionales sanitarios, tanto como principal vínculo con los pacientes como por su responsabilidad en la utilización de las nuevas tecnologías. Y de este análisis surge la discusión acerca de la viabilidad y ventajas de una historia clínica electrónica única y compartida, así como de su comparación con los actuales visados de inspección.

Otros temas en los que los participantes de este segundo grupo debatieron hasta llegar a un nivel de detalle técnico fueron: la multiplicidad de agencias evaluadoras de tecnologías sanitarias y los contratos de riesgo compartido como solución para la adopción de innovaciones hasta que se disponga de información acerca de su efectividad. Ambos grupos trataron los requisitos de evidencia para la toma de decisiones en el ámbito sanitario, y sus actuales limitaciones, pero fue en el segundo grupo donde se abordó este tema con mayor nivel de detalle e incluso se facilitaron referencias bibliográficas para sustentar las distintas posturas.

Estas diferencias pueden entenderse como atribuibles al distinto perfil de los profesionales convocados a cada uno de los grupos, y en ningún caso supuso que cada reunión tratara temas distintos. En realidad, se trata de una diferencia de matices y del distinto peso que ambos grupos dieron a los factores técnicos y políticos en su análisis. Estas diferencias se plasman principalmente en la definición de *utilidad terapéutica*, que por su difícil concreción se presta a esta variabilidad. En consecuencia, las conclusiones que se presentan a continuación recogen lo aportado en ambos grupos y son perfectamente válidas para sintetizar lo expresado en ellos.

5. Conclusiones

1. Existe unanimidad en que la definición consensuada de *utilidad terapéutica*, debe estar asociada a dos vertientes: la efectividad (en lugar de datos de eficacia) y la marginalidad (por cuanto es una variable relativa, procedente de la comparación de una innovación con la práctica habitual en el presente).
2. Es deseable un mayor peso del criterio de *utilidad terapéutica* en los procesos de financiación pública.
3. Hay consenso en la necesidad de separar los procesos de autorización de comercialización y los de financiación pública: no toda innovación autorizada debe contar con financiación pública.
4. Debe avanzarse en la transparencia de los procesos de financiación pública de las innovaciones terapéuticas. Resulta improbable eliminar los factores sociales y políticos, y se reconoce cierto margen de actuación necesario para la Administración.
5. Es necesario desplazar el momento en el que se evalúa la *utilidad terapéutica* para cumplir con el requisito de emplear datos de efectividad: una evaluación antes de la introducción en la práctica clínica presenta sesgos inherentes al diseño de los ensayos clínicos.
6. En este sentido, propuestas como los acuerdos de riesgo compartido permiten conjugar tanto que los pacientes dispongan a la mayor

brevedad de una innovación disruptiva, como que su aportación (evaluada tras 3-5 años en el mercado) determine el nivel de financiación pública.

7. El potencial de la historia clínica electrónica puede ser otra herramienta para evaluar en los próximos años la efectividad y el grado de ajuste a la indicación de las innovaciones financiadas.
8. A la luz del criterio de *utilidad terapéutica*, fenómenos como el sistema de reconocimiento mutuo, los procesos de evolución de la indicación y que los *me-toos* no permitan una reducción del precio del grupo farmacológico son aspectos a corregir en los procesos de financiación pública de las innovaciones.
9. Es cuestionable la participación de los distintos organismos públicos en los citados procesos. Los criterios económicos pesan más que los especificados tanto en la Ley 25/1990, de 20 de diciembre, del Medicamento como la Ley 29/2006, de 25 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios.
10. Es posible tomar enseñanzas de los métodos empleados para la evaluación de los dispositivos médicos, que consideran una ventana temporal para evaluar su efectividad y conllevan, en mayor medida que los fármacos, una sustitución (en lugar de acumulación) de tecnologías.
11. Es oportuna la separación entre los entes que evalúan y los que deciden acerca de la financiación. No parece tan sensata la multiplicidad de agencias evaluadoras de ámbito regional: es deseable un mayor grado de coordinación que permita economías de escala.

12. Resultan más aceptables las bondades técnicas para la financiación pública de una agencia evaluadora de ámbito europeo más que sólo la aplicación de la norma.

13. La evaluación económica, como herramienta para la toma de decisiones, resulta útil en la medición de la utilidad terapéutica si se ciñe a la característica de partir de datos de efectividad. Persisten las dudas acerca de algunos de sus supuestos e implicaciones éticas, así como de quién financia estos trabajos. La implantación de un umbral económico por unidad de resultado en salud sigue siendo de difícil viabilidad cultural y social en nuestro contexto.

14. Finalmente, se desprende del estudio la necesidad de avanzar en el desarrollo del concepto de utilidad terapéutica en España. Los panelistas de los dos grupos se aproximan con diversas perspectivas, no siempre coincidentes, que a fecha de hoy no nos orientan lo suficiente en la búsqueda de la eficiencia de los recursos públicos de forma transparente y consensuada.

6. ¿Cómo avanzamos?

1. Los resultados de este estudio, además de su valor intrínseco, pueden servir como punto de partida para futuros análisis.
2. Para que la financiación pública de nuevos medicamentos no fueran una decisión casi automática en muchos de los países de nuestro entorno, se requiere de cualificadas agencias de evaluación transparentes. Dichas agencias podrían clasificar los nuevos medicamentos según su efectividad, de tal manera que los compradores de la atención sanitaria de programas públicos tuvieran conocimiento del impacto en la salud de los fármacos nuevos, estableciendo precios que reflejen la efectividad relativa. Con ello se envían señales correctas que reflejen el esfuerzo investigador y la eficiencia dinámica, y se facilita la eficiencia asignativa en la práctica de salud de cada país.
3. En España, los organismos involucrados deberían ponerse de acuerdo en la definición del concepto de utilidad terapéutica, su medida y su aplicación práctica.
4. Sería positivo que el futuro modelo español actual incrementara su transparencia en los procesos de financiación pública a la vez que asegurara la sostenibilidad y perdurabilidad del sistema sanitario público.
5. La valoración de la utilidad terapéutica de las innovaciones y su financiación pública repercutirá en la mejora de la competitividad en Europa y España. La optimización de los procesos de innovación cada vez más caros y difíciles precisa que avancemos irreversiblemente en la aplicación de la directiva de transparencia en las decisiones de fijación de precios y reembolso, en la creación

de redes virtuales de coordinación de la investigación básica y aplicada, en el acortamiento de los procesos de autorización , en mayores incentivos para la investigación, en el fortalecimiento de la competencia de medicamentos no intervenidos y en una mejor información a los profesionales y ciudadanos. Todo ello, nos llevaría a un escenario donde todos los actores se verían reconocidos de justa manera.

7. Referencias bibliográficas

1. Pérez C. Sobre la metodología cualitativa. Rev Esp Salud Pública 2002; 76: 373-380.
2. Hancock B. Trent Focus for Research and Development in Primary Health Care. An Introduction to Qualitative Research. Trent Focus Group, 2002.
3. Bilbao I et al. Diez aportaciones del empleo de la metodología cualitativa en una auditoría de comunicación interna en Atención Primaria. Rev Esp Salud Pública 2002; 76: 483-492.
4. Garay A et al. Evaluación cualitativa del sistema de recogida de sangre en Cataluña. Rev Esp Salud Pública 2002; 76: 437-450.
5. Mercado FJ. La atención médica a la enfermedad crónica: reflexiones sobre los procedimientos metodológicos de un estudio cualitativo. Rev Esp Salud Pública 2002; 76: 461-471.
6. Morgan DL. The focus groups guidebook. Focus group kit 1. Thousand Oaks: Sage; 1998.
7. Callejo J. Observación, entrevista y grupo de discusión: el silencio de tres prácticas de investigación. Rev Esp Salud Pública 2002; 76: 409-422.

8. Carlini-Cotrim B. Potencialidades da técnica quialitativa grupo focal em investigações sobre abuso de sustancias. Saude Publica 1996; 30: 283-93.
9. Cochrane, A.L. Efectividad y eficiencia. Reflexiones al azar sobre los servicios sanitarios. Centro Cochrane Iberoamericano y Fundación SIS, 2000.
10. Ortún V. (dir). Gestión Clínica y Sanitaria. De la práctica diaria a la academia, ida y vuelta. Barcelona: Masson, 2003.
11. Zarin DA, Young JL, West JC. Challenges to evidence-based medicine: A comparison of patients and treatments in randomized controlled trials with patients and treatments in a practice research network. Soc Psychiatry Psychiatr Epidemiol 2005; 40: 27-35.
12. Peralta V. Ensayos clínicos, industria farmacéutica y práctica clínica. Anales Sis San Navarra 2005;28(1):7-16.
13. Climente M, Porta B, Yuste D. De la evidencia científica a la práctica clínica. En Jiménez NV, Borrás C, Climente M, Merino M. Calidad farmacoterapéutica. Universitat de València, 2006.
14. Sánchez-Bayle M, Palomo L. Informe sobre la situación de salud y de los servicios sanitarios de la Comunidades Autónomas. Rev Adm Sanit. 2007;5(1):147-73
15. Del Llano J, Hidalgo A, Pérez-Camarero S. Sistema de información sanitaria en España (SISAN). Madrid: Fundación Gaspar Casal/Fundación SANITAS y Fundación Lilly-Editec; 2004.

16. Van Rijkom J, Leufjens H, Crommelin D, Rutten F, Broekmans A.
Assessment of biotechnology drugs: what are the issues? *Health Policy*
1999;47:255-74.

17. Puig J, Meneu R. Aplicación de los contratos de riesgo compartido a la
financiación de nuevos medicamentos. *Gestión Clínica y Sanitaria*.
2004;7:88-93.

18. Ortún V. Puig-Junoy J. Callejón M. Innovación en medicamentos, precios
y salud. En: López-Valcárcel B (ed): *Difusión de nuevas tecnologías
sanitarias y políticas públicas*. Barcelona: Masson, 2005, p 173-193.

ANEXO 1. GUÍA EMPLEADA EN LOS GRUPOS DE DISCUSIÓN

Preguntas planteadas al primer grupo de discusión (nivel macrogestión)

1. ¿Qué se entiende por utilidad terapéutica?
2. ¿Cómo debería medirse?
3. ¿Quién debe valorarla?
4. ¿Para qué fines debería emplearse la valoración de la utilidad terapéutica?
5. ¿Cuáles pueden ser las consecuencias de la aplicación de la utilidad terapéutica sobre la financiación pública de medicamentos?
6. ¿Para qué sirve?
7. ¿Debe existir una metodología estándar a nivel europeo para medir la utilidad terapéutica o debe tener cada Estado miembro sus propios criterios?

Preguntas planteadas al segundo grupo de discusión (niveles meso y microgestión)

1. ¿Debe aplicarse el concepto de utilidad terapéutica para otras decisiones que vayan más allá de la financiación pública de medicamentos?
2. ¿Qué elementos deben incluirse dentro del concepto de utilidad terapéutica?
3. ¿Para quién es útil el desarrollo de este concepto en la práctica?
4. ¿Debe integrarse la evaluación económica dentro de la valoración de la utilidad terapéutica o deben mantenerse ambos conceptos separados?
5. ¿Cómo se podría establecer un sistema transparente que permitiera valorar la utilidad terapéutica de los medicamentos?
6. ¿En qué momento habría que proceder a la valoración de la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento?

7. ¿Cree que la utilidad terapéutica se relaciona con los umbrales de coste máximo por AVAC?

ANEXO 2. CURRÍCULA DE LOS PARTICIPANTES EN LOS GRUPOS DE DISCUSIÓN

PARTICIPANTES EN EL PRIMER GRUPO DE DISCUSIÓN (19 DE NOVIEMBRE DE 2008)

José Asua

Jefe de Servicio de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del Gobierno Vasco, OSTEBA.

Laura Cabiedes

Profesora Titular del Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Oviedo.

Pedro Cervera

Responsable del Servicio de Farmacia de Atención Primaria, Consejería de Sanidad, Generalitat de Valencia.

Ángel María Martín

Jefe de Área de Farmacia del SESCAM, Dirección de Farmacia, Junta de Comunidades de Castilla – La Mancha, JCCM

Salvador Peiró

Fundación Instituto de Investigación de Servicios Sanitarios, Valencia.

Profesor de Investigación de Servicios de Salud de la Escuela Valenciana de Estudios de la Salud (EVES), Consejería de Sanidad, Generalitat de Valencia.

José María Recalde

Director del Centro Andaluz de Documentación e Información del Medicamento (CADIME), Escuela Andaluza de Salud Pública.

Gonzalo Trincado

Director General de Farmacia, Gobierno Vasco.

PARTICIPANTES EN EL SEGUNDO GRUPO DE DISCUSIÓN (11 DE DICIEMBRE DE 2008)

Jordi Colomer i Mascaró

Cirujano Hospital Viladecans, Barcelona.

Ex Gerente de hospitales los últimos 20 años.

Ana Gangoso

Farmacéutica de Atención Primaria, Ávila, SACYL.

Vocal de la Sociedad Española de Farmacéuticos de Atención Primaria (SEFAP).

Jesús Hernández Díaz

Médico de Familia de Atención Primaria del Servicio de Salud de Castilla – La Mancha (SESCAM).

Miembro del Patronato de la Fundación Signo.

Albert Jovell

Presidente Foro Español de Pacientes.

África Mediavilla

Profesora Titular de Farmacología, Facultad de Medicina, Universidad de Cantabria.

Médico Adjunto del Servicio de Farmacología Clínica, Hospital Universitario Marqués de Valdecilla, Santander.

Joan Serra Devecchi

Director General del Hospital Universitario Son Dureta, Palma de Mallorca.