

CÉSAR HERNÁNDEZ GARCÍA

MIGUEL ÁNGEL CALLEJA HERNÁNDEZ

SALVADOR PEIRÓ MORENO

PEDRO GÓMEZ PAJUELO

Política y Evaluación de los Medicamentos Hospitalarios



Política y Evaluación de los Medicamentos Hospitalarios

Autores

César Hernández García
Miguel Ángel Calleja Hernández
Salvador Peiró Moreno
Pedro Gómez Pajuelo

Revisión

Gema Pi Corrales

Edición: Fundación Gaspar Casal

Coordinación: Gema Pi Corrales

© Fundación Gaspar Casal

ISBN: 978-84-608-3465-6

Depósito Legal: M-35010-2015

Maquetación, impresión y encuadernación:

Helios Producción Gráfica

PREFACIO: LA EVALUACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS EN EL ÁMBITO HOSPITALARIO

El tiempo en que vivimos se caracteriza por la velocidad de innovación, que es uno de los resultados de la generación de nuevo conocimiento. La Farmacología no ha permanecido ajena al fenómeno y la entrada de nuevos medicamentos en Terapéutica se ha efectuado de modo exponencial, lo que plantea numerosos interrogantes a los gestores, sean de entidades privadas o de Sistemas Nacionales de Salud. Los nuevos medicamentos presentan dos características que los diferencian de las innovaciones del siglo XX: han sido desarrollados para un conjunto de pacientes que sufre una patología bien caracterizada y son extremadamente caros, lo que los sitúa fuera del alcance del paciente individual y obliga a que los sistemas de aseguramiento carguen con su coste.

A lo anterior debe añadirse que la utilización de estos nuevos medicamentos exige diagnósticos precisos en los que a menudo deben incluirse pruebas bioquímicas sofisticadas como la detección de marcadores presuntamente identificativos de la subpoblación diana –aspecto que en muchos casos adolece de estudios epidemiológicos de soporte- y de otras técnicas sofisticadas que sólo están disponibles en hospitales. Lo mismo sucede con el personal médico y paramédico que se ocupa de tales pacientes. En síntesis, es en el nivel hospitalario donde se utilizarán los medicamentos indicados en tales patologías que los especialistas en Mercadotecnia denominan *nichos*. De esta acepción deriva la palabra *niche busters* con la que los mismos especialistas agrupan a estos medicamentos.

Así pues, el contexto queda enmarcado por un medicamento indicado en una patología de designación huérfana o cercana a ella, con aproximadamente 10 pacientes por 100.000 habitantes, con 10 hospitales capacitados para su diagnóstico y tratamiento en un país como España. Hasta aquí no hay nada nuevo pues situaciones como ésta se abordan en los hospitales modernos desde hace más de medio siglo. El factor diferencial es el elevado

precio de estos medicamentos. La situación puede complicarse aún más si esa subpoblación de pacientes corresponde a los que han superado uno ó más líneas de tratamiento, con lo que el algoritmo de la enfermedad está compuesto por etapas sucesivas, cada una de las cuales tiene un conjunto de tratamientos potenciales.

Gestionar razonablemente una situación como la descrita significa un desafío importante para el gestor sanitario, a quien se supone experto en la Teoría de la Decisión y con acceso a herramientas adecuadas. Sin embargo, el componente precio elevado obliga a extremar la atención en el proceso de decisión y se hace necesario, entre otras acciones, aprender de la experiencia ajena y, aún más importante, interaccionar con todos aquellos colegas o pares que se enfrentan a situaciones similares. Éste es el principal mérito de esta obra que Juan del Llano y Gema Pi han concebido y coordinado. En tan solo cuatro capítulos el lector tiene acceso a opiniones doctas sobre los aspectos más relevantes del momento para abordar la compleja tarea de si incorporar o no los *niche busters* a los protocolos de un hospital para una patología de baja incidencia.

Recuerdo bien que fue César Hernández quien propuso al Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, la elaboración de un informe que recogiese los datos fundamentales para que el clínico sopesase la posibilidad de tratar a sus pacientes con uno de los nuevos medicamentos en cuyo proceso de autorización se habían considerado únicamente algunos centenares de pacientes en un ensayo clínico pivotal. Juntos dimos nombre a lo que hoy se conoce como informe de posicionamiento terapéutico (IPT) y decidimos incorporarlo a la sucesión de evaluaciones que un fármaco nuevo experimenta hasta hacerse un sitio en los tratados de Farmacología. Tras tres años de experiencia en la elaboración de estas nuevas herramientas y tras haber sido testigo de las diferentes sensibilidades presentes en el Grupo Coordinador de Posicionamiento Terapéutico, Cesar Hernandez conoce mejor que nadie el mecanismo de producción y la validez de estos informes. Si algún lector tiene dudas sobre qué es y para qué sirve el IPT, el primer capí-

tulo de esta publicación le será muy útil y, de seguro, le orientará suficientemente para su utilización. Otro tanto cabe decir de los demás capítulos contenidos en el libro. Se combina en todos los casos conocimiento biomédico acreditado y experiencia práctica, por lo que los capítulos adquieren relevancia y utilidad. No dan respuestas de manual porque se está iniciando una andadura y cada caso requiere análisis *ad hoc* antes de encontrar soluciones. Sólo acumulando experiencia en esta serie ininterrumpida de problemas de gestión se podrán elaborar bases y desarrollar criterios que permitan abordar los siguientes casos con coherencia.

El tratamiento de la cuarta coordenada –eficiencia de los nuevos tratamientos– exige un planteamiento económico de corte tradicional. El precio de los primeros bolígrafos o de los primeros ordenadores portátiles restringía su uso a muy pocas personas dotadas de elevado poder adquisitivo. La competencia empujó los precios a la baja y el resultado es bien conocido. El problema económico es que la presión bajista de la competencia no se produce para los *niche busters* hasta transcurridos al menos diez años de la autorización del medicamento innovador que abre la subclase terapéutica y, peor aún, que otros medicamentos que arriban al segmento se pretenden comercializar a precio superior al primero argumentando mejoras marginales –*premium price*– lo que refuerza la tendencia a escalar costes. Esta dinámica comercial basada en conceder y mantener alto valor en la innovación terapéutica es únicamente viable en tiempos de crecimiento franco del PIB y aun en estos casos hay que introducir restricciones tales como que el número de innovaciones debe repartirse el excedente de riqueza que se desee asignar para continuar estimulando la innovación. Esta perspectiva de sumatorio subyace en todo análisis económico del valor de la innovación.

La innovación farmacológica en enfermedades graves o invalidantes con mal pronóstico debe ser valorada cuidadosamente para no levantar expectativas irracionales. Cuando producen evolución positiva en el estado de salud la innovación merece calificarse de contributiva. En caso contrario se trata de innovación irrelevante. Estas aseveraciones deberían traducirse en precios

acordes con el grado de mejora en la salud que producen los nuevos fármacos pero, lamentablemente, no sucede así. El titular de la innovación se escuda en la elevada protección que las patentes otorgan y exige cantidades imposibles para resultados muy magros. Este es el gran interrogante que debe abordarse en los procesos de evaluación, ya sea de carácter absoluto –como el que efectúan las Agencias responsables de autorizar la comercialización de un medicamento- o relativo –evaluación coste-efectividad, de eficiencia terapéutica o económica. Las demandas de los titulares de los nuevos medicamentos obligan a extremar la cautela en las evaluaciones porque los recursos del Sistema Nacional de Salud son finitos. En otras palabras, a los precios demandados por los innovadores no hay prestación posible para todos.

Si la decisión política es que las Agencias bajen el listón y con ello autoricen la comercialización de *niche busters* con pocos datos clínicos, la respuesta de las empresas debería ser comercializar a precios razonables pero no sucede así. El *pay-back* se obtiene en menos de un año de comercialización, lo que es una demostración inapelable de la exageración en las pretensiones económicas que impiden que el acceso a estos nuevos medicamentos a la inmensa mayoría de los pacientes que se podrían beneficiar. Ante esta situación y los visos de que la misma se mantenga el futuro previsible, solo queda un camino: evaluar cuidadosamente cada uno de los tratamientos y buscar la economía en todos los subprocesos.

El papel de los Servicios de Farmacia Hospitalaria en las evaluaciones ha producido resultados coherentes con la sostenibilidad y es en estos departamentos donde se ha acuñado buena parte de la experiencia aplicada a la evaluación. Algunos de los mejores análisis coste-efectividad y coste-utilidad se recogen en los informes del Servicio de Farmacia al órgano colegiado responsable de actualizar protocolos terapéuticos. Es un acierto que uno de los capítulos se refiera a este menester. Otro tanto se puede decir del tratamiento interdisciplinar dispensado a una herramienta de sostenibilidad tan conocida y de uso extendido como son los acuerdos de riesgo compartido,

que obligan a proveedor y adquirente a extremar su atención a la hora de decidir sobre la incorporación de un nuevo medicamento al protocolo habitualmente aplicado en un hospital. Estas herramientas han orientado la gestión hacia mecanismos más sofisticados y deben ser conocidas por los gestores sanitarios.

Así pues, la Fundación Gaspar Casal nos pone delante, nuevamente, una obra de gran utilidad para orientar las decisiones de los gestores sanitarios en tiempos que exigen atención permanente a todos los aspectos de la organización y gestión y, por ende, del gasto sanitario. Mi más sincera felicitación y el ánimo para continuar avanzando en este camino.

Carlos Lens

Subdirector General de Calidad de Medicamentos y Productos Sanitarios

PRÓLOGO

La dificultad de encontrar un equilibrio entre el acceso a la innovación farmacológica y la garantía de sostenibilidad del SNS, es un hecho que apenas deja ver pequeñas luces en un entorno muy necesitado de un cambio disruptivo de modelo.

Las aportaciones realizadas desde la administración sanitaria se han basado fundamentalmente en la reducción del precio de los medicamentos y han dejado muy poco protagonismo a la variable de utilización de los mismos. Sin embargo, en el entorno hospitalario este esquema de funcionamiento tiene importantes limitaciones. De hecho, la innovación monopolista y sus consecuencias derivadas en los precios altos asociados, apenas deja margen para generar competencia con las que pivotar políticas de contención de gasto. En este sentido, las estrategias macro de negociación de precios, techo de gasto y concursos centralizados, etc., aún cuando aportan elementos y herramientas para favorecer la contención del gasto y en consecuencia permitir el acceso a nuevas innovaciones terapéuticas, son una parte de la solución generada por el mismo problema.

A nivel macro, queda demasiado por hacer en la utilización de recursos públicos para medicamentos de escaso valor terapéutico. Sobre este tema, la revisión de la cartera de la prestación farmacéutica es una necesidad que apenas ha tenido traslación a lo largo de las diferentes legislaturas. Otra asignatura pendiente a nivel macro es la vinculación de la innovación a presupuestos finalistas. Una aproximación ha sido el abordaje terapéutico de la hepatitis C, que si bien ha dado esperanzas y respuestas clínicas y humanistas a los pacientes, su implementación financiera tiene aún más sombras que luces.

Seguimos pendientes de una aproximación metodológica, explicativa y transparente para definir la innovación y el precio que el SNS ha de pagar por esta innovación. En este sentido, los IPT pudieran ser una herramienta, pero

en estos momentos, y con el tiempo transcurrido, siguen siendo una esperanza sino un deseo fugaz que apenas ha solucionado los objetivos para los que fueron diseñados. El modelo, así concebido, no necesita pequeños cambios, lo que se necesita es un cambio de modelo.

La generación de valor y el precio ya no pueden guiar al financiador y a los ciudadanos por la expectativa de resultados posibles, sino por los resultados obtenidos en la práctica clínica. En efecto, es necesaria una rendición de cuentas de lo invertido y los resultados obtenidos en la práctica clínica, si queremos seguir pidiendo un esfuerzo adicional a los ciudadanos en la inversión que se debe hacer desde los recursos públicos en medicamentos.

Mientras tanto, y con las herramientas aportadas por el entorno, seguiremos desde los Servicios de Farmacia Hospitalaria generando valor a los pacientes, profesionales sanitarios y SNS, desde la optimización de los recursos disponibles. Lo hacemos y continuaremos haciendolo, en cada una de las etapas que conforman el proceso farmacoterapéutico, y siempre desde una triple visión que incluye: ser expertos en el medicamento, liderar el sistema del uso seguro de los medicamentos y participar con el resto del equipo asistencial en la mejora de los resultados clínicos, humanísticos de los pacientes y económicos del SNS.

Este libro es sin duda, una excelente oportunidad para la reflexión desde las opiniones generales por expertos en la materia. Y la reflexión, y la autoconsciencia del problema, es la primera parte de la búsqueda de soluciones. Nada está escrito que no se pueda cambiar en materia de prestación de medicamentos pero el inmovilismo presente más parece una perversión del sistema que un ejercicio de la siempre necesaria prudencia. Espero que la lectura de este libro contribuya a seguir por una senda de cambio, que no es sólo necesaria; es imprescindible. Que así sea.

José Luis Poveda Andrés

Presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

PREÁMBULO: CROSS THE RIVER FEELING FOR THE STONES

No hablamos de eficiencia sin conocer la efectividad. Una de las investigaciones que han hecho historia fue la de Neuhauser y Lewincki publicada en el New England Journal of Medicine en 1975. En aquellos momentos la Sociedad Americana de Oncología recomendaba repetir seis veces el test de sangre oculta en heces -prevención secundaria del cáncer de colon- con el fin de disminuir el número de falsos negativos. Naturalmente encontrar una posible displasia a la sexta vez después de cinco negativos, con la sensibilidad y especificidad del test, tenía una probabilidad de uno entre tres millones. Cuando se calculó el coste marginal de un positivo en la sexta prueba se encontró que era de 47 millones de dólares. Años después, se generó una cierta discusión sobre el cálculo de probabilidades y costes marginales. Sin embargo, nunca fue éste el tema sino el mucho más importante de desconocimiento de la efectividad del test de sangre oculta en heces. Cuando no se sabe si una tecnología sirve para algo resulta bastante irrelevante que su coste sea de 49 millones de euros o de 4. Por tanto, si el desconocimiento más importante radica en la efectividad de los informes de posicionamiento terapéutico, los contratos de riesgo compartido, las estrategias que tratan de mejorar la adherencia, o las técnicas de evaluación económica (los cuatro temas abordados en este libro) resulta prioritario, como esta obra se propone, conocer qué funciona.

Australia, en 1993, y la provincia canadiense de Ontario, en 1994, fueron pioneros en la introducción de la llamada cuarta garantía, o cuarta valla, en la evaluación de fármacos. A las tres garantías de eficacia, calidad, seguridad añadía el análisis de la eficiencia. Posiblemente no fue casual que fuera en dos países fuerza desarrollados y sin una fuerte industria farmacéutica propia donde primero se intentara evaluar la eficiencia. Como tampoco son casuales los intentos de gobiernos donde si hay industria farmacéutica potente para desmontar, o paliar al menos, las limitaciones que la evaluación económica pueda suponer a los beneficios sin contrapartida que los justifique.

Al Dios de la Ciencia lo que es de la Ciencia...y al César del funcionamiento

social las medidas prácticas que permiten mejorar el establecimiento de prioridades sociales. La evaluación económica en tanto que se fundamenta en la economía del bienestar tiene un carácter ineludiblemente normativo, tradicionalmente bienestarista (*welfarista*) con la utilidad como medida de resultado y el individuo como único juez. Hace años, no obstante, que han surgido tradiciones, prácticas y abordajes académicos, que van más allá del bienestarismo (*extra-welfarism*): Adoptan medidas de impacto diferentes a la utilidad (como los años de vida ajustados por calidad o las capacidades de Sen), admiten otras fuentes de evaluación más allá de los individuos, o buscan la forma de permitir comparaciones interpersonales de bienestar. Claramente es difícil construir un criterio de bienestar social como lo es tratar de averiguar preferencias individuales que son lábiles, de origen desconocido, temporalmente inconsistentes, contradictorias ... Mucho se ha avanzado y siempre habrá más investigación adicional sobre estos temas, el que como mínimo beneficia a los investigadores, pero no hay que pensar en el avance científico como vía única. De la misma forma que una gran parte de la innovación no está basada en avances científicos (container, palette, Cirque du Soleil, Ikea, Inditex ...), tampoco hay que pretender que el problema que se trata de resolver -el de establecer prioridades sociales que respondan democráticamente a lo que más se valora dados los costes- sólo pueda avanzar por la vía de la investigación. La democracia y la eficiencia (producir aquellos servicios que las personas más valoran) reclaman criterios explícitos en lugar de implícitos, criterios que suelen ir más allá del de eficiencia para abarcar también el papel de la responsabilidad individual, los criterios de redistribución, o el tratamiento de la dignidad individual. Un establecimiento de prioridades explícito tiene serios obstáculos y costes. Entre los obstáculos destaca su escaso atractivo para políticos: establecer prioridades tiene el reverso de destacar que se deja sin hacer y obliga, por otra parte, a explicar posteriormente hasta qué punto se han alcanzado las prioridades establecidas. El objetivo de alcanzar decisiones sociales eficientes y democráticas tiene abordajes más allá de la evaluación económica. La legitimidad social en el establecimiento de prioridades se logra con participación política y responsabilidad. Los caminos no necesariamente científicos en la

evaluación, como el recién mencionado de aumentar la legitimidad de los procesos decisorios, requiere mayor transparencia -sin desnudar nadie- y mejora institucional que debe comenzar, en España, por una nueva ley de partidos políticos, donde Alemania mismo puede ser un referente.

La efectividad de las políticas es clave para el sostenimiento del Estado del Bienestar ya que sólo con prestaciones resolutivas se consigue deseabilidad (votos) por parte de los ciudadanos. De la misma forma que la cuantía de las pensiones se ajusta a la esperanza de vida, las prestaciones del Estado de Bienestar se deben elegir con vocación universal y criterios de coste-efectividad. El análisis coste-beneficio puede, de entrada, centrarse en las grandes inversiones públicas sin perder de vista la ‘gestión de la utilización’ por excelencia que es la planificación. La evaluación económica es una parte del sistema de control y seguimiento de la actuación pública y debe integrarse en el gran sistema de ‘control de gestión’ de la Administración Pública: Ciclo presupuestario, Intervención, Tribunales, etc.

Allí donde somos la excepción europea -como con la evaluación de tecnologías sanitarias con criterios de coste-efectividad incremental- podría establecerse incluso una moratoria a la incorporación de nueva tecnología y, mientras tanto, simplemente ‘copiar’ de países con más nivel de renta y con un estado del bienestar más consolidado que el nuestro. Las evaluaciones son un bien público, especialmente las que hacen referencia a tecnologías duras. El caso de las políticas públicas y las intervenciones comunitarias es diferente ya que están más abiertas metodológicamente y tienen menos validez externa.

Y cuando no haya gran plan ni manual de instrucciones, *just cross the river feeling for the stones*, como decía Deng Xiao-Pin.

Vicente Ortún Rubio

Professor Department of Economics and Business

CRES, Research Center on Health and Economics

<http://www.upf.edu/pdi/vicente-ortun/>

ÍNDICE

Informes de Posicionamiento Terapéutico	17
<i>César Hernández García,</i>	
<i>Jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano</i>	
<i>Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios</i>	
Acuerdos Innovadores o de Riesgo Compartido	39
<i>Miguel Ángel Calleja Hernández</i>	
<i>Jefe del Servicio de Farmacia</i>	
<i>Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada</i>	
Adherencia al Tratamiento, Cronicidad y Seguimiento de Resultados en Salud	49
<i>Salvador Peiró Moreno</i>	
<i>Coordinador del Área de Investigación en Servicios de Salud,</i>	
<i>Fundación para el Fomento de la Investigación Sanitaria y Biomédica</i>	
<i>(FISABIO) de la Comunidad Valenciana. Red de Investigación en</i>	
<i>Servicios de Salud en Enfermedades Crónicas (REDISSEC), Valencia</i>	
Evaluación Económica	65
<i>Pedro Gómez Pajuelo</i>	
<i>Organización Nacional de Trasplantes,</i>	
<i>Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad</i>	
Epílogo	83

Informes de Posicionamiento Terapéutico

Director: César Hernández García

*Jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano
Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios*

GRUPO DE DISCUSIÓN 1

Informes de Posicionamiento Terapéutico

Texto elaborado a partir de la reunión del Grupo de Discusión número 1 sobre Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) celebrado en Alcalá de Henares el 14 de mayo de 2015.

Participantes:

- **Alfredo Rodríguez Antigüedad**, *Jefe del Servicio de Neurología del Hospital de Basurto, Bilbao*
- **Guillermo Izquierdo Ayuso**, *Profesor Asociado CIS del Departamento de Medicina de la Universidad de Sevilla*
- **Alicia Herrero Ambrosio**, *Jefa del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario La Paz, Madrid*
- **Andrés Navarro Ruíz**, *Jefe del Servicio de Farmacia del Hospital General Universitario de Elche, Alicante*
- **José Manuel Martínez Sesmero**, *Servicio de Farmacia del Complejo Hospitalario de Toledo*

El acceso a los medicamentos¹ se ha convertido en un tema habitual de debate en cualquier reunión nacional e internacional. Sin embargo, por encima de algunos deseos comunes que se repiten de foro en foro (queremos que se desarrollen nuevos medicamentos que aporten valor añadido a los ya existentes, que pasen por sistemas regulatorios y de precio/reembolso ágiles y justos, queremos aprender/validar en la práctica clínica habitual lo que se sugiere en los ensayos clínicos midiendo –y pagando– por resultados en salud, queremos involucrar a todas las partes implicadas incluyendo a los pacientes y sus valores, queremos inversión en I+D+i e industria en nuestra región/país, etcétera), se trata de un problema que está lejos de estar resuelto. Es más, se podría decir que, aparentemente y después de unos años en los que diferentes países han abordado el problema desde diferentes perspectivas y metodologías (Baird LG, 2014), todos nos hemos encontrado en el mismo punto del camino: alguien, no necesariamente siempre la misma parte interesada, reclama que hay falta de acceso a los (nuevos) medicamentos (European Commission).

El ciclo de vida de un medicamento desde su descubrimiento hasta su desaparición del arsenal terapéutico pasa por diferentes fases. Sin embargo, desde la asesoría y desarrollo clínico (no olvidemos los esquemas de acceso por uso compasivo u otras herramientas de acceso precoz) hasta su utilización en práctica clínica, hay tres momentos que podríamos considerar “mágicos”: la autorización de comercialización, la decisión sobre precio y reembolso, y la incorporación a la práctica clínica. Cada uno de estos tres momentos mágicos (al que se podría añadir alguno más a nivel local) puede depender de distintas administraciones públicas con diferentes competencias.

Pues bien, la falta de integración sobre todo, pero no solo, entre estos tres momentos mágicos ha hecho que, lejos de que el medicamento tenga que

¹ Generalmente hay más interés en hablar de nuevos medicamentos, pero los problemas de acceso a los medicamentos son globales y afectan tanto a medicamentos nuevos como a medicamentos viejos.

ir sorteando sucesivas barreras en una misma carrera lineal (vallas o garantías, utilizando el término eufemísticamente), nos encontramos con que un mismo medicamento (por tanto, un mismo sujeto objetivo de conocimiento) debe sortear sucesivas barreras pero, además, en diferentes carreras. El resultado al final es que el conocimiento y la información sobre un determinado medicamento se fragmenta, el acceso al medicamento se enlentece, el proceso se encarece y nada de ello redundará ni en el beneficio de los pacientes, ni en el de los sistemas de salud, ni en el de los profesionales ni en el de la propia industria.

Como es conocido, la autorización de un medicamento se basa en la garantía de los criterios de calidad, seguridad y eficacia (la relación beneficio/riesgo) con exclusión de cualquier otro condicionante, incluidos los condicionantes económicos. De entrada, la asunción de que cualquier nuevo medicamento debe ser, por definición, más caro que las alternativas no debería ser necesariamente cierta. Pero es que, además, cuando se autoriza un medicamento no se sabe cuánto va a costar. En último caso, los productos tienen que tener la posibilidad de competir entre ellos en precio y en volúmenes. Si negáramos la posibilidad de que hubiera medicamentos de valor similar, es decir, sólo autorizáramos medicamentos cuando sabemos que son mejores (luego hablaremos de la dificultad para decir que algo es mejor), es probable que terminaríamos fomentando pequeños nichos monopolistas. Y parece, desde luego, que esto no es lo deseable.

Así pues, la autorización de un medicamento no requiere que el medicamento autorizado sea mejor en eficacia y/o seguridad que una alternativa, bastaría con que fuera similar a una alternativa o, incluso, que siendo “peor” sirviera para rescatar a una subpoblación determinada. Pero es que además, por más que no sea deseable, el conocimiento sobre un medicamento en el momento de su autorización arroja al menos tanta incertidumbre como certidumbres. Dejando de lado atajos evitables en el desarrollo de medicamentos, por la propia dinámica del mismo desarrollo sería difícil asegurar que un medicamento haya sido comparado con las alternativas reales en el mo-

mento de su autorización porque es probable que éstas estuvieran también en desarrollo en el momento en el que se llevaban a cabo los ensayos clínicos del primero. Realmente, en la práctica, se carece en la mayor parte de las ocasiones de comparaciones directas entre el medicamento que se aprueba y sus alternativas, lo cual es aceptable para la autorización pero impide determinar si ese valor mayor en eficacia y/o seguridad existe. Cuando es imposible determinar si este valor añadido existe o no, se abre una posibilidad a que la asimetría del conocimiento (entre autoridades, profesionales, pacientes, industria) o la gestión de la incertidumbre de manera sesgada, arrojen cómo resultado de nuevo una confusión mayor.

Sin embargo, aun en estas condiciones de conocimiento “adversas”, es necesario seguir adelante y tomar decisiones (financiación, precio, utilización, retirada, sustitución...). Por lo tanto, una primera pregunta sería si es necesario posicionar un medicamento más allá de lo que ha supuesto su autorización y la percepción general es que sí, que es necesario. Discutiremos más adelante cómo, cuándo y dónde, pero una primera conclusión, por tanto, es que es necesario posicionar los medicamentos en relación a sus alternativas ya sean estos tratamientos farmacológicos o cualquier otra estrategia terapéutica.

¿Qué son los IPT?

Los IPT tienen una utilidad primordial que es la de identificar el valor terapéutico comparado de un medicamento con sus alternativas para que pueda ser utilizado en las decisiones de precio/financiación y, posteriormente, en las de incorporación del medicamento a la práctica clínica. En otras palabras, el IPT es una evaluación comparada de la posición que el nuevo medicamento ocupa en la terapéutica. Tiene, por tanto, la vocación de ser un elemento común sobre el que sustentar diferentes decisiones. En primer lugar, por la participación plural en su elaboración. En segundo lugar, porque el valor del medicamento es el que debe guiar los análisis coste efec-

tividad y el cálculo de impacto presupuestario, que son elementos de decisión para precio y financiación. Y en tercer lugar, porque una vez cumplidas estas dos funciones, deben servir como referencia para actuaciones relacionadas con la adquisición y promoción del uso racional de los mismos. Y digo una vez cumplidas estas dos funciones, porque, en la medida en que el valor terapéutico este sustentado por todos los agentes del sistema de una manera suficientemente bien consensuada y haya servido para una decisión de precio/financiación ajustada al valor, la necesidad de intervención posterior en el mercado (sobre los clínicos) pierde de alguna manera su sentido.

Un aspecto importante es el hecho de situar el posicionamiento terapéutico antes del procedimiento de precio y financiación. Una buena parte de los problemas surgidos con el posicionamiento terapéutico en nuestro país derivaban del hecho de que una vez que el medicamento era autorizado, y después de una decisión de precio y financiación, era cuando surgían diferentes posicionamientos por parte de diferentes actores. Lógicamente, no siempre las decisiones de autorización, precio/reembolso e incorporación estaban alineadas. También lógicamente, el posicionamiento de un medicamento debe tener en cuenta aspectos económicos por lo que se hace necesario revisar este posicionamiento una vez conocidas las decisiones de precio y financiación, pero si unas y otras decisiones están alineadas, la mayor parte de las veces los cambios en el posicionamiento serán mínimos.

Elaboración de los IPT

Dentro de las competencias de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha estado tradicionalmente la elaboración de informes de utilidad terapéutica de los medicamentos. (Artículo 7 del Real Decreto 1275/2011, de 16 de septiembre, por el que se crea la Agencia estatal «Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios»). Todas las versiones de la Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios, anteriores a 2011 incluían esta

referencia a los informes de utilidad terapéutica que fue cambiada al término “posicionamiento de medicamentos” en la modificación de la Ley 29/2006, de 26 de julio (Ley 10/2013, de 24 de julio, por la que se incorporan al ordenamiento jurídico español las Directivas 2010/84/UE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 15 de diciembre de 2010, sobre farmacovigilancia, y 2011/62/UE del Parlamento Europeo y del Consejo). La Ley 10/2013, de 24 de julio, establece en su disposición adicional tercera sobre el posicionamiento de medicamentos que «las actuaciones orientadas a establecer la posición de un medicamento en la prestación farmacéutica y su comparación con otras alternativas terapéuticas, tendrán una base científico técnica común para todo el Sistema Nacional de Salud y se realizarán en el marco de los informes de posicionamiento de la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios». Finalmente, el marco en el que elaborar los IPT fue el documento aprobado por la Comisión Permanente de Farmacia del SNS el 21 de Mayo de 2013 y consensuado por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, la Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia (DGCBSF), y los representantes de las Comunidades Autónomas en la Comisión Permanente de Farmacia del Sistema Nacional de Salud. (Propuesta de colaboración para la elaboración de los informes de posicionamiento terapéutico de los medicamentos).

El documento establece un sistema de evaluación en red coordinada desde la AEMPS que se articula en torno a un nuevo grupo denominado Grupo de Coordinación del Posicionamiento Terapéutico (GCPT) de Medicamentos de Uso Humano. El GCPT está compuesto por el Jefe de Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS, un representante de la DGCBSF, un representante de cada CCAA y el secretariado del grupo que ejerce la AEMPS. El GCPT se reúne de forma ordinaria 11 veces al año y, entre sus funciones, establece el alcance de los informes, asigna su realización, vela por el cumplimiento de los estándares y calendarios marcados, aprueba los informes, prioriza su realización y propone medidas de seguimiento sobre los informes realizados.

En la práctica, la AEMPS elabora el primer borrador de IPT en todos los casos, contando para ello con sus evaluadores y expertos externos (profesionales clínicos) con experiencia en el campo de que se trate. Este primer borrador es circulado a las CCAA a las que se ha asignado la realización del informe que, a su vez, con sus evaluadores y expertos externos, realizan comentarios que son debatidos hasta que se consensua un informe final. Este informe es remitido a las sociedades científicas, asociaciones de pacientes y la compañía titular del medicamento objeto de evaluación para comentarios que son integrados (o no) en el informe final que es sometido a discusión en el GCPT que finalmente aprueba, también por consenso, dar por finalizado el informe y remitirlo a sus destinatarios. Tras la decisión de precio y financiación, el informe vuelve al GCPT que, a la luz de esta información, añade unas consideraciones finales y decide sobre su publicación.

A lo largo de dos años de trabajo se ha avanzado enormemente en la dinámica de trabajo del GCPT. En la actualidad existe ya un documento de procedimiento de trabajo consensuado que reemplazaría a la propuesta de colaboración vigente. Este documento, aprobado en el GCPT, no es aun público puesto que debería ser aprobado también por las mismas instancias que aprobaron el anterior. La producción del grupo, en números y a fecha de junio de 2015, ha sido el inicio de 117 IPT, de los que 76 IPT se han enviado a la DGCBFS antes de la decisión de precio y se han publicado 45 IPT después de la decisión de precio y financiación.

Uno de los aspectos iniciales, junto a la lógica curva de aprendizaje, que retrasó la publicación de los IPT fue el encaje real de la consideración de los aspectos económicos después de las decisiones de precio y financiación. Como este tema será tratado más adelante, solo decir que el acuerdo inicial (todas las decisiones están sometidas a reconsideración si fuera necesario) dentro del GCPT se alcanzó en los primeros meses de 2015 y, desde entonces, se publican regularmente todos los informes en la página web de la AEMPS.

El IPT frente a otros informes

El camino recorrido en diferentes países en torno al posicionamiento terapéutico de los medicamentos ha sido variable. Quizá la vía dominante ha sido la de generar diferentes cuerpos de evaluación de medicamentos que han realizado sucesivas (o paralelas) evaluaciones de los mismos datos a veces con puntos de vista metodológicamente distintos, otras veces no tan distintos. La relación entre las agencias de medicamentos, HTA, financiadores y pagadores es muy variable en Europa. Dependiendo del país (incluso de la región en algunos casos) forman parte o no de la misma organización. En cada país hay un número variable de actores. Desde países como Italia o Portugal, por ejemplo, que aúnan en una misma agencia todas las funciones, desde la autorización al precio y financiación a otros en los que las funciones se separan y se diversifican. Aunque en algunos países las HTA se han ligado a las decisiones de precio/financiación dentro de un mismo organismo, en otros tienen relaciones diferentes con financiadores y/o pagadores. Pero, en general, el panorama europeo se articula en torno a las agencias de medicamentos (la Red de Agencias de Medicamentos que engloba a la EMA y las agencias nacionales de los estados miembros y los tres países del espacio económico europeo), las HTA (agrupadas sobre todo, aunque no solo, en torno a EUnetHTA con 49 organizaciones asociadas) y las autoridades de precio y reembolso (agrupadas en la Network of Competent Authorities on Pricing and Reimbursement of Pharmaceutical Products, CAPR). A ello habría que sumar los informes de sociedades científicas, grupos académicos u otras organizaciones que actúan como partes interesadas.

Hay que decir que, desde el punto de vista de una agencia que autoriza los medicamentos, en relativamente cómodo quedarse en esta autorización y contemplar desde la barrera el resto del proceso. Sin embargo, por más que la confortabilidad disminuya, la fragmentación del proceso solo ha conseguido que, en el peor de los casos, se haya llegado a evaluaciones muy diferentes, incluso contradictorias, sobre un determinado medicamento. En el mejor de los casos que hayamos dedicado en muchas ocasiones recursos

redundantes a hacer un mismo trabajo. El resultado ha sido una situación de confusión de la que, de nuevo, nadie ha salido finalmente beneficiado.

En este sentido, la Unión Europea se plantea avanzar en esta dirección de incrementar las áreas de intersección o colaboración entre diferentes cuerpos de evaluación, de modo que no será raro en el futuro que los Informes Públicos de Evaluación (EPAR) del CHMP de la EMA contengan elementos que se introduzcan directamente en el valor comparado del medicamento. En esta misma línea de, cuando menos, alinear las sucesivas evaluaciones a las que son sometidos los medicamentos (muy por encima de las de otras tecnologías sanitarias), se enmarcan proyectos como el early dialog, el parallel EMA/HTA scientific advice, o las adaptive pathways (Eichler HG, 2012 Mar). Del hecho de que cada una de ellas se dote de verdadero contenido y no sean meros instrumentos regulatorios que no vayan a la raíz del problema dependerá su éxito. En todo caso, ser capaces de no hacer aún más complejo un proceso ya de por sí complejo será una de las claves de este éxito.

El IPT no pretende competir con otro tipo de informes producidos o publicados por cualquiera de los actores mencionados anteriormente. De hecho, en gran medida podrían ser complementarios a ellos. Aun así, es lógico que sean comparados con informes que tienen una mayor tradición o recorrido tanto dentro como fuera de España. A la hora de establecer dichas comparaciones son importantes las consideraciones que se hacen a continuación respecto a las posibles carencias de los IPT, la metodología con la que se llevan a cabo, la inclusión de información económica o la participación de los diferentes actores en su elaboración.

Participación en los IPT: ¿Son todos los que están? ¿Están todos los que son?

Garantizar la eficiencia en el proceso fue uno de los condicionantes primarios del acuerdo para realizar los IPT. Y esto tiene que ver mucho con la integra-

ción de las evaluaciones. Hay que recordar que, cuando un medicamento es autorizado, en el peor de los casos, las agencias de medicamentos llevan trabajando en él alrededor de 270 días. Desaprovechar ese conocimiento para dar el siguiente caso carece de sentido. Tanto más si, además, en el futuro somos capaces de alinear desde el principio la información que será necesaria para cada uno de los decisores (ojo, también cada uno de ellos tiene que tener en cuenta lo que es posible y lo que no es posible: obsecarse, por ejemplo, en tener datos en la autorización de tan larga duración como los que ya existen para medicamentos autorizados puede, sencillamente, evitar que se desarrollen nuevos medicamentos). Del mismo modo, no tener en cuenta en la autorización que los datos deben ir alineados con las necesidades también de otros decisores, es profundizar más en la crisis de acceso que tenemos ahora mismo. Pero es que, además, debe fomentarse la participación de todos los actores relevantes (aunque no necesariamente con el mismo papel como discutiremos más adelante).

Como se ha comentado anteriormente, el abordaje es diferente en diferentes países. Se discute si el posicionamiento debe hacerse desde estructuras pegadas a la administración pública y se cuestiona si no es mejor que sean estructuras independientes de ésta. Obviamente este aspecto es materia de debate. Pero más importante que la independencia respecto a la administración pública, es la independencia de cada una de las decisiones ulteriores. Aquí, de nuevo, lo que es muy importante es que el flujo de información esté correctamente alineado y que unas decisiones no cuestionen las anteriores (ni las previas condicionen el margen de gestión que debe haber en cada una de ellas). Y para esto, más que parcelar, sería necesario promover la integración, la participación y, si se quiere, la multidisciplinariedad pero no en diferentes procesos, sino alrededor de un único proceso que sea generar conocimiento real sobre el valor real de los medicamentos. Seguro que esto se puede conseguir en diferentes modelos y diferentes estructuras, pero de lo que no cabe duda ahora mismo es que las experiencias van en línea con la identificación del valor del medicamento como elemento cardinal y con el dialogo multidisciplinar como elemento vertebrador.

Evidentemente, a la hora de hablar de participación y multidisciplinariedad hay que llegar a un punto de equilibrio consensuado que permita una amplia participación sin limitar la eficiencia del proceso. Un primer elemento clave de los IPT fue aprovechar estructuras que ya estaban creadas y que ya evaluaban medicamentos. Un segundo elemento clave fue promover un grupo desde la administración o liderado desde la administración. Ya existían informes promovidos desde sociedades científicas, grupos de interés o HTA. Existían también informes promovidos desde algunas administraciones públicas, incluso algunos grupos mixtos, y se interpretó que intentar tener una voz armonizada desde la administración sería un elemento clarificador. Desde este punto de vista, el GCPT reúne a las autoridades competentes en materia de autorización y seguimiento de los medicamentos una vez comercializados con las autoridades competentes en materia de precio y reembolso y las autoridades competentes en materia de prestación de servicios. Pero no son ellos solos, cada una de estas estructuras pone al servicio del IPT sus respectivas redes de expertos clínicos que trabajan en el día a día de la asistencia sanitaria. Este constituye el núcleo primario de la realización de los IPT. Es probablemente necesario ampliar la red de expertos y para ello hay que trabajar individualmente y con las sociedades científicas. Pero en este nivel, la participación de los profesionales sanitarios (incluso si se vertebra en el futuro, de los pacientes) debe ser a título individual y no en representación de un colectivo.

Estos colectivos, asociaciones de pacientes y sociedades científicas, sí deben jugar un papel muy importante en una segunda fase y en esta línea se está trabajando en mejorar esta interacción. En el caso de las sociedades científicas tratando de generar vías de información en tiempo real que permitan mejorar los resultados del IPT. Quizá en el futuro, especialmente con las sociedades transversales, generando elementos que permitan evaluar el funcionamiento de los IPT. En el caso de las asociaciones de pacientes, capacitando a los pacientes para que participen más activamente en todas las decisiones que potencialmente les pueden afectar. Sin embargo, hay que reconocer que mientras el camino recorrido en el asociacionismo profesional

es largo y la interacción fácil, en los pacientes –quizá por la asimetría de conocimiento mencionada anteriormente– este camino tiene aún mucho recorrido por delante. Eso sí, hay que decir que el camino está iniciado y que además es imparable.

Finalmente, hay que comentar la participación del titular de la autorización de comercialización del medicamento en los IPT. A este respecto cabe mencionar que, pese a que en algún momento se debatió la oportunidad de circular los borradores de IPT no solo a los titulares sino también a posibles competidores, la decisión final ha sido la de reservar los comentarios en estas fases solo a los titulares (aunque, una vez publicados, obviamente cualquier comentario puede ser bienvenido).

Igual que ha habido una curva de aprendizaje para los que participan directamente en la elaboración de los IPT, debe haberla para los que participan desde otras posiciones. Hay que reconocer que, en este sentido, es necesario profundizar mucho más con asociaciones de pacientes, sociedades científicas y la industria farmacéutica para explicar de qué estamos hablando cuando hablamos de IPT y qué se puede aportar desde cada uno de ellos.

Incertidumbre y posicionamiento terapéutico

Una de las críticas mayores al IPT es que no concluyen, que no posicionan al medicamento. Este es un debate interesante. Lógicamente, si hubiera datos sólidos que permitan posicionar el medicamento y esto no se hiciera, tendríamos un problema. Sin embargo, como se ha comentado arriba, en la mayor parte de los casos, lo que hay son grandes áreas de incertidumbre.

¿Qué les falta a los IPT?, ¿qué deberían cumplir los IPT para conseguir su objetivo? Bien, en primer lugar, contar con los datos que permitan establecer ese valor terapéutico comparado. Para ello el desarrollo de un medicamento

debe estar orientado desde el principio a proporcionar estos datos. Las iniciativas citadas anteriormente de asesoría científica precoz y en paralelo con aquellos cuerpos que representan una función de HTA son un elemento. Pero también lo pueden ser conceptualmente cambios en la manera de investigar, desarrollar y acceder precozmente a los medicamentos. Todo lo que sirva para generar datos primarios sólidos y fiables, debe ser el objetivo. No siempre será posible (pensemos en algunas enfermedades raras). Pero éste debe ser uno de los objetivos a los que el IPT debería colaborar lanzando el mensaje sobre lo que se quiere (y lo que no se quiere) no ya para autorizar, sino para incorporar un medicamento (y pagar por él) de forma que el desarrollo esté alineado con todos estos aspectos.

Cuando no existen los datos que permitan un posicionamiento completo de un determinado medicamento, la pregunta es, ¿sería mejor profundizar en comparaciones indirectas u otras técnicas estadísticas o quedarse en el escalón previo al área de incertidumbre? La primera opción es interesante desde un punto de vista científico, pero poco práctica desde el punto de vista del posicionamiento porque se corre el riesgo de fomentar más comparaciones indirectas que directas y terminar basando decisiones importantes en datos torturados en el análisis hasta que arrojan un determinado resultado. La alternativa sería adoptar una postura más restrictiva en cuanto a marcar diferencias entre productos. De este modo, se consideraría que todo aquello que no haya demostrado diferencias, no se puede decir que sea diferente. Para los que esperen un algoritmo decisorio, puede ser decepcionante. Sin embargo, si la diferencia entre prescribir un medicamento o su alternativa (sin que se hayan demostrado diferencias) carece de impacto económico, ¿tendría sentido forzar una alternativa frente a la otra?

La metodología de los IPT

Otra de las críticas habituales al IPT es la falta de metodología. La unidad de la evaluación se garantiza, lógicamente, mediante la normalización de la

metodología evaluadora. Realmente no es que no haya metodología detrás de los IPT, que la hay, sino que es necesario confluir entre dos (o más) metodologías. Incluso avanzar entre todos a una tercera vía metodológica. Trataremos de explicarlo. Las agencias de medicamentos están acostumbradas a evaluar un dossier que contiene todos los datos del medicamento (aunque a todos nos gustaría más datos, es obvio). Este dossier en formato eCTD (electronic Common Technical Document) es similar en todo el mundo. El dossier de un medicamento contiene partes confidenciales pero las agencias publican un informe público (EPAR en la UE). Las agencias reguladoras tienen multitud de guías o directrices que marcan las necesidades metodológicas para que un producto pueda ser desarrollado y eventualmente autorizado. Se pueden criticar estas guías pero no decir que no las hay. Por su parte, diferentes autoridades de precio/reembolso o la HTA reciben también información en forma de dossier y tienen también guías sobre qué información es necesaria y cómo presentarla. Otros cuerpos de evaluación simplemente rastrean qué documentación pública hay accesible y aplican una metodología de revisión sistemática de la literatura. Realmente si uno analiza cualquiera de ellas y las compara con el resto solo obtendrá una visión en muchos casos complementaria. Pero quizá todos estemos de acuerdo en que sería muy importante que toda la información que genera conocimiento sobre el medicamento esté agrupada en torno al medicamento en forma de dossier (o como quiera llamarse). Y que el posicionamiento de un medicamento (y su vigilancia post-comercialización, y las decisiones sucesivas de precio y financiación, y las decisiones sobre utilización, etcétera) vaya cambiando conforme este dossier contenga nuevos datos sobre cualquier tipo de investigación o uso del medicamento. Así, la necesidad no es una metodología inmutable, sino un cuerpo de evaluación sólido capaz de dar respuestas utilizando de manera flexible y en cada caso aquella metodología que mejor sirve a los fines del conocimiento sobre el medicamento.

¿Debe ser la metodología explícita? Sí, lógicamente las evaluaciones deben ser reproducibles, pero hay que tener cuidado con no abrir extensiones me-

todológicas que puedan ser aprovechadas sin ningún sustento real que permita posicionar un medicamento. De nuevo, ¿qué es mejor?, ¿torturar unos datos hasta que, de acuerdo con una directriz, arrojen el resultado que se postula o rebajar el nivel de expectativa? Lo primero es posible y ya sabemos a dónde nos ha llevado. Ello en modo alguno supone una merma sobre lo que es necesario hacer a nivel científico. La investigación debe seguir y los científicos publicar sus resultados. Sin embargo, hay decisiones que no es posible –hoy en día– sustentar exclusivamente en la ciencia y para las que es necesario sobre todo el sentido común (y cito aquí, si se deja, a Vicente Ortún en la conferencia inaugural de la reunión el 13 de Mayo en el Parador de Alcalá de Henares).

La cuestión es si podemos disminuir la incertidumbre que acompaña a todo nuevo medicamento (desgraciadamente, también a los viejos, pero esta es otra historia) y cuándo y cómo podemos hacerlo. La regulación de los medicamentos –como otras muchas actividades de la vida– se mueve entre dos extremos igualmente indeseables: adelantar mucho las cosas (autorizar con más incertidumbre) puede generar riesgos no detectados mientras que retrasar mucho las cosas (autorizar con todo conocimiento, si es que esto es posible) puede hacer que pacientes que se podrían haber beneficiado, no lo hayan hecho. ¿Es posible encontrar el fiel de la balanza entre uno y otro extremo? Sea posible o no (sea fácil o difícil), lo cierto es que hay que ser consciente de que nos movemos entre estos dos extremos. Y para generar más certidumbre cada vez más pronto hay dos aspectos metodológicos que hay que explorar entre todos. El primero de ellos es la evaluación de datos crudos (raw data) o la generación de datos crudos cuando no son del titular de la autorización de comercialización. Este debería ser un objetivo de todos y de alguna manera se avanza hacia ello. La EMA por su parte en los registros centralizados y la nueva legislación de ensayos clínicos en Europa caminan en este sentido. Sin embargo, hay que alertar del riesgo de que viémos desde la realización de investigación clínica (pacientes reales, situaciones nuevas) a la re-evaluación de datos. Ambos no tienen por qué ser incompatibles, pero el riesgo puede existir.

El segundo de ellos es la obtención y el análisis de datos de la vida real (real world data). Sobre esto cabe decir que si fuera fácil, probablemente ya estaría hecho y sus resultados a disposición de todos. Pero es inexcusable avanzar hacia ello. De nuevo aquí confluyen los programas de acceso precoz, las adaptive pathways, la farmacovigilancia y los registros de enfermedad o medicamentos en manos de sociedades científicas, industria o pacientes.

Implementación de los IPT

Cuando hablamos del alcance o la implantación práctica de los IPT surge siempre el debate llamando a la equidad. Vaya por delante que equidad es una de esas palabras que uno no puede dejar de suscribir pero debajo de la cual se esconden dos (o más) debates que tienen matices ligeramente distintos. Uno de ellos es el derecho a que un paciente tenga las mismas oportunidades de mejora (o cura) con independencia de su código postal. Es este un debate importante que tiene que ver con la limitación de la variabilidad inaceptable de la práctica clínica pero que, para ser sinceros, se extiende mucho más allá del acceso a los medicamentos. Cuando el debate sobre la equidad se circunscribe exclusivamente al acceso a los medicamentos, se simplifica en exceso y entran en juego variables como de quién es, en último extremo, la responsabilidad de prescribir, de dispensar o, en definitiva, de decidir. Por lo tanto, si hablamos de equidad, deberemos hacerlo en términos de igualdad de oportunidades para conseguir un determinado resultado lo cual incluye, pero no solo, el acceso a los medicamentos.

Hay que recordar también que la variabilidad en la práctica clínica es un factor intrínseco a la propia práctica clínica. La variabilidad en la práctica clínica no es en sí misma negativa. Existe variabilidad en la práctica clínica entre países, entre regiones, entre centros, dentro de un mismo centro y, a veces, incluso dentro de un mismo profesional. La variabilidad de la práctica clínica, además, no es solo la infrautilización de tecnologías y procedimientos, tam-

bién la sobreutilización de los mismos cuando no está justificado. No toda la variabilidad es inaceptable. La variabilidad es aceptable cuando existe incertidumbre en la evidencia científica sobre los resultados de diferentes prácticas, si existen diferencias en las características o preferencias de los pacientes, si hay diferencias en las capacidades de los centros siempre y cuando se garantice un mismo resultado, o por la propia mutabilidad de la ciencia (lo que hoy es aceptable, mañana puede dejar de serlo y viceversa). Sin embargo, la variabilidad es inaceptable cuando en su origen está una pobre habilidad profesional, la mala organización de una institución o un servicio, o la deliberada desatención a prácticas preferibles sobre otras que sí están bien documentadas científicamente. Hay que decir que, en las últimas dos décadas, han sido numerosísimos los estudios sobre variabilidad en la práctica clínica (de hecho, es de los pocos temas de investigación que aseguran un resultado positivo) pero muy escasos los resultados en términos de reducción de la misma. De alguna manera, y por razones que no vienen ahora al caso, las guías de práctica clínica (GPC) no han terminado de dar el resultado previsto.

Inmediatamente surge una pregunta: ¿Pueden los IPT impactar en la práctica clínica? Es más, ¿es el objetivo del IPT, por ejemplo, reducir la variabilidad? Los IPT no nacen como una GPC. Hasta ahora nos hemos movido en un escenario en el que este tipo de informes tenían necesariamente que tener repercusiones en la práctica clínica. El posicionamiento terapéutico identificaría lo que es una buena práctica clínica y debería fomentarla en detrimento de lo que sería una práctica clínica no deseable (o peor). Alternativamente, en igualdad o desigualdad de resultados sobre la salud, el informe identificaría aquella práctica que con costes muy diferentes resultara más coste/efectiva. Esta ha sido la corriente mayoritaria hasta ahora: establecer posicionamientos muy prescriptivos. Un médico en determinadas condiciones bien definidas debe seguir un camino y no otro. Ahora bien, reconozcamos que esta no es la situación. A día de hoy siguen pesando más las incertidumbres que las certezas. Tratamos de rellenar estas incertidumbres con análisis subrogados, comparaciones indirectas y tortura a los datos (que,

por cierto, a menudo muestran una plasticidad casi a prueba de bombas: la metodología lo sustenta todo). La pregunta sería, ¿y si, sin dejar de generar conocimiento de la forma que sea, marcamos un punto de partida que libere la práctica clínica de la presión a la que se ha visto sometida? Si no podemos asegurar que A es mejor que B, ¿por qué no dejamos que los clínicos prescriban A o B si esta decisión carece de impacto presupuestario? En la práctica, esta es la situación más habitual. Por supuesto que en un extremo encontramos medicamentos que son innovaciones “disruptivas” y, en el otro, medicamentos con incertidumbres también disruptivas. Pero unos y otros son una minoría. Hemos estado muy acostumbrados a hacer el posicionamiento terapéutico después de las decisiones de precio, lo cual tiene poco impacto sobre el precio, lógicamente, y un difícil impacto sobre la práctica clínica. Los IPT adelantan este momento. Es un hecho notable que no siempre ha sido bien reconocido. Nos hemos quejado amargamente de la dificultad para generar competencia en precio en el caso de los medicamentos. Los IPT pueden ser una oportunidad.

Es más que posible que haya grupos o comisiones a muchos niveles que reevalúen los medicamentos. Ha sido la norma durante muchos años y conseguir que estas estructuras dediquen sus recursos a otras actividades puede que lleve un tiempo o puede que sea directamente imposible (especialmente si los IPT carecen de impacto). Pero es también cierto que el IPT se va convirtiendo en un elemento de referencia más. Hay que mencionar aquí el “*carácter vinculante*” que la disposición adicional tercera de la Ley 10/2013, de 24 de julio, establece para el posicionamiento de medicamentos. Este carácter vinculante no alude al ejercicio posterior de derecho alguno. En el GCPT no se ha trabajado el IPT como un elemento coercitivo. En todo caso, la vinculación alude al hecho de que, una vez que el posicionamiento terapéutico de un medicamento ha sido establecido en el marco colaborativo y participativo del procedimiento marcado, carecería de sentido otro posicionamiento científico por parte de los mismos participantes. Con esta llamada a la vinculación del informe simplemente se llama a respetar el consenso científico alcanzado durante la elaboración de los IPT.

Sin embargo, y esto es consecuencia de incertidumbre, es necesario hacer gestión más allá del IPT, y el propio documento que marca el procedimiento de elaboración de los IPT establece que todas las actuaciones relacionadas con el IPT se hacen “... *sin menoscabo del ejercicio de sus respectivas competencias y la independencia de sus decisiones*” y “... *sin limitar las competencias de las diferentes administraciones sanitarias*”. Las decisiones en el GCPT se adoptan por consenso de todos, con discusiones pero sin imposiciones. Esto no quiere decir que no haya problemas, pero generar debates más allá de esta realidad puede ser estéril y no abordar el verdadero problema: necesitamos encontrar un camino de acceso a los medicamentos que no tensione más el sistema, sino que contribuya a relajarlo para todos.

El IPT como una barrera regulatoria más

El medicamento es una tecnología sanitaria que nace evaluada. En este sentido ha estado sometida a una barrera regulatoria que no existe para otro tipo de tecnologías sanitarias. Como se ha comentado, el acceso a los medicamentos ha ido acumulando barrera tras barrera (hace años nos habíamos quedado en la cuarta barrera). Ahora, al nacer el IPT es percibido por algunos como otra barrera regulatoria más. Es entendible. Sin embargo, sería pecar de injusto pensar que el IPT ha venido a retrasar la incorporación de medicamentos. De entrada, conviene negar la mayor. El sistema en España no es con mucho el peor de Europa. El problema del acceso a los medicamentos es un problema global. Es un problema que existe en prácticamente todos los países con independencia del sistema de acceso (una agencia, dos agencias, múltiples agencias). Además no es un problema solo de la post- autorización (o post-decisión de precio y financiación), también surge de la diversidad de planteamientos en Europa respecto del uso compasivo de medicamentos en investigación, el uso de medicamentos no autorizados en España pero sí en otros países (la llamada medicación extranjera), y el uso de los medicamentos en condiciones distintas a las establecidas en su ficha técnica (off-label). Y todo, absolutamente todo, gira en torno a determinar el valor del medicamento en base al conocimiento

existente en diferentes momentos del desarrollo o uso del medicamento para, con este conocimiento, dar acceso a un medicamento en cuestión.

Además, al partir de la evaluación que se hace para la autorización (recordemos que en este momento pocos datos adicionales hay) e iniciar el informe con la opinión positiva del CHMP (dos a tres meses antes de la autorización efectiva por parte de la Comisión Europea), el tiempo consumido no debería ir en detrimento del inicio de otras actuaciones importantísimas para el acceso a los medicamentos. Sí es cierto que, por diferentes motivos, el primer año de IPT ha consumido este tiempo y más. Pero también es cierto que, en el segundo año, estos tiempos se han reducido. En todo caso, un IPT no retrasa en ningún caso la adopción de una decisión sobre precio/financiación que puede adoptarse con independencia del IPT.

Pero, aunque a la pregunta de si el IPT es una nueva barrera reguladora, desde la Agencia contestaríamos que no, hay que decir que la sensación general es que sobran barreras reguladoras y que el IPT ha sido percibido (se percibe probablemente aun) como una de ellas. La vocación del IPT no es la de barrera, sino un punto de apoyo en el que adoptar medidas que permitan rebajar la presión. Ahora bien, sería también ingenuo pensar que con el IPT todo va a estar solucionado. No es así, pero una forma de avanzar en este sentido sería con autoridad (de la de verdad), con disciplina, con control por parte de la sociedad, con consenso técnico, con transparencia y con participación, haciendo del IPT un elemento dinámico. En un mundo en el que el conocimiento muta a velocidad de vértigo (cierto que en algunas cosas más que en otras), lo importante no siempre son las primeras decisiones sino la capacidad de ir variándolas en función de lo que vamos sabiendo.

Conclusiones

Los IPT deben ofrecer información sobre la posición relativa (o incertidumbres) de un medicamento basada en la evidencia, proporcionada por la ad-

ministración sanitaria por consenso y para toda la cadena. Se considera que es importante que se elabore antes del precio y que sea dinámico en el tiempo (reevaluar en función del precio y de los datos clínicos nuevos). Es necesario evitar redundancias, ganar confianza y que la gente lo perciba como útil. Se considera muy importante que haya participación por parte de todos los involucrados, aunque organizados en diferentes niveles de responsabilidad, y que el proceso sea transparente. La metodología debe ser explícita pero orientada a los resultados que se pretenden. Hay que articular fórmulas para integrar la evaluación de los datos en práctica clínica real no ya en el primer momento.

Acuerdos Innovadores o de Riesgo Compartido

Director: Miguel Ángel Calleja Hernández

Jefe del Servicio de Farmacia

Hospital Universitario Virgen de las Nieves, Granada

GRUPO DE DISCUSIÓN 2

Acuerdos Innovadores o de Riesgo Compartido

Texto elaborado a partir de la reunión del Grupo de Discusión número 2 sobre Acuerdos Innovadores o de Riesgo Compartido celebrado en Alcalá de Henares el 14 de mayo de 2015.

Participantes:

- **Dulce María Solar Núñez**, *Jefa de Sección de Neurología del Hospital de Cabueñes, Asturias*
- **Francisco Coret Ferrer**, *Servicio de Neurología del Hospital Clínico Universitario, Valencia*
- **Mónica Climente Martí**, *Jefa del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Doctor Peset, Valencia*
- **Olga Delgado Sánchez**, *Jefa del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Son Espases, Palma de Mallorca*
- **Julio Martínez Cutillas**, *Jefe del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Val d'Hebrón, Barcelona*

1. De los dos tipos de Acuerdo de Riesgo Compartido (ARC), los financieros y los basados en resultados en salud, ¿para qué situaciones sería recomendable un tipo de acuerdo u otro?

En primer lugar tenemos un debate sobre el nombre de este tipo de acuerdos y el grupo está de acuerdo en proponer un cambio de denominación a Acuerdos de Éxito Compartido o de Resultados Compartidos, evitando así la palabra Riesgo.

Todos los miembros del grupo de trabajo comparten que lo más innovador consiste en los Acuerdos basados en resultados clínicos pero consideran que ambas estrategias serían compatibles en muchos casos.

Los ARC basados en resultados de salud los recomendamos para aquellas situaciones en las que tengamos variable clínica de efectividad o seguridad con las siguientes características:

1. Objetiva.
2. Fácil de medir.
3. Habitual en la práctica clínica
4. Patologías graves.
5. Que exista incertidumbre en los resultados o evidencia limitada
6. En las que exista beneficio en la no progresión.

El grupo destaca que en ocasiones las variables de registro para una nueva indicación por parte de las agencias reguladoras y, por tanto las medidas en los Ensayos Clínicos, distan mucho de las variables de efectividad utilizadas en la práctica clínica real y que, deben ser estas últimas las que regulen la modificación del precio en los ARC clínicos.

Habitualmente se considera que un acuerdo de este tipo debe poder resolverse y medirse a corto plazo, normalmente en el año en curso, ya que el presupuesto de nuestros centros sanitarios suele ser anual, sin embargo,

nuestro grupo, tras la reflexión y debate considera que sería ideal poder medir el resultado de las variables tanto a corto plazo (dentro del presupuesto anual) como a largo plazo con resultados finales. La medición a largo plazo es garantía de mayor compromiso con los resultados en salud del paciente.

Los ARC financieros y concretamente los techos de gasto, los recomendamos para el resto de las situaciones. Este segundo tipo de ARC va más orientado a mejorar el precio por unidad tras la compra de grandes cantidades del medicamento, a garantizar que el presupuesto del hospital no se supera. Estarían indicados en aquellas situaciones donde un fármaco nuevo irrumpe en el mercado con evidencia clara y contrastada de su eficacia y seguridad pero dificultad para la medición en práctica real de las variables de efectividad o seguridad, o bien donde se puede poner en compromiso el presupuesto de los centros.

No obstante, en el caso de los techos de gasto, el grupo considera que lo ideal sería poder aplicarlo a cada patología y no a cada medicamento, ya que podríamos encontrarnos situaciones en las que no se llega al techo de gasto de cada medicamento, pero al tener varias innovaciones paralelamente en un área terapéutica, se incumple el presupuesto global de los centros hospitalarios.

La Esclerosis Múltiple (EM), está viviendo en los últimos 2 años una revolución terapéutica con la aparición de nuevas moléculas, por lo que en ellas vemos más adecuada la aplicación del techo de gasto por patología, que sería la sumatoria de los techos de gasto de cada uno de los medicamentos utilizados en la misma.

En el caso de asociar los dos tipos de ARC, el financiero y el de resultados en salud, los resultados en salud podrían medirse en esta patología entre 12 y 18 meses tras el inicio del tratamiento.

Al aplicar pago por resultados en Esclerosis Múltiple, una variable adecuada

sería la captación de Gadolinio en la Resonancia Magnética Nuclear. Lo que han demostrado los fármacos de este grupo ha sido reducción de la inflamación y podrían ser las variables adecuadas. Otras opciones serían el número de brotes o la aparición de los mismos.

Un ejemplo de aplicación ha sido el caso de la Fampridina que se ha comprobado que tiene mejor respuesta que los EECC, en este caso la efectividad real es mayor que la eficacia del ensayo, por tanto no ha permitido evitar muchos gastos al Sistema Sanitario.

2. ¿Qué se entiende por ARC financiero con techo de gasto? ¿Cómo operativizar los tipos de ARC financieros con techo de gasto a nivel de Comunidad Autónoma y de Centro?

El ARC financiero con techo de gasto es aquel acuerdo en el que, a partir de una determinada cantidad del medicamento adquirido, se adquiere de forma gratuita.

Es importante insistir en la necesidad de un correcto cálculo de la cantidad límite para que esté alineada con el número de pacientes susceptibles de tratamiento y del mismo modo garantice que el presupuesto no se pone en riesgo.

Deben realizarse por población y prevalencia de la enfermedad. Entendemos que sería garantía de equidad. Pero es necesaria una mayor transparencia en los datos y agilidad en la obtención de la información sobre el consumo nacional y autonómico que tenemos de cada medicamento en cada momento.

Todos los ARCs, especialmente los financieros, consideramos que deben firmarse a nivel nacional, pero creemos que es más operativo un reparto por Comunidad Autónoma y dentro de la Comunidad se realiza el reparto por hospital atendiendo a criterios de complejidad además de la población.

Uno de los problemas de este tipo de acuerdos es el desconocimiento del precio real del medicamento hasta el final del período establecido.

3. En el caso de los ARC de pago por resultados, ¿Quién define los parámetros clínicos a evaluar? ¿Quién los consensua? ¿Quién los evalúa? ¿Para qué tipos de medicamentos estarían indicados?

Los parámetros clínicos los deben definir los clínicos expertos en el tratamiento de la enfermedad en cuestión, basándose en las variables analizadas en los Ensayos Clínicos y en la práctica habitual para evaluar la respuesta al tratamiento. En este proceso es importante trabajar colaborativamente de forma multidisciplinar y los servicios de farmacia pueden realizar una colaboración vital tanto en el diseño como en el seguimiento del acuerdo.

Este trabajo colaborativo debe comenzar en el diseño del ARC para garantizar la calidad del mismo y la implicación de todas las partes.

Es importante definir un comité técnico en el que deben estar representados tanto el Hospital (Especialista de la patología, Farmacéuticos, dirección económica) como el Laboratorio farmacéutico, cumpliendo la Ley Orgánica de Protección de Datos en el análisis de los casos sin respuesta adecuada.

Lo ideal sería que la incentivación del Laboratorio a sus profesionales fuera por conseguir mejores resultados en salud y no por conseguir unas ventas mayores.

Haciendo el símil para el laboratorio TEVA cuyo lema es “TE damos VALor”, nosotros por valor entendemos salud y en ese sentido también podríamos llegar al acuerdo de pagar por el valor generado o salud alcanzada, y no por las cajas compradas. En este segundo caso deberíamos llamarle TEVE (TE damos VEntas)

TE DAMOS VALOR

TE DAMOS VENTAS

Las historias clínicas informatizadas deberían tener los campos de estas variables en campo explotable para ayudar al registro y evitar duplicidad de tareas.

4. En éste último caso, ¿el seguimiento debe hacerse paciente a paciente o de forma colectiva?

Consideramos que el seguimiento debe hacerse siempre paciente a paciente, pero la negociación entre el sistema sanitario y el laboratorio farmacéutico debería hacerse de forma colectiva por grupos de pacientes porque en los ensayos clínicos también hay grupos de pacientes que no consiguen el objetivo terapéutico.

No obstante el reembolso por la falta de respuesta no debe ser por la media del colectivo sino por los pacientes que no consiguen el objetivo terapéutico.

Sería importante incorporar en el seguimiento variables de percepción, pre-

ferencias y de satisfacción del paciente así como compromiso de adherencia por su parte.

5. ¿Quién, al ser un estudio observacional, debe asumir el coste de seguimiento y evaluación? ¿Qué plazos deben tener?

El grupo considera que el coste del seguimiento de los pacientes y el análisis de los resultados en salud, debería ser asumido por el Sistema Sanitario de forma central y con una única plataforma liderada por el sistema.

No obstante entendemos que el laboratorio debería colaborar en la financiación del sistema al ser aplicado en sus medicamentos pero “capitaneado” por el propio sistema sanitario.

Se plantea que esta colaboración del laboratorio debería considerarse como un “Servicio postventa” de su producto que garantiza la calidad del mismo en su utilización por parte de los pacientes. Globalmente se propone que exista un partenariado estable, con alianzas público-privadas, que permitan una relación estable con el objetivo de conseguir los mejores resultados en salud.

En cuanto a los plazos, estamos todos de acuerdo en medir los resultados en el corto, medio y largo plazo porque nuestro compromiso con el paciente es durante todo el tiempo de su enfermedad y de su tratamiento, no solo en el corto plazo.

El grupo de trabajo está de acuerdo en que no se trata siempre de estudios observacionales. Aunque en muchos casos podría realizarse un EPA (Estudio Postautorización) con objetivos de investigación, no es condición indispensable para la realización de los ARC clínicos.

6. ¿Deben servir para que se sepa el coste final y los beneficios clínicos de lo que se está comprando?

Sí, para obtener resultados de coste-efectividad real con datos agregados, anonimizados, con confidencialidad para el paciente y para el profesional que ha tratado al paciente. Entendemos que los datos agregados sí pueden ser públicos para el Sistema Sanitario.

En algunas ocasiones, desde los laboratorios farmacéuticos se plantea la duda de si el riesgo solo lo asume el laboratorio, ya que el precio solo se modifica a la baja, en caso de resultados no satisfactorios. En este sentido, el grupo opina que el disponer de un medicamento novedoso pero con incertidumbre para el paciente también es un riesgo para el Sistema Sanitario, tanto desde el punto de vista clínico como económico y presupuestario. No obstante, en caso de conseguirse resultados en salud mejores que los descritos en el Ensayo Clínico, deberíamos buscar una posible solución incentivadora para la Industria Farmacéutica que podría ir en la línea de la utilización durante un tiempo mayor de la alternativa en cuestión o incluso para un número de pacientes determinado.

Debatimos sobre la no conveniencia de hablar de líneas de tratamiento en EM, el posicionamiento de los neurólogos en este tema es claro.

Financiación selectiva: la sensación que se tiene es que se acaba financiando públicamente un % muy alto de los medicamentos y, esto dificulta el cumplimiento del presupuesto especialmente porque la mayor parte del gasto es para patologías crónicas en las que el número de pacientes aumenta cada año.

Los ARC sirven también para unificar el lenguaje clínico y para registrar nuestros resultados de salud, no solo para conseguir menor gasto.

Destacar finalmente que el trabajo multidisciplinar está de acuerdo en que servicios como radiología o laboratorio pueden ser vitales en los comités de seguimiento, para una mayor implicación en la agilidad de la respuesta en el seguimiento de los resultados en salud.

Adherencia al Tratamiento, Cronicidad y Seguimiento de Resultados en Salud

Director: Salvador Peiró Moreno

Coordinador del Área de Investigación en Servicios de Salud, Fundación para el Fomento de la Investigación Sanitaria y Biomédica (FISABIO) de la Comunidad Valenciana. Red de Investigación en Servicios de Salud en Enfermedades Crónicas (REDISSEC), Valencia

GRUPO DE DISCUSIÓN 3

Adherencia al Tratamiento, Cronicidad y Seguimiento de Resultados en Salud

Texto elaborado a partir de la reunión del Grupo de Discusión número 3 sobre Adherencia al tratamiento, cronicidad y seguimiento de resultados en salud celebrado en Alcalá de Henares el 14 de mayo de 2015.

Participantes:

- **María Reyes Abad Sazatornil**, Jefa del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Miguel Servet, Zaragoza
- **Fco. Javier Bécares Martínez**, Jefe del Servicio de Farmacia del Hospital de la Fundación Jiménez Díaz, Madrid
- **Antonio Belenguer Benavides**, Servicio de Neurología del Hospital General de Castellón
- **Carlos Codina Jané**, Servicio de Farmacia del Hospital Clinic, Barcelona
- **Lamberto Lambete Pascual**, Servicio de Neurología del Hospital Dr. Peset, Valencia. Instituto Valenciano de Neurociencias, Valencia

Cronicidad, cronicidades, adherencia y resultados

El grupo, antes de entrar en las preguntas focales, hizo una primera ronda de intervenciones destinada a explorar los diversos conceptos que se reunían en el título de la discusión (adherencia, cronicidad y resultados).

Respecto al concepto de cronicidad, se señaló que la noción convencional de enfermedades crónicas (limitada a algunas condiciones médicas como la diabetes, la insuficiencia cardíaca, la enfermedad pulmonar crónica, etc., y sus factores de riesgo como la hipertensión, el hábito tabáquico, la hiperlipemia y otras similares) se ha expandido a muchos tipos de cáncer con supervivencias más o menos prolongadas, las enfermedades raras, los desórdenes mentales, las enfermedades neurodegenerativas, algunas infecciosas como el SIDA o la hepatitis C, diversas condiciones musculo-esqueléticas y reumatológicas y otras muchas patologías, incluyendo pacientes trasplantados, secuelas de traumatismos (ej.: daño cerebral adquirido) y cualquier otra condición que requiere un tratamiento prolongado.

Las enfermedades crónicas clásicas, bien tras un inicio como cuadro agudo o bien en sus formas de presentación más progresiva, se manejaban fundamentalmente (salvo en los episodios de descompensación) a través de la atención extra hospitalaria, con prescripción a través de receta oficial y dispensación en farmacia comunitaria. Estas características situaban el problema de la adherencia en el momento del alta hospitalaria tras un cuadro agudo o una descompensación y, sobre todo y de forma directa, en la atención primaria (AP), con el apoyo más o menos periódico en el seguimiento de la consulta externa. Muchas de las “nuevas” cronicidades, sin embargo, son tratadas con “nuevos” fármacos (oncológicos, biológicos, antivirales, huérfanos, ...) de elevado precio que, aunque muchos se administran oralmente y son relativamente seguros, son dispensados en la farmacia externa del hospital, que se configura como una nueva palanca para las actuaciones sobre la adherencia en muchos tipos de pacientes. Muchas de estas “nuevas” cronicidades son seguidas directamente por la consulta externa hospi-

talaria, con escaso control por parte de la atención primaria que en muchas ocasiones ni siquiera tiene acceso al detalle de los tratamientos que reciben estos pacientes porque se hallan en historias clínicas hospitalarias no siempre accesibles desde las historias clínicas electrónicas de AP.

También se constató que en muchas Comunidades Autónomas (CCAA), y aun en el supuesto de enfermedades crónicas clásicas y de fármacos que se prescriben en receta oficial, los sistemas de “prescripción electrónica” han desplazado la práctica tradicional de “repetición” de las recetas de los especialistas por parte del médico de AP (prescripción derivada), relajándose el control de la atención primaria sobre el conjunto de medicamentos que recibe un paciente, que ahora puede acceder directamente a la dispensación de fármacos con potenciales interacciones desde la prescripción realizada por diferentes especialistas sin la supervisión del médico de AP.

Todas las intervenciones dieron por hecho una relación directa y positiva entre adherencia y resultados. De hecho, se valoró que (más allá de las diferencias entre las poblaciones seleccionadas en los ensayos y los datos de mundo real), la no-adherencia a los tratamientos es el elemento esencial de la distancia entre los resultados obtenidos en los ensayos clínicos y los resultados obtenidos con los pacientes reales.

Adherencia y adherencias

Siguiendo la discusión, el grupo intentó establecer un marco más definido para el concepto de adherencia. En general, existe un cierto acuerdo sobre que *el concepto se refiere al grado en que un paciente actúa de acuerdo con la prescripción médica en términos de retirada del fármaco, dosis, intervalos de tiempo de las tomas, olvidos y suspensión antes del tiempo recomendado*. También existe acuerdo en que las actuaciones sobre la adherencia no son procesos aislados, sino que forman parte de procesos terapéuticos que incluyen la adecuada prescripción, la información al paciente,

el seguimiento y valoración de efectos adversos, la conciliación, la revisión y la propia adherencia.

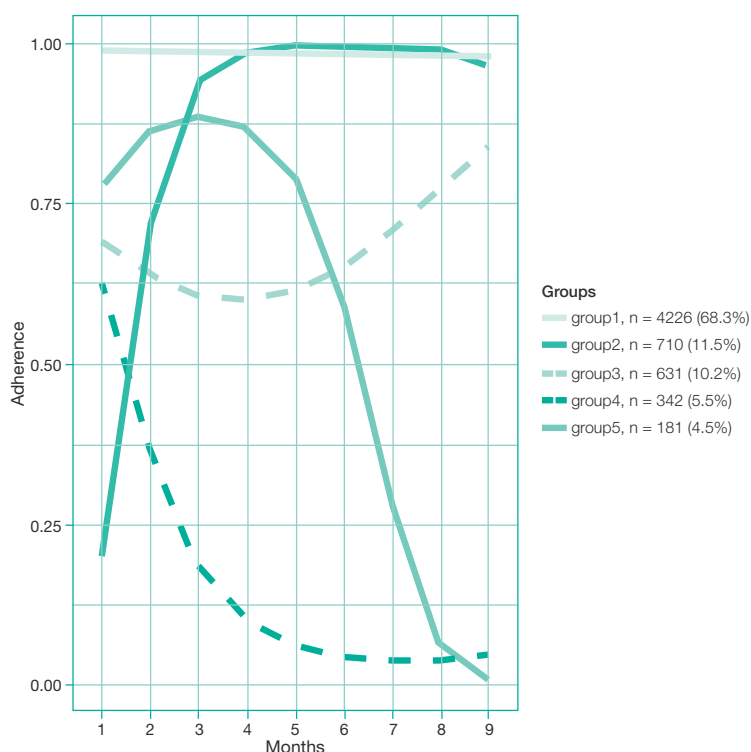
En el sentido que se abordó desde el grupo de discusión, el concepto de adherencia es un rasgo de los pacientes. Aunque en muchas ocasiones se emplea este término para referirse a la “adherencia” de los médicos a las guías de práctica o a recomendaciones de tratamiento basadas en la evidencia (por ejemplo, no prescribir –sin un buen motivo– antiagregantes, betabloqueantes, estatinas o fármacos con acción sobre el sistema renina-angiotensina tras un infarto de miocardio), y esta no-adherencia de los médicos conduzca a pobres resultados clínicos, similares a la no-adherencia de los pacientes, son dos conceptos completamente diferentes y con abordajes también diferentes. En este sentido, sólo puede hablarse de adherencia de los pacientes cuando existe una prescripción médica.

El concepto general de adherencia incluye diversos componentes relacionados con el inicio del tratamiento, su implementación y seguimiento, y la discontinuación, y que puede operativizarse como:

- *No-adherencia primaria (primary non-adherence)*, que se refiere específicamente a la no retirada de la primera prescripción, y al que cada vez se le presta más atención por su capacidad para predecir tempranamente la adherencia secundaria.
- *Adherencia secundaria* que incluiría:
 - ✓ **Disponibilidad** (*Availability*): número de dosis dispensadas en relación al periodo de dispensación. Usualmente se estima mediante la “*Medication Possession Ratio (MPR)*” o la “*Proportion of days covered (PDC)*”.
 - ✓ **Persistencia** (*persistence*): Tiempo desde el inicio del tratamiento a la discontinuación de la terapia. La discontinuidad debe ser operativizada definiendo un gap de días sin tratamiento (de modo que un paciente podría discontinuar y volver a tomar el medicamento al cabo de un tiempo).

✓ **Trayectorias de adherencia** (*group based trajectory models*): Pertenencia a un patrón grupal específico de adherencia a lo largo del tiempo. Aunque pueden existir patrones muy diversos, los grupos tienden a clasificarse como “adherentes”, “usuarios ocasionales”, “declive rápido”, “declive lento” y “gap inicial” (figura 1). Las trayectorias, de introducción reciente en el análisis de la adherencia, tienen la ventaja frente a otras aproximaciones de valorar la adherencia como un fenómeno dinámico en el tiempo, integrando las fases inicial, de seguimiento y la discontinuidad.

Figura 1. Trayectorias de adherencia a tres o más medicamentos índice en pacientes dados de alta vivos tras síndrome coronario agudo



Fuente: Sanfelix G et al. 2015 (Comunicación personal). Pacientes seguidos durante 9 meses. Grupo 1: adherentes, grupo 2: gap inicial, grupo 3: “usuarios ocasionales”, grupo 4: declive rápido, grupo 5: declive lento. Los porcentajes se refieren al volumen de pacientes en cada trayectoria.

Causas y factores asociados a la no-adherencia

Los factores que influyen en la no-adherencia son muy diversos, como es habitual en un fenómeno complejo y multicausal. Entre ellos se señalaron:

- **Relacionados con el paciente**, como las *características socio-demográficas* (edad, que puede afectar positiva o negativamente según la condición; sexo, con tradicional peor adherencia en hombres; estado civil: solteros, divorciados; nivel educativo: bajo nivel de escolarización; etnia; país de nacimiento (inmigrantes), *vivienda* (personas sin-techo, estar lejos de casa o personas con alta movilidad geográfica), *deterioro cognitivo, conocimiento de la enfermedad y el tratamiento* (falta de conocimientos sobre las características de la enfermedad y el papel del tratamiento, confusión sobre las instrucciones, conceptos erróneos transmitidos por los medios de comunicación, la familia o los amigos sobre un medicamento, etc.), *creencias* (expectativas no realistas sobre el pronóstico, negación del diagnóstico, falsas creencias sobre el efecto o los efectos adversos del tratamiento, fatiga de tomar la medicación, percepción de uso excesivo de medicamentos, preferir un tratamiento “natural”, desear no necesitar el tratamiento, priorizar el trabajo sobre el tratamiento, etc.), *perfil psicológico* (pesimistas, comportamiento autodestructivo, baja autoconfianza), *comorbilidades y antecedentes* (tener otras enfermedades, historia previa de no-adherencia, enfermedades psiquiátricas, medicaciones concomitantes, pérdida de autonomía para las actividades básicas de la vida diaria, alcoholismo, drogadicción, tabaquismo).
- **Relacionadas con el entorno socio-económico y familiar del paciente**, como las *Familiares* (falta de soporte familiar, supervisión irregular por el cuidador, familias desorganizadas); *apoyo social* (falta de apoyo social); *estigma social de algunas enfermedades* en el trabajo, colegio o amigos (psiquiátricas, HIV, tuberculosis); coste de los medicamentos (copagos, especialmente los elevados copagos sin “tope” mensual de los “activos”); *cobertura sanitaria*, que en la discusión se refería especialmente a pobla-

ciones inmigrantes; *socioeconómicas* (pobreza, bajos ingresos, restricción económica y competencia con otras necesidades).

- **Relacionadas con la condición clínica del paciente**, como la *ausencia de síntomas y mejoría clínica* (patologías asintomáticas, tras recuperación del paciente, sentirse “curado”); *ausencia de mejoría clínica* (sensación de que el tratamiento no es efectivo por la persistencia de síntomas); *condiciones psiquiátricas*; *duración de la enfermedad* (enfermedades crónicas, estadios avanzados).
- **Relacionadas con los servicios sanitarios y los profesionales**, como las *barreras de acceso a los servicios sanitarios* (económicas, distancia, tiempo, no hablar español); *información sobre el medicamento* (que puede ser confusa, realizada por diversos médicos y de forma conflictiva, también desde diversas farmacias u obtenida por el paciente en fuentes familiares, internet, etc.); la calidad de la *comunicación médico-paciente*, que en la discusión se valoró como el aspecto esencial para mejorar la adherencia.
- **Relacionados con el medicamento**, como la propia efectividad frente a la sintomatología; los *efectos adversos* (tanto los agudos como los debidos al deterioro de la calidad de vida por efectos colaterales del medicamento, que también se valoran como un aspecto crucial, tanto en la no-adherencia del paciente como en la retirada del tratamiento); la *complejidad en la administración y manejo* (número de dosis y comprimidos, poli medicación, necesidad de dosis a media jornada, necesidad de ajuste con dieta, sabor u olor desagradable, tamaño excesivo del comprimido, y otros).

La discusión del grupo se centró en algunos aspectos de esta miríada de factores, resaltando:

- El positivo e importante papel que están jugando ya las asociaciones de pacientes, que debería apoyarse más desde los servicios sanitarios.

- La cada vez mayor importancia de internet (incluso webs y App que buscan a los pacientes) y la necesidad de que los servicios sanitarios incorporen este instrumento a la formación e información a los pacientes (webs recomendadas, webs de los servicios de farmacia).
- El relevante papel de la enfermería de consultas específicas (ej. pacientes con esclerosis múltiple, enfermedades raras,...) para formas en el manejo de la medicación, configurar las expectativas del paciente, ayudar en la información sobre efectos adversos.
- La situación específica de los niños, en los que la formación e información a los padres, y su participación en la atención, son esenciales para mantener comportamientos adherentes. Este aspecto sería común con aquellas situaciones en las que existe un cuidador.
- El papel de los copagos, aunque probablemente su impacto está limitado a algunos grupos de pacientes.
- La problemática de los prospectos de medicamentos, cuyos contenidos y diseño parecen más enfocados a cumplir las formalidades burocráticas que a la información de los pacientes y al manejo del tratamiento.
- La importancia de manejar adecuadamente los efectos adversos de los medicamentos, una de las causas más importantes de abandono y a la que se le presta relativamente menos atención. Tienen especial interés en este aspecto la información previa a los pacientes y su valoración y tratamiento adecuado.
- La importancia esencial de la información que transmite el médico y de la relación médico-paciente. El grupo opinaba que este es el aspecto esencial para mejorar la adherencia e incluye aspectos de “escuchar a los pacientes”, “hablar” con el paciente”, valorar la “comodidad” desde la perspectiva del paciente que no necesariamente es similar a la del médico, personalizar los tratamientos y la información.

Reduciendo la no-adherencia

Sobre las posibles intervenciones, de diverso tipo, que podrían reducir la no adherencia se apuntaron los siguientes aspectos:

- **Selección de pacientes de alto riesgo de no-adherencia.** Aunque algunas características de los pacientes pueden ser muy sugerentes de alto riesgo de no adherencia (ej.: drogadicción), no existen buenos modelos predictivos de no-adherencia para el conjunto de pacientes, por lo que el grupo consideró que, en principio, en todos los pacientes que deban tomar medicamentos de forma prolongada debe considerarse la posibilidad de no-adherencia y ofrecer la información y la formación necesaria para reducirla. Esto sería especialmente importante en aquellas condiciones donde la no-adherencia implica un mayor riesgo para el paciente.
- **Incentivos (económicos o de otros tipos) a los pacientes.** En términos generales, el grupo se mostró contrario a dar incentivos económicos a los pacientes para mejorar la adherencia (mecanismo cercano a la coerción, incentivos perversos, posibilidad de “aprovechados”), sin que ello obste para que este tipo de intervenciones pudiera ser utilizado en algunos casos en situaciones más o menos extremas.
- **Tratamiento directamente observado.** Se valoró como útil en algunos tipos de pacientes, pero no una medida a utilizar de forma generalizada.
- **Eliminar copagos.** No se consideró una medida relevante pero, una vez más, podría ser útil en algunos medicamentos y en algunos tipos de pacientes. En todo caso, el elevado copago de los “activos” sin “tope” mensual, sí que se valoró como un problema en los pacientes con enfermedades crónicas que toman medicamentos sin “cícero”.
- **Eliminar visados.** No se consideró una medida relevante para la mejora de la adherencia, aunque en su formas actuales –y con alguna excepción–

se considera una función rutinaria y burocrática que podría simplificarse con los sistemas informáticos.

- **Identificar pacientes no-adherentes mediante los sistemas de prescripción electrónica.** Se consideró una medida de alto interés para que los médicos detecten más fácilmente este problema y puedan actuar sobre él. Implica un importante trabajo para definir operativamente los criterios de no-adherencia sobre los sistemas informáticos, pero se puede iniciar con cierta facilidad en muchas patologías.
- **Rescate del no-adherente.** La identificación de pacientes no-adherentes debe ir seguida de estrategias adecuadas para su valoración y, en su caso, rescate. Que profesionales (médico especialista, de atención primaria, enfermería, farmacéutico de hospital, farmacia comunitaria, otros) deberían intervenir en este rescate y bajo que fórmulas (visita específica, atención farmacéutica, etc.) puede depender de cada condición y de la organización de los servicios sanitarios en cada entorno concreto, pero se considera esencial un cierto grado de coordinación intra y entre niveles asistenciales.
- **Sistemas personalizados de dosificación.** Incluyen los nuevos tipos de envase con avisadores y toma de medidas para valorar adherencia (envases inteligentes), pero también el re-embudo personalizado y otras modalidades. Se valoró como un aspecto que podría ayudar a mejorar la adherencia, especialmente en los pacientes poli medicados o con dosis complejas. Podría ser un área de especial interés para la farmacia comunitaria.
- **Tecnologías de la información y comunicación.** Las App, los SMS, las plataformas ehealth para pacientes crónicos, etc., especialmente cuando están implementadas desde los servicios que atienden habitualmente a los pacientes (confianza), también pueden jugar un importante papel en la mejora de la adherencia. En la discusión se mostró preocupación por la

aparición de App o programas de adherencia asociados a fármacos concretos, usualmente desde webs desarrolladas por el fabricante del mismo, no asociados a la historia clínica y que no valoran al paciente de forma global.

- **La relación médico/paciente.** Se insistió nuevamente en la importancia de la relación médico/paciente (confianza, preguntar, sentirse escuchado) como base esencial para una buena adherencia terapéutica. También en la necesidad de más y mejor información a los pacientes sobre los beneficios, los riesgos y las interacciones y la importancia de la toma de decisiones compartida, pero adaptada a cada caso y sin generar ansiedad a los pacientes. Todos los participantes en el grupo de discusión se mostraron partidarios de los modelos de atención “con el paciente” (informar, educar, confianza, complicidad, empoderar, implicar) pero también indicaron de la necesidad de personalizar la atención y de recurrir a modelos más “paternalistas” en aquellos pacientes que se encuentren muy incómodos participando en la toma de decisiones sobre su atención. No obstante, las estrategias centrales de adherencia pasan por formar pacientes capacitados que confíen en sí mismos y en los que se pueda confiar.
- **Pacientes poli medicados.** Un paciente poli medicado suele ser un paciente con plurimorbilidad y tratado por diferentes médicos, usualmente de varias especialidades. La polifarmacia, en sí misma, no implica inadecuación ni la necesidad de prescripción de medicamentos (buena parte de la polifarmacia pueda ser apropiada en muchos pacientes crónicos), pero si la necesidad de compartir información y de implementar un plan de tratamiento único, conocido y compartido por los diferentes profesionales que atienden al paciente, y con pautas y calendario común.
- **Conciliación.** Aunque el término se utiliza ocasionalmente para el ajuste de los tratamientos de un paciente a la guía farmacoterapéutica del hospital en el momento de un ingreso hospitalario, su auténtico papel es más importante. Implica la revisión y ajuste de los esquemas terapéuticos que

sigue un paciente y su adaptación a su situación concreta en un momento dado. La conciliación es esencial en los momentos en que el paciente cambia de nivel asistencial (al ingreso hospitalario, al alta hospitalaria) pero también puede ser útil en otros momentos, especialmente en pacientes con tratamientos prolongados.

- **Incluir objetivos adherencia en los indicadores de gestión y contratos-programa.** Los sistemas de información actuales permiten valorar el impacto del funcionamiento de las diferentes organizaciones sanitarias sobre la adherencia (real world data), pero prácticamente no se utiliza este tipo de indicadores que, como poco, podrían ayudar a incrementar el interés de los centros sobre este importante aspecto de la atención. La atribución de los buenos o malos resultados de estos indicadores no debería enfocarse hacia un servicio concreto (intervenir profesionales de muy diferentes unidades) sino a la coordinación conseguida por estas diferentes unidades.

Papel de los profesionales, los niveles asistenciales.

En términos generales, en la mejora de la adherencia están implicados prácticamente todos los profesionales y servicios que tienen contacto con los pacientes e incluso otros servicios, aunque su importancia relativa puede variar según los casos.

- **Atención Primaria.** Su papel se considera esencial en todos los pacientes no hospitalizados. Esto implica que deben disponer de información sobre la condición y tratamientos del paciente, incluso cuando este paciente este manejado en la consulta externa hospitalaria. En muchos casos, los médicos generales tendrán que enfrentarse a consultas de los pacientes, reacciones adversas, tratamientos de otras patologías, interacciones, etc., y su conocimiento y su capacidad de relacionarse con los servicios de atención especializada será esencial para el adecuado manejo de estas

situaciones. El papel de la atención primaria, especialmente de la enfermería, también puede ser decisivo en el cuidado de los cuidadores.

- **Facultativos de hospital.** Su papel es especialmente relevante en los pacientes crónicos con una enfermedad preponderante y compleja (enfermedades raras, neurológicas, reumatológicas, VIH, Hepatitis, Cáncer, trasplantados, etc.), pero también en las enfermedades crónicas clásicas (EPOC, diabetes, insuficiencia cardíaca, cardiopatía isquémica, insuficiencia renal, etc.). En estas últimas, la transmisión de información al resto de profesionales implicados –especialmente en pacientes con plurimorbilidades esencial, tanto en la consulta externa como en el momento de las altas tras ingreso hospitalario. Se valoró como trascendente su capacidad para implicar a la AP en el manejo de algunos tipos de pacientes y para cooperar con la AP en el manejo de otros. Los protocolos compartidos fueron considerados como un instrumento de interés.
- **Farmacia hospitalaria.** Papel esencial en la mejora de la adherencia de los pacientes con una enfermedad crónica preponderante manejada en consulta externa y en el seguimiento de los pacientes que reciben tratamientos a través de la farmacia externa hospitalaria. Se consideró que los recursos actuales son insuficientes para hacer frente a esta labor pero también que se trata de tareas que deben abordarse en colaboración con otros profesionales y otras unidades asistenciales. Asumir el liderazgo en este campo puede ser estratégicamente relevante para el futuro de la especialidad.
- **Farmacia comunitaria.** Puede tener un papel relevante en el manejo de algunos tipos de pacientes, aunque su importancia real acabará dependiendo de la estructura de incentivos y desincentivos que defina su vinculación real con la atención a los pacientes del SNS (que hasta el momento se ha centrado casi exclusivamente en la función de dispensación).
- **Unidades de hospitalización a domicilio, hospitales de media-larga estancia, urgencias hospitalarias, gestores de caso, y otras unidades**

entre niveles asistenciales. Se trata de unidades que en muchos casos cabalgan o hacen de puente (interfaz) entre el nivel hospitalario y la atención primaria. En el caso de los pacientes crónicos su papel puede ser esencial ya que intervienen en momentos asociados a cambios en los planes de tratamiento.

- **Industria farmacéutica.** Mientras que su interés en la adherencia de los pacientes es obvio, sus esfuerzos en este campo parecen menores y muy vinculados a cada producto concreto. Probablemente deberían intentar desarrollar (o apoyar) estrategias más globales, con una visión más de conjunto de los pacientes crónicos (con plurimorbilidad y poli medicados) y, necesariamente, más integradas con los sistemas de información sanitarios habituales.

El progreso del tratamiento farmacológico en las últimas décadas ha sido decisivo para cambiar el pronóstico de muchas enfermedades y, también, para mejorar la calidad de vida de muchos pacientes. En ese mismo periodo la prevalencia de las enfermedades crónicas ha crecido extraordinariamente. Muchos de los tratamientos para estas enfermedades se administran de forma ambulatoria y su efectividad en el mundo real acaba dependiendo de la adherencia de los pacientes a la “prescripción” en términos de retirada del fármaco, dosis, frecuencia de tomas y suspensión antes del tiempo recomendado. Los porcentajes de no-adherencia reportados en la literatura son muy variables en función de las condiciones estudiadas, tipos de paciente y entornos pero en prácticamente todas las enfermedades crónicas es un determinante esencial de los resultados clínicos obtenidos. Reducir la no-adherencia es, por tanto, un aspecto esencial de la buena atención sanitaria y la calidad asistencial que no debería ser descuidado en ninguna consulta, en la gestión de los centros asistenciales o en las políticas sanitarias.

Evaluación Económica

Director: Pedro Gómez Pajuelo

*Organización Nacional de Trasplantes,
Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad*

GRUPO DE DISCUSIÓN 4 **Evaluación Económica**

Texto elaborado a partir de la reunión del Grupo de Discusión número 4 sobre Evaluación Económica celebrado en Alcalá de Henares el 14 de mayo de 2015.

Participantes:

- **Carlos García Collado**, *Jefe del Servicio de Farmacia del Hospital La Inmaculada, Almería*
- **Eduardo Agüera Morales**, *Jefe del Servicio de Neurología del Hospital Reina Sofía, Córdoba*
- **Ma Isabel Martín Herranz**, *Jefa del Servicio de Farmacia del Complejo Hospitalario Universitario A Coruña (Hospital Juan Canalejo)*
- **Rafael Molero Gómez**, *Jefe del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario de Gran Canaria, Las Palmas*
- **Ricardo Ginestal López**, *Adjunto del Servicio de Neurología del Hospital Universitario Fundación Jiménez Díaz, Madrid*

El programa de trabajo versaba sobre la valoración de forma libre, por parte de todos los miembros del grupo de trabajo, de una serie de preguntas que previamente habían sido formuladas por cuatro expertos en el campo de la gestión sanitaria. El fin de la tormenta de ideas generada por este grupo matriz, no era otro que establecer un posible guion para nuestro grupo de discusión. Y en esta línea comenzamos el trabajo.

Es de resaltar que todos los miembros del grupo hicieron aportaciones a las preguntas formuladas pero que hemos considerado pertinente recoger las contestaciones de forma general, identificando en alguna de ellas opiniones lógicamente contradictorias que, a nuestro juicio, no hacen más que enriquecer la discusión y aportar soluciones complementarias a problemas complejos.

La EE y los criterios de identificación de la eficiencia económica es una técnica que a pesar de ser un referente contante y específico en nuestro ordenamiento jurídico sanitario, al menos en estos últimos cinco años, lamentablemente no hemos visto plasmada en la práctica evaluativa ni de la Administración General del Estado ni en la Consejería de Salud de las distintas Comunidades Autónomas.

En este sentido se plantea la primera pregunta al grupo de discusión. **¿Cuál cree que es el objetivo de una Evaluación Económica? La identificación de lo caro/barato versus costes/efectividad/eficiencia. ¿Para qué se debe utilizar la EE?**

El objetivo de la EE es ayudar a la toma de decisiones racionales. La EE no pretende, a juicio del grupo, diferenciar lo caro de lo barato, lo gravoso de lo asequible. No, lo que pretende este conjunto de procedimientos o técnicas de análisis es evaluar el impacto de distintas alternativas sobre el bienestar de la ciudadanía.

Con la mayor información posible la EE pretende apoyar elecciones racio-

nales, y por tanto, argumentar decisiones coherentes. Claramente se impone el concepto de efectividad sobre los demás. Y a su vez, como medida o valoración de los efectos, la EE debe permitir establecer una relación directa con el bienestar, pero todos coinciden en que su utilización, al menos en sus respectivos servicios o unidades, dista mucho de aquello para lo que la EE está concebida.

Si la evaluación económica consiste en determinar los efectos que se derivan de cada una de las opciones o acciones posibles en una situación de elección y comparar estas alternativas entre sí en términos de eficiencia social, el objetivo a día de hoy no se alcanza en la mayor parte de los estamentos de nuestro Servicio Nacional de Salud.

Dada la representatividad en nuestro grupo de trabajo de responsables de distintos centros, públicos y privados, con concierto y sin él, y a su vez del campo médico y farmacéutico, pretendimos avanzar en la posible valoración e influencia de esta disciplina en cada uno de los ámbitos citados, pero la respuesta fue unánime. El grado de conocimiento de esta técnica es muy bajo, no hay una cultura sobre la EE que impregne la actuación diaria de los distintos profesionales.

La falta de referencias económicas, o de información detallada sobre los costes de las distintas alternativas terapéuticas en los ensayos clínicos, impide conocer al detalle el grado de eficiencia de las posibles tecnologías y, a su vez, distancia al profesional sanitario de la valoración de estas técnicas.

Quizá, lo que verdaderamente preocupa a los asistentes es quién, cómo, cuándo y dónde hacer la EE. El conocimiento sobre su metodología o sobre lo intuitivo o no de su resultado llegará cuando logremos transparencia y objetividad, en el origen y en el contenido de los informes aportados.

A pesar de que identifican EE y efectividad, el mayor grado de conocimiento

de los modelos de EE es el análisis de la minimización de costo. A juicio de los asistentes se abusa mucho de este por cuanto la comparación de las distintas opciones de tratamiento se hace bajo el supuesto, que en muy pocas ocasiones se cumple, de la obtención del mismo resultado sanitario. Nuestro sistema hospitalario tradicionalmente compara casi exclusivamente los costos netos directos de las opciones terapéuticas, y la elección entre alternativas se sustenta habitualmente en la menos costosa. Todos reconocen que el precio neto individual de cada alternativa se ha convertido en la única variable directa de análisis.

Parece que, respecto a la predisposición de los distintos colectivos representados en este grupo de trabajo, el farmacéutico está más sensibilizado que el médico en la incorporación de esta técnica en su labor de día a día. Todos coinciden que la EE no tiene gran utilidad en el diagnóstico y prescripción, funciones clásicas del colectivo médico, y que poco puede aportar esta técnica en estos campos. Demandan su uso en las decisiones de precio y financiación pública de medicamentos y otras tecnologías sanitarias.

A pesar de ello, consideran que ni en los objetivos de la actual política de regulación del precio del medicamento en España, ni en las decisiones sobre financiación pública de tecnologías, ni en la elección de alternativas terapéuticas en el campo farmacológico, la EE tenga un papel bien definido.

El impacto de la crisis económica en de los sistemas de regulación parecía una oportunidad para implantar la EE, pero quizá una vez más se ha dejado pasar esta oportunidad. En opinión del grupo, la medida más importante y prioritaria para implantar en España la EE como herramienta evaluativa, es que se constituya en un instrumento necesario para la intervención del precio de los medicamentos, y que con ello podamos salir de lo que algunos definen como un “agujero negro” donde los decisores, en la mayor parte de los casos, no comprometen sus actuaciones políticas con las decisiones que adoptan.

El grupo hace especial hincapié en que los distintos informes de evaluación tanto de la Dirección General de Farmacia, hoy Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, como de los distintos Comités de expertos regionales, deben tener un marcado contenido económico y por tanto añadir en su análisis y conclusiones la EE como concepto orientativo.

Dado que no hemos sido capaces de trasladar a la toma de decisiones los resultados de esta metodología, se sugiere por parte de los asistentes que las principales líneas de actuación en este campo deben venir implementadas desde las instancias más altas de nuestro sistema sanitario. Concretamente desde el Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad.

Entrando en esta reflexión la segunda pregunta propuesta parecía oportuno plantearla. **¿Por qué se habla de EE en el RDL 16/2012 y no se aplica?**

Existe una marcada tendencia por parte de los asistentes a individualizar las reflexiones en el campo de la esclerosis múltiple. Lógicamente la dilatada experiencia profesional de los miembros del grupo en este campo dificulta, a veces, identificar criterios generales. Siendo capaces de ir de lo particular a lo general, todos consideran que la incorporación de la EE en nuestro articulado normativo no ha sido suficiente para potenciar la presencia de esta disciplina en la metodología evaluativa.

Argumentan que del mismo modo que los ensayos dirigidos a medir eficacia y seguridad de fármacos han incorporado en su análisis variables reconocidas por todos los agentes implicados, con la EE no ha pasado lo mismo. Hemos avanzado en informes que permiten situar con mayor certeza el espacio más adecuado para cada fármaco. Pero no hemos sido capaces de obtener conclusiones homogéneas en el campo de la EE.

Se llega a plantear a lo largo de la discusión, la oportunidad o no de incluir

costes en los ensayos clínicos que permitan en origen identificar efectividades con carácter mucho más general. Esto nos lleva una vez más a la falta de aplicación práctica de esta disciplina.

Las regulaciones normativas, por tanto, no han surtido efecto y los motivos que se argumenta para aseverar dicha afirmación son entre otros, la ausencia en dichas normas de una mayor exigencia en su ejecución, la ausencia en cuanto a vinculación del contenido de las distintas EE con la adopción de decisiones, la ausencia de verdaderos expertos en la materia, al menos entre el colectivo técnico-político que participa en la toma de decisiones en el campo de financiación y precio y, en definitiva una toma de posicionamiento claro y nítido en cuanto a la ejecución de esta disciplina.

Pero si hay que mencionar una razón prioritaria y determinante, causante de la poca aplicabilidad de la EE en nuestro sistema de gestión sanitaria, los miembros del grupo se inclinan por lo que deciden denominar “falta de valentía política”. Es un concepto amplio que va desde una pobre apuesta por recursos humanos específicos, la insuficiencia de los mismos, la ausencia de recursos presupuestarios, la falta de una formación imprescindible entre los distintos agentes públicos implicados en este campo y el limitado impulso de armonización de un proceso que, a todas luces, permitiría al Sistema Nacional de Salud dotarle de una mayor eficiencia.

El salto de decreto en decreto, desde luego no ha ayudado en nada a la adopción de criterios estables, pero la parcela que más preocupa al grupo de expertos es la falta de influencia de esta disciplina en la toma de decisiones de precios y financiación de medicamentos. Recuerda algún asistente que la propia Ley de Garantías señala en su artículo 89.bis, al hablar sobre criterios fundamentales para la financiación pública de medicamentos, concretamente en el apartado i), que la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM), debe fijarse para su toma de decisiones, en la EE. Y esto no se cumple.

A juicio de los asistentes, esto no exige un mayor desarrollo reglamentario sino la voluntad clara y necesaria de presentar los análisis de evaluación de coste-efectividad solicitados, y de identificar por parte de la Administración la perspectiva a utilizar, las métricas a incorporar, las alternativas, recursos y costes a incorporar, e incluso el establecimiento de umbrales de aceptabilidad o de un horizonte temporal adecuado para cada análisis. Sin estas concreciones seguiremos ampliando el distanciamiento abismal que existe entre la norma y su aplicación práctica.

Parece, a juicio de los asistentes, que con la creación del Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del SNS, se habilitaría la posibilidad de que este órgano proporcionase asesoramiento, evaluación, consulta y sobre todo criterio general en el campo de la evaluación económica. Pero una vez más el modelo falla. O se involucran las Comunidades Autónomas incorporando estas estrategias entre los factores a impulsar en sus respectivas gestiones sanitarias, o no seremos capaces de avanzar en este campo.

Por tanto, contamos con informes ya prescritos por nuestros legisladores, pero pendientes de ser dispensados por nuestros gestores. La transparencia en la toma de decisiones en materia de precios de la CIPM pasa por la incorporación de estos informes de EE en los de posicionamiento terapéutico.

Determinación y formación son criterios claves, pero no solo existe esta barrera institucional, la duda sobre la transferibilidad de resultados se está convirtiendo, cada vez más, en otro de los principales obstáculos y barreras para la implantación de estos análisis coste-efectividad, coste-utilidad.

Podríamos concluir, por tanto, que grandes legisladores no han convivido con políticos determinantes y técnicas depuradas. Para profundizar en distintas opciones de progreso se plantea la siguiente pregunta **¿Se debe poner como objetivo estratégico utilizar la EE para la financiación pú-**

blica y fijación de precios? ¿Necesitamos instrumentos específicos y metodología para realizarla?

La respuesta afirmativa es unánime. Todos los miembros del grupo reconocen como prioritario el uso de la EE en estos dos campos. A juicio de los asistentes, implantar una buena EE permitiría el cumplimiento de muchos de los objetivos anteriormente discutidos, pero sobre todo consideran que se podrían alcanzar precios asequibles, establecer incentivos a la innovación y mejorar en el tan ansiado acceso universal a la innovación más eficiente.

Independientemente de ello, parece que la EE aportaría grandes beneficios en el campo de la financiación selectiva, y aquí nadie tiene la menor duda. La EE podría convertirse en un instrumento técnico “para decir que no” a muchas innovaciones que nada aportan a nuestra cartera de servicios públicos, y que a la larga acaban detrayendo recursos públicos que podrían ser utilizados de manera más eficiente.

Sobre la metodología a aplicar, los asistentes señalan la falta de formación en este campo entre los miembros de las distintas Comisiones de Farmacia Hospitalaria, a las que algunos miembros del grupo pertenecen. Esto merma la posibilidad de analizar en detalle la información que en ocasiones se presenta sobre EE de fármacos que han solicitado su entrada en el Centro. Los informes recogen incursiones en el campo del coste incremental y en el del cálculo del número de pacientes necesario a tratar (NNT), pero debería ser un apartado con mayor peso y desarrollo. Coinciden falta de experiencia y falta de formación.

Llegado este punto se sugiere que hay que romper algunos binomios, el de autorización-financiación en el campo de los medicamentos, el de beneficio clínico- esfuerzo presupuestario en el campo del impacto, y el de proveedor sanitario- beneficio individualizado, en el modelo de oferta. La EE puede ser un instrumento eficiente en el cambio de estas relaciones.

La entrada del presupuesto en el debate sugiere rápidamente a parte de los asistentes que esta es la variable principal en tiempos de racionalización de recursos como la que vivimos en la actualidad. Cuando el mandato es ahorrar, la eficiencia pasa a un segundo nivel de preocupación. La visión micro en el día a día de los gestores, y los planes cortoplacistas a la hora de presentar resultados exigen a nuestros responsables y a nosotros mismos adoptar decisiones en función del presupuesto anual dejando otras variables indirectas, que poco pueden aportar en este campo, totalmente aparcadas.

Una vez más el grupo viaja por el entorno de la esclerosis múltiple y se discute sobre la idoneidad de incorporar en los análisis de EE costes indirectos o no medicamentosos que en esta patología son relevantes, mencionándose entre ellos elementos de movilidad para los pacientes o el tradicional gasto de cuidadores que en pacientes con estado avanzado de la enfermedad exige una atención permanente las 24 horas del día.

Volviendo sobre los instrumentos metodológicos existentes y las variables de análisis, los miembros del grupo consideran que son suficientes, AVAC, AVAD, son fáciles de comparar y su significado fácil de intuir. Pero sí alertan sobre la utilización de indicadores no relevantes para el análisis comparativo y sobre la necesidad de incorporar suelos en los resultados clínicos. Cada vez más nos enfrentamos en los centros asistenciales a medicamentos cuyas mejoras serían calificadas por la ciudadanía como insuficientes para el esfuerzo presupuestario que debemos hacer para adoptarlas. De ahí la insistencia “la EE la debe promover el Ministerio”, y sin entrar en opiniones contradictorias, algunos consideran que la participación de los clínicos en ellas es lo único que permitirá avanzar a esta disciplina.

La incorporación en el debate del establecimiento claro de líneas de actuación en cada caso nos lleva de lleno a la siguiente pregunta relacionada con las guías de EE. **¿Existe una guía de EE consensuada? ¿Cuáles son los umbrales de eficiencia? ¿Se miden parámetros de eficacia incremental y coste efectividad? ¿Se usan para ayudar a fijar los precios?**

Ninguno de los asistentes conoce en detalle la publicación de ninguna guía de EE. Han oído hablar de la última guía y sobre las recomendaciones para la realización y presentación de EE de medicamentos en el ámbito de Cat-Salut, pero no han trabajado con ella ni la conocen en detalle. El grupo de discusión considera que la potencialidad de estos instrumentos todavía es muy reducida.

Desconocen si desde los servicios centrales se han difundido iniciativas de este tipo, pero a sus respectivos servicios no ha llegado nada. Reitera el grupo la necesidad que desde un staff central se impulsen este tipo de documentos que pueden servir para armonizar las actuaciones de los distintos centros.

Una vez más, en el campo de la esclerosis múltiple, se señala la verdadera dificultad de estos estudios. Las guías pueden identificar medicamentos como equivalentes en función de la indicación aprobada, pero luego en la práctica clínica, ciertas similitudes cuestan mucho asumirlas y la asignación de una misma línea terapéutica para distintas alternativas no conlleva la similitud entre ellas. Esto es una dificultad a la hora de elegir el potencial comparador en los informes de EE. Y quizá por ello, salvo alguna de minimización de costes, hay muy pocas publicaciones en el campo de la esclerosis múltiple.

De hecho, aunque sea a otro nivel, en los acuerdos marcos de adquisición de medicamentos de algunas CCAA, los concursos públicos identifican en una misma línea, fármacos que a priori pueden considerarse alternativas terapéuticas y que a la larga tienen resultados clínicos significativamente diferentes. Los criterios de equivalencia suelen ser criterios economicistas, no criterios clínicos, apunta algún miembro del grupo de trabajo.

Del mismo modo consideran imprescindible el establecimiento de umbrales flexibles, quizá por patologías, pero umbrales que permitan filtrar las posibles autorizaciones de financiación pública. Umbrales reiteran, que deben ser establecidos a nivel central.

Al manejarse la cifra teórica de 30.000 euros por AVAC, la discusión se abre y algunos consideran la posibilidad de adaptar esta cifra al entorno sanitario de las distintas Comunidades Autónomas. En el retorno a los umbrales de eficiencia también se señala la necesidad de habilitar excepciones en el campo de enfermedades muy incapacitantes o en los procesos clínicos al final de la vida.

En este sentido se señala la preocupación de hasta dónde llegar. Y con ello damos entrada a una pregunta que está en la mente de todos y sobre la que ya han surgido algunos comentarios previos. **¿No debería tenerse en cuenta además de la EE, el impacto presupuestario?**

Identificar el impacto presupuestario como criterio selectivo, es una petición general del grupo. La EE no puede viajar sin ir de la mano de la limitación de recursos existentes. Quizá deba orientarse sobre su perspectiva, su cuantía y su posible limitación, pero todos tienen claro que el impacto es una información a tener en cuenta de manera clara, no orientativa.

Para calcular el impacto económico presupuestario de cualquier tratamiento partiremos de estimación cuantitativa y de alteraciones previstas como consecuencia de atender con la nueva estrategia al grupo de pacientes concretos hacia el que va dirigido el nuevo fármaco. Para dicho cálculo deben tenerse en cuenta, citan los miembros del grupo, no solo los costes directos de los tratamientos disponibles sino también los costes evitables como consecuencia de las diferentes estrategias terapéuticas a seguir. Aquí es donde pueden complementarse EE e impacto presupuestario.

Cabe destacar que en el caso de la esclerosis múltiple, ya hemos comentado que hablar de tratamientos alternativos no es tarea fácil, pero no solo por los tratamientos en sí, sino también por las dosificaciones y pautas posológicas que en ocasiones dependen del proceso de cada paciente. Es difícil por tanto cuantificar la distribución de pacientes dentro de la patología, su coste para el SNS, y por tanto el efecto de la entrada en el sistema de nuevas

estrategias. Pero, independientemente de su dificultad, se recomienda que el establecimiento de la población diana, el periodo medio de tratamiento y el coste real para cada tratamiento alternativo lo obtengamos en base en datos reales de uso. Esta información puede obtenerse a través de los registros de pacientes.

También se menciona la problemática en el cálculo del impacto como consecuencia del posible consumo excesivo derivado de un uso inadecuado del fármaco, situación que apuntan algunos por su difícil evaluación.

La EE debe por tanto ser capaz de ofrecer información eficiente para el cálculo de impactos. Pero debemos ser conscientes que en ocasiones el impacto económico se presta a interpretaciones y que su sensibilidad es muy elevada en función de los datos de incidencia y prevalencia de cada patología.

Surge en la conversación la problemática de prácticas heterogéneas de dispensación de fármacos en farmacias hospitalarias como consecuencia de la necesidad de hacer ajustes presupuestarios al final de cada ejercicio.

El impacto presupuestario es por tanto una decisión más local, puede generar incertidumbres en función del tiempo de recorrido que se opte incluir y nunca incorpora los efectos de la retirada de medicación, por eso se recomienda que su seguimiento sea constante, a través de medios tecnológicos y que sus resultados condicionen la situación a la que se debe seguir ofertándose el producto o tecnología al SNS.

Por tanto, identificar no solo el patrón de tratamiento actual, sino también las tendencias futuras, las cuotas de mercado en función del consumo real, y de la información publicada, se consolidan como las variables básicas de este análisis. Pero lo más importante que resalta el grupo es que el impacto no debe ser una foto fija, sino más bien una visión dinámica de lo que sucede desde un punto de vista de utilización de recursos.

Se estima que el plazo de observación debe al menos alcanzar los tres años de seguimiento, y se señala que el cambio sustancial en las cuotas de mercado previstas y en el grado de desplazamiento debe modificar las condiciones de financiación.

La ley de garantía establece, en su artículo 89 bis, lo que denomina criterios fundamentales para la financiación pública de medicamentos, citando expresamente i) el análisis coste-efectividad y del impacto presupuestario; ii) el componente de innovación para avances terapéuticos indiscutibles si para iguales resultados de salud se contribuye al producto interior bruto (PIB) y la consideración de posibles mecanismos de retorno.

La incorporación de descuentos lineales, revisiones de precio, y demás herramientas de gestión para la sostenibilidad son instrumentos que todos aprueban y conocen en sus respectivos departamentos, pero al preguntar sobre el posible trato diferenciador en función de la mayor o menor participación del ofertante en el PIB, la decisión cambia.

Nadie entiende que distintas estrategias que puedan modificar o mejorar el curso de una patología, su pronóstico o incluso su resultado, de la misma manera deban tener mejores niveles de acceso o condiciones de financiación por el mero hecho de contribuir en mayor medida a la generación de PIB.

Los asistentes consideran que no se debe avanzar en la correlación entre innovación y contribución al PIB. Son conceptos que en nada ayudan a la sostenibilidad del sistema y que su aplicación práctica en nuestra realidad cotidiana es nula.

La investigación y el desarrollo suponen inversión, y la existencia de planes de fomento para esta inversión ya suponen un hecho diferenciador al poderse acceder a ellos en función de la participación de las instituciones en el tejido industrial, pero este criterio no debe aplicarse al ámbito sanitario.

Recordemos que ya el Plan Profarma permite minorar las posibles aportaciones que tiene que realizar el sector farmacéutico, en función de la disposición adicional sexta de la citada Ley 29/2006, de 26 de junio.

Al principio de la sesión, ya apuntaban algunos que lo verdaderamente trascendente es intentar resolver las principales cuestiones estratégicas que en el campo de la EE siguen sin encontrar respuesta unánime. **¿Quién hace la EE y quién debería hacerla? Si lo hace la empresa farmacéutica, ¿debería ser contrastada? ¿Por quién? ¿Realmente se le da la importancia que se merece la EE en la práctica real?** En definitiva, las tradicionales quién, para qué, cómo y cuándo.

A fecha de hoy nuestra experiencia sigue siendo escasa en cuando a modelos de EE presentados por los laboratorios. La EE necesita de una estructura normalizada para su elaboración y a pasar de que la mayor parte de los informes que se reciben vienen directa o indirectamente elaborados por la propia industria, las Comisiones de Farmacia hospitalarias trabajan desde hace bastante tiempo con informes de contenido económico que son elaborados por los miembros de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, principalmente a través de la plataforma Génesis.

Pero esta realidad no es la más apropiada para nuestro sistema, según comentan en la sesión. Los informes de EE deben ser elaborados por la Administración Central, por el propio Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, quizá por el de Economía. Algún componente del grupo apunta la posibilidad de una edición local pero no es la opinión de la mayoría. El Organismo Central debe estar compuesto por expertos en la materia, evitando la segmentación en agencias territoriales que cubran el espacio de cada Comunidad Autónoma. Parece que la reglamentación actual, con la incorporación en el artículo 90 bis de la ley de garantía del Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del SNS, es un idea compartida por la mayor parte de los miembros del grupo como óptima. Lástima que no hayamos sido capaces de impulsarlo.

Al indicarse la dificultad de contar con un número importante de personal cualificado para poder afrontar un reto de esta envergadura, se apunta como solución que el organismo actúe como la Agencia Europea, con una plantilla fija gestora, pero con una red amplia de expertos que avalan los informes y que actúan puntualmente en función de su formación y grado de conocimiento sobre la patología a evaluar. Este organismo central debería convertirse a su vez en el validador de los informes presentados por la industria farmacéutica o por empresas especializadas del sector.

Sólo aquellas tecnologías de alto impacto deberían ser sometidas a este proceso de evaluación. Pero no solo las nuevas incorporaciones, sino también aquellas innovaciones recientes, o no tan recientes, que por razones de incidencia, variabilidad, o incertidumbre de sus resultados, aconsejen abordar un proceso de EE para aclarar o dar respuesta a alguno de los vacíos indicados.

Se aconseja también que la revisión de los procedimientos que tienen establecidos otros países y agencias internacionales que realizan EE de medicamentos, puede ser un punto de partida interesante para diseñar una propuesta de trabajo coordinado en el contexto del SNS.

La creación de grupos de trabajo con cada uno de los medicamentos, estableciendo distinción entre los ámbitos de acceso a los mismos, puede agilizar un proceso que a todas luces algunos consideran podría ralentizar la toma de decisiones.

Cuando abordamos la importancia merecida o no de esta disciplina, o su interés en la práctica real, el grupo condiciona el valor de los estudios de EE al origen, autor y resultado del mismo. Aparece un marcado interés como agente regulador en aquello que te permite ser selectivo, pero todos reconocen que la importancia práctica de estos estudios es muy limitada. No son informes que estén presentes en nuestros flujos de trabajo.

La mejor manera de impulsar su aportación a la práctica real es la realización de pruebas piloto que vinculen los resultados de determinados análisis a las decisiones políticas. Sólo así se le podrá dar a la EE la importancia que se le ha reconocido en otros países de nuestro entorno.

En la mayor parte del proceso evaluativo, las comparaciones internacionales son relevantes, de ahí la insistencia de que se trabaje con países cuyos modelos sean transferibles a nuestro sistema sanitario y que de una manera u otra puedan aportar valor.

Si no estamos al nivel deseado, la siguiente pregunta viene de suyo. **¿Cómo se podría cambiar la visión estratégica del clínico/pagador para que interiorice la importancia de la EE en sus decisiones y por tanto la incorpore como otra herramienta en el proceso de toma de decisiones clínicas?**

Los decisores y clínicos manejan cada vez más los informes de posicionamiento terapéutico, los informes de génesis o los de los distintos comités regionales de evaluación. Lo más coherente es que estos informes sean capaces de incorporar de manera sencilla e intuitiva los principales resultados de la EE. Establecer un sistema de clasificación cualitativa puede simplificar la información e introducir a los clínicos poco a poco en este campo.

Dado que la fijación del precio y condiciones de financiación de los medicamentos se basa cada vez más en la evaluación de la utilidad terapéutica relativa, parece lógico que datos sobre ratios de coste efectividad que comparen tratamientos alternativos se impondrán también entre los criterios selectivos y en las actuaciones prácticas de los distintos agentes.

En este sentido, para cambiar esta visión, hace hincapié el grupo en la conveniencia de incorporar en el diseño de los ensayos, además de comparación clínica del nuevo fármaco frente a alguna de las alternativas terapéuticas existentes en el mercado, los costes de las mismas.

La elección del comparador clínico es un aspecto crítico, pero la de los costes de los mismos es una variable que no dificulta en nada el proceso de evaluación, es una evidencia sin problemas con el nivel de información que contamos hoy desde las administraciones sanitarias.

Dado que la efectividad de las distintas soluciones terapéuticas sólo se conocerá de manera cierta cuando se imponga la práctica clínica real y el nuevo producto lleve utilizándose algún tiempo, los miembros del grupo recomiendan que con la información en condiciones reales de uso, se realice una evaluación continuada y se recalculen en función de la misma, las condiciones más eficientes de financiación pública en cada momento. Con la EE continuada, la inevitable incertidumbre pueda transformarse en certidumbre y las decisiones parciales en objetivas.

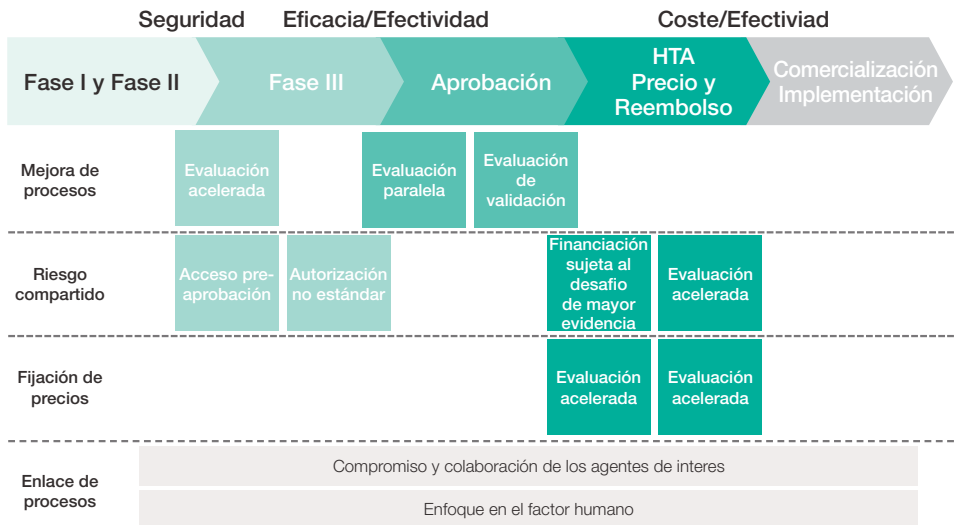
Los estudios de EE permitirán desarrollar políticas que incrementen la disponibilidad en nuestro mercado sanitario de medicamentos de mayor eficiencia y utilidad, y en un instrumento que permita el retorno de recursos al sistema público cuando no se alcanzan los resultados clínicos pronosticados.

La EE solo se incorporará en el proceso de toma de decisiones clínicas cuando el procedimiento de elaboración de estos informes sea ágil, justificado, transparente y sobre todo participativo. Todos los agentes involucrados deben tener voz en la elaboración de un documento que pretendemos sea decisivo.

EPÍLOGO

El libro que tiene en sus manos reconoce el esfuerzo y la preocupación de muchos profesionales sanitarios por conciliar innovación y perdurabilidad de algo que sentimos como muy nuestro y que no queremos que se deteriore por avatares de coyuntura económica y ciclo político: el Sistema Nacional de Salud. En nuestro caso es la suma, no siempre armónica, de 17 servicios regionales de salud.

En un reciente informe (1) que contiene una revisión internacional de las prácticas efectivas y emergentes que mejoren el acceso de los medicamentos y tecnologías médicas encargado a la Rand Corporation por el gobierno del Reino Unido, señala 11 actuaciones clave, clasificadas en 4 grupos, que aceleran el acceso a medicamentos y tecnologías médicas que sean, ciertamente, innovadoras.



Estos 4 grupos son:

- Mejora de procesos: intervenciones dirigidas a acortar las etapas del proceso de incorporación de la innovación, mediante la asignación de recursos adicionales, la focalización de los ya existentes, la puesta en común de los recursos entre países o la realización de procesos en paralelo.
- Riesgo compartido: intervenciones que diversifican los riesgos a través de los agentes de interés para facilitar el acceso a la innovación y la obtención de resultados.
- Fijación de precios: intervenciones dirigidas a superar la barrera de precios.
- Enlace de procesos: intervenciones que alinean las actuaciones y expectativas de los agentes implicados en la incorporación de la innovación para reducir la duplicación de esfuerzos.

Existen, además, tres factores facilitadores del acceso a las terapias y tecnologías médicas innovadoras:

- Crear una infraestructura de ensayos clínicos efectiva, que facilite el reclutamiento de pacientes y asegure la transparencia del proceso de desarrollo de la innovación.
- Disponer de sistemas de información robustos y efectivos que permitan recoger y analizar toda la información generada.
- Desarrollar una cultura clínica en los profesionales sanitarios que favorezca la difusión del conocimiento y la utilización en la práctica clínica de las innovaciones.

Empezamos este epílogo con los **Informes de Posicionamiento Terapéu-**

tico (IPT), asunto abordado por el primer Grupo de Discusión. Los procesos de aprobación varían en función del área terapéutica a la que va dirigida la innovación y también entre los países estudiados. En estas diferencias juegan un papel importante factores estructurales y culturales de los distintos sistemas sanitarios. La falta de datos comparables dificulta la identificación de países líderes en acelerar el acceso a la innovación.

El sistema sanitario británico ya cuenta con actuaciones equivalentes a las identificadas en el resto de países para acelerar la incorporación de la innovación. Esto pone de manifiesto la importante labor realizada por las agencias evaluadoras británicas como el NICE.

En España, la evaluación y autorización de nuevos medicamentos por cualquiera de los procedimientos en vigor abre, a su vez, un proceso de decisión sobre el precio y la financiación de los mismos y, finalmente, su eventual incorporación efectiva a la práctica asistencial. En el proceso intervienen, al menos, las estructuras de evaluación de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), de la Dirección General de Cartera Básica del Servicio Nacional de Salud y Farmacia (DGCBSF), y las de las Comunidades Autónomas (CCAA). Esta evaluación sucesiva, a veces de los mismos datos, tiene una utilidad final para cada uno de las piezas del sistema pues permite a cada uno de ellos tomar aquellas acciones que forman parte de su competencia. Sin embargo, la evaluación es a veces redundante, consume recursos y, aun en el caso en que el resultado no sea significativamente distinto, se corre el riesgo de que pequeñas diferencias sean interpretadas desde fuera de Sistema Nacional de Salud (SNS) como una desigualdad no justificada.

En 2013, se estableció un sistema que, mediante una evaluación en red basada en la evidencia científica, compartiera la realización de dichas evaluaciones permitiendo mantener el mismo beneficio final pero que evitara la redundancia, mantuviera la coherencia y compartiera los recursos de forma más eficiente. El objetivo del IPT es sentar las bases de colaboración para

la elaboración de los informes de posicionamiento terapéutico de los medicamentos de uso humano. Los informes deberán ofrecer, más allá de la autorización del medicamento, información relevante, basada en la evidencia científica de la posición que el nuevo medicamento ocupa en el mercado en comparación con otros medicamentos o medidas de salud ya existentes. Para ello, el documento describe el acuerdo de colaboración y el procedimiento de trabajo propuesto para estas evaluaciones, sentando a su vez las bases de revisión del mismo, todo ello en un entorno de colaboración leal entre las diferentes administraciones sanitarias, sin patrimonialización alguna por parte de ninguna de ellas.

En España se dispone desde 2014 de una herramienta de inicio que orienta la comparación del nuevo fármaco hacia la práctica médica. Los IPT se elaboran en paralelo a la autorización de comercialización de los nuevos fármacos y, como su nombre indica, informan sobre el lugar que los nuevos medicamentos pueden ocupar en terapéutica a la luz de los datos clínicos con los que se ha producido la autorización.

Un importante número de estas autorizaciones son condicionadas. Los titulares de estas autorizaciones se comprometen a aportar nuevos datos de modo que se pueda confirmar si los supuestos beneficios para los pacientes tratados se producen en la práctica clínica habitual o si, por el contrario, las inferencias y asunciones sobre las que se construyó la ficha técnica no se han visto confirmados por la realidad.

Es en este contexto, donde la realidad compuesta por un número relevante de innovaciones farmacéuticas con escaso impacto clínico a sus espaldas y altos precios - principal barrera de acceso a estos nuevos tratamientos - se dan la mano con una demanda que por el momento no puede ser satisfecha pese a la disponibilidad de nuevas opciones de tratamiento. Irrumpen en el escenario un conjunto de herramientas de información de extremada potencia, los análisis y evaluaciones de datos procedentes de la vida real, DVR, y cabe preguntarse qué pueden aportar a las actividades asistenciales

y, por extensión, qué papel han de jugar en los procesos de acceso de nuevos medicamentos al mercado.

A pesar de todo ello, en el caso de España, al retraso de 6 meses de media en la aprobación de un nuevo fármaco de la EMA con respecto a la FDA, hay que sumar los 349 días que de media transcurren hasta que se autoriza su comercialización, proceso enlentecido principalmente por la etapa de fijación de precio y condiciones de reembolso (2).

El Grupo abordó críticamente el por qué y el para qué de los Informes de Posicionamiento Terapéuticos, si son una barrera regulatoria mas o si por el contrario intentan diseminar un mayor conocimiento que proviene de la evidencia empírica de la innovación valorada y, que debiera estar dirigida muy especialmente al prescriptor que suele conocer lo que es el IPC y no tanto lo que es el IPT.

El Grupo concluyó que el IPT puede rebajar incertidumbre acerca de cómo se comporta el medicamento según la evidencia de la que se dispone. Será útil si se destaca, simplifica y resume los datos clave ya que los clínicos carecen de tiempo (y ganas) para leer largos y farragosos informes.

Los **Acuerdos de Riesgo Compartido (ARC)** son un tipo de contrato de “pago por resultados en salud”. Tienen como objetivo básico aumentar la salud de la población, facilitar el acceso a los fármacos necesarios y asegurar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud. Su finalidad es corresponder a las compañías farmacéuticas titulares de medicamentos novedosos, de alto impacto presupuestario y, mayoritariamente, de uso hospitalario, en compartir los costes que se derivan de la adquisición de este tipo de medicamentos cuyo ratio coste efectividad incremental no está, a juicio de la evidencia existente, suficientemente demostrado.

La tipología de Acuerdos de Riesgo Compartido observada en la realidad recorre un amplio gradiente que va desde las formas más simples de acuer-

dos de precio-volumen, hasta las formas más elaboradas de contratos sobre la efectividad con garantía de resultados.

Dentro de acuerdos basados en resultados financieros podemos diferenciar entre acuerdos precio-volumen, los acuerdos basados en utilización y los acuerdos de retorno. Los primeros basan su instrumentación en que el precio final del fármaco viene determinado por el número de unidades vendidas; cuando el número de unidades aumenta, el precio de éstas disminuye. Estos acuerdos son bastantes frecuentes en Europa. Los acuerdos basados en la utilización suponen un mayor refinamiento. El objetivo se desplaza del volumen de unidades dispensadas a la adecuación de éstas. Estos acuerdos establecen precios diferentes para diferentes grupos de población, en función de los beneficios esperados, de forma que se pague más en aquella utilización con una mejor expectativa de beneficio o eficacia.

Finalmente, los acuerdos de retorno exigen a los productores devolver parte de sus ingresos si sus ventas exceden un objetivo previamente determinado.

En nuestro medio se emplean los acuerdos basados en resultados de un modo individual o micro. Entre ellos destacamos los acuerdos individuales con garantía de devolución, los acuerdos basados en coste efectividad y los acuerdos basados en resultados clínicos. En los primeros, si el paciente no responde se suspende el tratamiento y la empresa devuelve el dinero. Tras evaluar la efectividad del tratamiento se pagan sólo los pacientes más rentables. Finalmente, en los acuerdos basados en resultados clínicos se fija de común acuerdo el objetivo y si no se consigue, el laboratorio reduce el precio con arreglo a los baremos preestablecidos.

Existen fundamentos jurídicos que permiten abordar estas estrategias. Por parte del Estado el artículo 149.1.16^a le atribuye competencia exclusiva en materia de legislación sobre productos farmacéuticos y por parte de las CCAA, en sus Estatutos suelen atribuírseles competencias de ejecución en esta materia. Las Comunidades Autónomas tienen competencias de

ejecución de la legislación sobre productos farmacéuticos y el precio industrial máximo legislado por el Estado permite acordar con las empresas precios inferiores al máximo cuando concurren determinadas circunstancias.

En este manuscrito se seleccionó este ítem por el uso profuso que se hace en nuestro medio de los Acuerdos Innovadores o de Riesgo Compartido, intentando diferenciar su uso con la finalidad de atemperar el gasto, de aquel dirigido a la mejora de los resultados clínicos de la innovación que el regulador ha apreciado como merecedora de autorización y reembolsable a cargo de fondos públicos.

El Grupo consideró que para medicamentos de alto coste ya financiados dirigidos a patologías crónicas en las que el número de pacientes aumenta cada año, los ARC, pueden jugar un rol clarificador de la variable eficacia y seguridad en práctica clínica real, ayudando, además, a entender el lenguaje clínico en un marco más holístico de resultados en salud.

El siguiente asunto tratado es la **adherencia**. Aquí hay mucha más literatura. En general los estudios relacionan mala adherencia al tratamiento con costes más altos, mayor número de hospitalizaciones y mayor uso de los servicios de urgencias.

La mayoría de los estudios publicados sobre el tema mostraron que altas tasas de adherencia a la medicación se asocian a menor número de hospitalizaciones. El ahorro que se produce en los grupos de pacientes por esta reducción de hospitalizaciones en algunos casos queda compensado por el incremento en gasto farmacéutico por lo que el impacto en los costes totales no es tan favorable como cabría esperar. Este efecto se observa en pacientes diabéticos, pacientes con esclerosis múltiple, VIH y asma, en este último caso los costes si se ven compensados en los pacientes con enfermedad más grave. Por otro lado, varios estudios que evidencian reducción de hospitalizaciones muestran también resultados favorables en cuanto a

costes totales. La reducción de costes es más significativa en los pacientes con altas tasas de adherencia en el caso de Insuficiencia cardiaca congestiva donde los ahorros en costes totales anuales por paciente llegan a ser de 8.881\$ (3).

Los costes en farmacia se incrementan para los pacientes adherentes y en algunos casos estos incrementos de gasto compensan los ahorros generados en el uso de otros servicios. Los ahorros generados sobre otros recursos son mayores, por lo que este aumento de gasto no influye de manera negativa en los resultados de costes totales.

Intervenciones encaminadas a mejorar la adherencia afectan de manera positiva tanto en el uso de los recursos sanitarios como en el coste de la enfermedad. Promover la adherencia a la medicación debe ser una prioridad tanto para clínicos como para gestores.

Se deberían clasificar las enfermedades en función de sus costes y diseñar intervenciones específicas para lograr una mejor adherencia, optimizar los recursos y mejorar los resultados en costes.

Deberían realizarse estudios que evaluaran las tendencias en costes y adherencia a largo plazo con la posibilidad de contemplar además de los costes directos, los indirectos muy especialmente, en problemas de salud crónicos. Faltan estudios a nivel nacional que evalúen los aspectos económicos de la adherencia.

El Grupo en este asunto de la adherencia al tratamiento, cronicidad y seguimiento terapéutico donde hay mucha literatura, concluyó que la adherencia es un tema crucial para la mejora de los resultados clínicos y de salud en muchas de las terapias dirigidas a pacientes crónicos.

El Grupo abogó por ahondar en la adherencia de los pacientes a la prescripción en términos de dosis, frecuencia de tomas, retirada y suspensión

antes de tiempo donde el tipo de paciente, la condición estudiada y el entorno de la cronicidad, pues serán determinantes esenciales de los resultados clínicos obtenidos.

El último tema que cubre el libro es la **Evaluación Económica (EE)**, entendida como el análisis comparativo de diferentes alternativas en términos de sus costes y consecuencias. Dicho análisis se realiza a través de metodologías concretas, no exentas de limitaciones, pero, al fin y al cabo, útiles en la toma de decisiones sobre la priorización de servicios a financiar y prestar. La Evaluación Económica es una herramienta imprescindible en la planificación y, especialmente en momentos de escasez crítica de recursos. Así, la reciente crisis económica, sumada al incremento progresivo de demanda de servicios en las sociedades desarrolladas, ha puesto en valor dicha herramienta, y es precisamente en el ámbito sanitario donde se hace patente el incremento de protagonismo de la EE en aspectos tan relevantes como la prestación farmacéutica y la aplicación de la alta tecnología en prevención (cribado) y tratamiento de patologías. Hay que tener en cuenta el rápido crecimiento que se ha producido en el conocimiento médico durante las últimas décadas, que ha incrementado de forma importante la disponibilidad de nuevas opciones terapéuticas y diagnósticas si bien algunas de ellas suponen costes innecesarios y resultados inciertos. De ahí el especial interés en que tanto planificadores como profesionales sanitarios adquieran una conciencia común sobre la necesidad de sistematizar el análisis y la toma de decisiones terapéuticas en aras a obtener los mejores resultados de salud en la población con los medios disponibles.

La consideración previa en los estudios de EE es que partimos de la necesidad de elegir entre alternativas. Para realizar tal elección es preciso compararlas, pero no sólo en sus resultados, sino en lo que cuestan en términos de recursos. Esto es importante, porque pueden existir alternativas muy similares en resultados pero con grandes diferencias en cuanto a los recursos necesarios para implementar cada una de ellas. La adecuada consideración y medición de los costes será por tanto uno de los ejes básicos para con-

seguir la información precisa para la toma de decisiones en el área de la gestión.

Uno de los grandes retos en EE es poder llevar a cabo estudios comparables y transferibles, dado que ello supondría un aprovechamiento mayor de los recursos destinados a la investigación en este área y permitiría que los países que tienen mayor limitación presupuestaria pudieran aprovechar las conclusiones y recomendaciones de política obtenidas a partir de trabajos llevados a cabo por otros.

El Grupo tildó a la EE como la asignatura todavía pendiente en nuestro país para informar a los decisores de un aspecto tan clave como es la demostración de mejora de la eficiencia de la innovación sometida a análisis.

El Grupo consideró que solo se incorporará en el proceso de toma de decisiones clínicas si la elaboración de estos informes de EE es ágil, justificada, transparente y participativa.

Esperemos que este texto dé pistas a quién tiene que escucharlas y consejos a quién tiene que aplicar las recomendaciones de cada uno de los asuntos tratados.

Referencias:

1. Wooding S, Cochrane G, Taylor J, Kamenetzky A, Sousa S, Parks S. Insights on earlier adoption of medical innovations. Accelerated Access Review. EUA: RAND Corporation 2015. Disponible en: <https://www.gov.uk/government/publications/improving-access-to-medical-technologies-an-international-review/>
2. Pinyol C, Valmaseda A, Gómez-Ulloa D, Solozabal M, Restovic G. Duración del proceso de financiación en España de los fármacos innovadores

aprobados por la Agencia Europea del Medicamento. 2008-2013. Rev Esp Salud Pública; 2015; 89: 189-200.

3. María del Pino Sanz Hernández. Eficiencia en: Adherencia terapéutica, E-health & m-health y Empoderamiento de pacientes. Una revisión no sistemática de la literatura. Tesina Máster de Administración y Dirección de Servicios Sanitarios, edición núm. 24. 2015

Madrid, 26 de octubre de 2015

Dr. Juan E. del Llano Señarís

Director

Fundación Gaspar Casal

FUNDACION



PARA LA INVESTIGACIÓN Y EL
DESARROLLO DE LA SALUD

www.fgcasal.org

TEVA

España

ISBN 978-84-608-3465-6



9 788460 834656