



Artículos seleccionados

- **Annemans L, Aymé S, Le Cam Y, Facey K, Gunther P, Nicod E, et al. Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL). Orphanet J Rare Dis. 2017; 12: 50**

Dificultades para asignar precio y reembolso para medicamentos huérfanos: propuesta de criterios para una mejor evaluación del beneficio terapéutico y otras recomendaciones

Jaime Espín

Profesor de la Escuela Andaluza de Salud Pública

Los medicamentos huérfanos son, posiblemente, los más influenciados por la doble regulación existente en Europa: por un lado, la regulación europea que otorga autorización de comercialización a través de la Agencia Europea del Medicamento y, por otro, las regulaciones nacionales que otorgan precio y reembolso a esos medicamentos. Si bien la primera permite una simplificación de los procesos de aprobación de medicamentos en el contexto europeo, la segunda crea gran diversidad de acceso en los países miembros de la Unión Europea (UE), tal como ya han destacado algunos estudios.

Las complicaciones para la asignación de precio y reembolso vienen determinadas, en parte, por la complejidad de realizar ensayos clínicos con un número reducido de pacientes (p. ej., dificultades para el reclutamiento), el desconocimiento de la historia natural de la enfermedad, etc. Además, si las agencias de evaluación de tecnologías sanitarias realizan estudios de coste-efectividad, éstos normalmente obtienen una *ratio* por encima del umbral previamente determinado (es decir, establecen que el medicamento no es eficiente). Adicionalmente, aunque el tamaño de la población suele ser pequeño, el impacto presupuestario suele ser importante, debido al alto precio de estos nuevos medicamentos, para los que algunos países han creado procedimientos específicos.

El artículo comentado presenta un conjunto de principios para regular el sistema de precios y reembolso de medicamentos huérfanos realizados por 15 expertos en el marco del ORPH-VAL.

Los 9 principios abarcan diversas áreas, como son: los criterios para la decisión (2 principios), el proceso (4), la sostenibilidad de la financiación (2) y la coordinación europea (1).

Una de las recomendaciones viene enmarcada en la línea de tomar una perspectiva más amplia a la hora de realizar la evaluación terapéutica del medicamento, no sólo teniendo en cuenta los costes directos, sino también los costes sociales, debido al impacto que acarrear muchas de estas enfermedades en las familias. En esta misma línea, la realización de análisis de decisión multicriterio (ADMC), con una visión más amplia de la evaluación, al contener elementos como la equidad, la rareza de la enfermedad, etc., ha sido otra de las propuestas del grupo de expertos para la fijación de precios y reembolso de medicamentos huérfanos.

En cuanto a los principios para la toma de decisión, destaca la necesidad de que las decisiones para establecer el precio y el reembolso de los medicamentos a nivel nacional tengan en cuenta los procesos de evaluación de tecnologías sanitarias que se hayan realizado en el contexto europeo, basados no sólo en la opinión de los profesionales sanitarios que tienen experiencia en enfermedades raras, sino también en la de los pacientes. Adicionalmente, y como principio clave, cabe destacar la necesidad de que las decisiones se vayan adaptado en el tiempo a tenor de la información disponible en cada momento (p. ej., bajo la idea de reembolso condicionado). Por último, los autores señalan la necesidad de que todos los medicamentos tienen que ser considerados en todos los países en las decisiones de precio y reembolso, con independen-

cia de que las decisiones finales de financiación sean distintas según el entorno y los subgrupos de población para los que se decida financiarlos.

La sostenibilidad de los sistemas sanitarios también forma parte de las recomendaciones de este grupo de expertos, cuyas recomendaciones se centran en dos principios: a) la financiación debe ser coordinada a nivel nacional para evitar disparidades de acceso en las distintas regiones (como se ha visto, por ejemplo, en algunos países como España), y b) se debe trabajar en mecanismos de financiación basados en la evidencia que permitan garantizar la sostenibilidad a largo plazo, a través de instrumentos como el *horizon scanning*, que permite predecir futuros gastos (y así dejan de ser impredecibles) o diálogos tempranos (*early stage dialogue*) entre la industria y los financiadores públicos.

Por último, se resalta la idea de una mayor coordinación entre las distintas instituciones europeas en las evaluaciones de valor terapéutico del medicamento previo a la fijación del precio y el reembolso de éste. Esta coordinación disminuirá la duplicidad de esfuerzos y reevaluaciones de medicamentos ya previamente evaluados.

Puntos clave

- **Los principios y criterios tradicionales de regulación de precios y reembolso de medicamentos no son aplicables a la mayoría de los medicamentos huérfanos; por tanto, es necesario crear nuevos criterios o adaptar los existentes a las características de este tipo de medicamentos.**
- **La utilización de la perspectiva social en la evaluación de tecnologías sanitarias o la realización de ADMC son técnicas de apoyo a la toma de decisiones, ya que plantean una visión más amplia al pagador y pueden ayudar a la evaluación para la financiación y el reembolso de medicamentos huérfanos.**
- **La coordinación entre las distintas agencias que realizan la evaluación del valor terapéutico o la realización de *horizon scanning* para prever el gasto en medicamentos huérfanos son algunos de los principios que los expertos recomiendan para un acceso equitativo de estos fármacos en los países miembros de la UE.**