

De la utilidad terapéutica de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental sobre la salud

Jaume Puig-Junoy 

Departament d'Economia i Empresa i Centre de Recerca en Economia i Salut (CRES).
Universitat Pompeu Fabra, Barcelona.

From therapeutic utility of medicines to the value of their incremental health outcomes

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 del 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 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

Correspondencia: Jaume Puig-Junoy. Departament d'Economia i Empresa. Universitat Pompeu Fabra. C/ Trias Fargas 25-27, 08005 Barcelona. *email:* jaume.puig@upf.edu.

sobre el consumo de recursos (relación coste-efectividad¹). 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 incremental²; 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. Espín³ y de P. Gómez⁴ ofrecen una visión muy interesante 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 llegaran en un momento muy oportuno.

El texto que sigue se estructura de la forma siguiente. En la Sección 2 se comenta e interpreta el concepto de utilidad terapéutica y los criterios para su valoración. En la Sección 3 se valoran las innovaciones regulatorias en el sistema comparado relacionadas con la valoración de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos. En la Sección 4 se presentan algunas implicaciones de la experiencia en el sistema comparado para la valoración de las innovaciones en el SNS español. Finalmente, en la Sección 5, se presentan algunas conclusiones y recomendaciones finales.

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 mi opinión y 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

¹ 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.

² Rawlins MD, Culyer AJ. National Institute for Clinical Excellence and its value judgements, *BMJ* 2004; 329: 224-7.

³ J. Espín Balbino, "La utilidad terapéutica de los medicamentos", Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

⁴ P. Gómez Pajuelo, "La utilidad terapéutica: definición, conveniencia de su uso, y su relación con la financiación pública", Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

incremental medida a través de los resultados de ensayos clínicos sobre variables clínicas intermedias (además de calidad y seguridad, tolerabilidad en algunos casos) y aspectos clínicos directamente relacionados (efectos adversos, complicaciones, interacciones, etc.)⁵. 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 Soto⁶, 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 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 eficacia compara 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^{7,8} y económica⁹. El valor incremental debe buscarse en primer lugar por el lado de los resultados, pero la ausencia de un

⁵ 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.

⁶ 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.

⁷ Peiró S. ¿Se puede confiar en los resultados de la investigación clínica?. *Humanitas* 2006, 5.

⁸ Smith R. Medical journals are an extension of the marketing arm of pharmaceutical companies, *PLoS Medicine* 2005, 2(5): 100-2.

⁹ Peiró S et al. La evaluación económica de medicamentos. ¿Ciencia o marketing farmacéutico?, *Farmacia de Atención Primaria* 2006, 4(1): 28-30.

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*¹⁰ 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 categorías¹¹) 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 sucesivas¹² 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 implicaciones en el mercado farmacéutico, sea por el lado de la oferta o por el de la demanda)¹³ 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 agencias¹⁴: 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 clasificación¹⁵.

¹⁰ J. Espín Balbino, “La utilidad terapéutica de los medicamentos”, Fundación Gaspar de Casal, mimeo 2008.

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

¹² *Class A: Important therapeutic gain. Class B: modest therapeutic gain. Class C: Little or no therapeutic gain.*

¹³ 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.

¹⁴ 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.

¹⁵ 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

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 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 incluidas¹⁶, 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 comprensiva 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 muerte¹⁷) 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 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. Innovaciones regulatorias en el sistema comparado

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^{18,19}. 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

2003 (Gaspar MD et al. Impacto y grado de innovación terapéutica de los nuevos fármacos autorizados en España, VII Congreso de la SEFIG, Salamanca).

¹⁶ 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?”.

¹⁷ 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.

¹⁸ Del Llano J, Pinto JL, Abellán JM. Eficiencia y Medicamentos :Revisión de las Guías de Evaluación Económica. La Cuarta Garantía, Forum Sanofi Aventis, Madrid 2008.

¹⁹ Tierney M et al. Optimizing the use of prescription drugs in Canada through the Common Drug Review, CMAJ 2008, 178(4): 432-5.

Institute for Health and Clinical Excellence^{20,21}-, 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 final, etc.)²². 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 al²² 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 presupuestario²³) entre el conjunto de herramientas que guían 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^{24,25,26}. 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.

La relación coste-efectividad (coste por AVAC) 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

²⁰ Drummond M. Time for a change in drug licensing requirements? *Eur J Health Econ* 2002; 3: 137-138.

²¹ Maynard A. Towards a Euro-NICE? *Eurohealth* 2001; 7(2): 26.

²² 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.

²³ 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.

²⁴ Pinto JL, Abellán JM. Farmacoeconomía: el gran reto de la sanidad Pública, *Humanitas* 2008 (en prensa).

²⁵ Sacristán JA, Dilla T, Antoñanzas F, Pinto JL. Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance, *Gac Sanit* 2008; 22(4): 354-7.

²⁶ 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.

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 éstos criterios la mejor expresión de la utilidad terapéutica y del grado de innovación de los nuevos medicamentos.

4. El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio²⁷

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 financiación²⁸. 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 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 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 del medicamento y productos sanitarios y la creación del llamado Comité de Evaluación de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos están llamados a jugar un papel clave en esta cuestión.

Por otra parte, no parecería lógico la exclusión de la evaluación económica de medicamentos dentro de las medidas evaluación de los costes y beneficios terapéuticos de los nuevos medicamentos. Y ello, no sólo por la dinámica europea ya

²⁷ Esta sección está basada 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.

²⁸ 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.

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 queremos 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).

El apresurado proceso de toma de decisiones a nivel de Comunidad Autónoma y posteriormente del Consejo Interterritorial relacionadas con la financiación pública y precio de la vacuna del virus del papiloma humano ofrece un buen ejemplo en España, pero también en otros países, de la vigencia de un marco de competencia política y electoral, ajena al criterio coste-efectividad y a cualquier ejercicio de transparencia y de rendición de cuentas de las decisiones públicas, que debería inducir a reflexión y a la revisión de los procedimientos actuales de toma de decisiones²⁹.

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^{30,31}. El escenario que ofrece el florecimiento de agencias regionales de evaluación en España, ajenas a la existencia de economías de escala en la

²⁹ Puig-Junoy J. El cost d'oportunitat de la vacunació massiva del VPH: “just do it” versus “what’s the hurry”?, en “Valoració del risc i prioritització de polítiques de salut pública: a propòsit de la pertinència de la vacuna del papil·lomavirus humà”, Comitè Consultiu de Bioètica de Catalunya 2008, 25-30.

³⁰ 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.

³¹ 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.

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 más basada en la evidencia.

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 ello³².

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 farmacéutica³³, 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).

5. A modo de conclusión

En España parece conveniente y necesario revisar la clasificación y los criterios para establecer el grado de aportación relativa que supone un nuevo medicamento³⁴. 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.).

³² 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).

³³ Dhalla I, Laupacis A. Moving from opacity to transparency in pharmaceutical policy, CMAJ 2008, 178(4): 428-31.

³⁴ 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.

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 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 británico³⁵ o, mucho mejor, un NICER (*National Institute for Cost-Effectiveness Reviews*), tal como propuso Alan Williams³⁶. 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 europeos³⁷.

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 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 económica³⁸, 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 social a pagar)³⁹ 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, financiación y prescripción de medicamentos a fin de favorecer un uso más racional y más eficiente de los recursos públicos.

Agradecimientos. - El autor agradece los comentarios a un borrador previo de Juan Oliva y Beatriz González.

³⁵ Pearson SD, Rawlins MD. Quality, innovation, and value for money, NICE and the British National Health Service. *JAMA* 2005; 294(20): 2618-2622.

³⁶ Williams A. What could be NICER than NICE? OHE Annual Lecture. London: The Office of Health Economics. 2004.

³⁷ 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.

³⁸ 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.

³⁹ 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.