



Artículos seleccionados

- Schlander M, Garattini S, Kolominsky-Rabas P, Nord E, Persson U, Postma M, et al. **Determining the value of medical technologies to treat ultra-rare disorders: a consensus statement.** *J Market Access Health Policy.* 2016; 4: 33039 [DOI: 10.3402/jmahp.v4.33039]

¿Medir la eficiencia de tecnologías sanitarias para enfermedades raras o ultrarraras sin evaluación económica?

Marta Trapero-Bertran

Profesora titular e Investigadora de la Universitat Internacional de Catalunya (UIC)

El objetivo principal de este estudio de Schlander et al. era evaluar críticamente los problemas planteados por la evaluación de intervenciones de trastornos ultrarraros, es decir, aquellos con una prevalencia menor de 1/50.000 personas, y lograr un consenso sobre los desafíos específicos y las diferentes vías para avanzar en este tipo de enfermedades.

Para realizar este trabajo se reunió a un grupo internacional de expertos clínicos y economistas de la salud en el contexto del Congreso Europeo Anual ISPOR. Se obtuvieron los siguientes resultados: a) las complejidades de la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos para estas enfermedades pueden requerir políticas de aprobación y reembolso condicionadas; b) debería demostrarse la existencia de un beneficio clínico mínimo significativo dentro de un marco de tiempo razonable, y c) la lógica actual del análisis coste-efectividad (utilizando umbrales de referencia para el coste incremental máximo permitido por año de vida ajustado por calidad incremental) se consideró deficiente para evaluar este tipo de enfermedades, ya que no captura las preferencias sociales bien establecidas según la asignación de recursos sanitarios. La conclusión del artículo es que hay una necesidad prioritaria de desarrollar métodos alternativos a la evaluación económica para evaluar la eficiencia de las intervenciones para enfermedades raras y ultrarraras.

Los autores argumentan que, frecuentemente, los medicamentos desarrollados para tratar las enfermedades raras no cumplen los criterios de eficiencia, es decir, están por debajo de los umbrales de coste-utilidad establecidos por algunos países debido a los grandes costes de investigación y desarrollo de los mismos. Incluso afirman que este tipo de análisis «no funciona» para los medicamentos de enfermedades ultrarraras.

Las razones de coste-utilidad de estos medicamentos suelen presentar valores muy por encima de los umbrales comúnmente utilizados para definir intervenciones eficientes, aunque eso no invalida el método. El debate no es sobre si el método es adecuado o no, sino sobre los valores que damos a las variables utilizadas en una evaluación económica de enfermedades raras. Existen ejemplos de evaluaciones económicas de medicamentos para tratar enfermedades raras que demuestran que la metodología de evaluación económica se puede aplicar a este tipo de patologías. Coyle et al. (2014) y Schuller et al. (2015) realizaron una revisión sistemática del uso de esta herramienta metodológica para este tipo de medicamentos, y concluyeron que el resultado en salud, medido en unidades clínicas o en calidad de vida, es difícil de medir en este tipo de enfermedades y, aunque en muchas ocasiones el resultado de la evaluación económica nos lleva a afirmar que no es un medicamento coste-efectivo o eficiente, este tipo de medicamentos son frecuentemente reembolsados por el sistema público; es decir, deben y tienen que existir otros criterios diferentes a la eficiencia para poder tomar las decisiones de reembolso de este tipo de medicamentos.

Según los autores, existe una necesidad de establecer evidencia sobre la efectividad clínica, aunque consideran que la evaluación económica no es una metodología válida para valorar los tratamientos o tecnologías sanitarias en este tipo de enfermedades, aspecto este último cuestionable. Por otro lado, tampoco está clara la afirmación que hacen los autores sobre que las evaluaciones económicas se concentran más en los costes.

No se sabe en qué evidencia se basan para hacer esta afirmación, ya que la evaluación económica compara de la misma manera los costes y los resultados en salud.

En cualquier caso, hay que tener en cuenta que si valoramos de forma diferente los tratamientos para estas enfermedades por su elevado precio y coste, con las innovaciones actualmente disponibles en oncología o hematología, por ejemplo, deberíamos empezar a hacer excepciones también con éstas, ya que también se caracterizan por un elevado precio y coste. No podemos invalidar un método que nos aporta información y, tal como ha quedado demostrado con varios ejemplos publicados, puede evaluar éstas y todas las tecnologías sanitarias. Sin embargo, la evaluación económica no debe ser el único criterio para la financiación de éstos y otros fármacos, sino que cabría incorporar otros que también influyen en tal decisión.

El análisis multicriterio podría ser una solución, teniendo en cuenta que se deben fijar precios relativamente altos para amortizar las fuertes inversiones que exige el desarrollo de este tipo de medicamentos y la baja incidencia de las patologías a las que van dirigidos. No olvidemos que, aunque en España no tenemos un criterio explícito y transparente para la toma de decisiones sanitarias, la información no se basa en un único criterio, sino en varios; es decir, ya se hace análisis multicriterio de manera implícita en la toma de decisiones.

Puntos clave

- **Existe la necesidad de generar más y mejor evidencia de efectividad de los diferentes tratamientos farmacológicos para las enfermedades raras y ultrarraras.**
- **La evaluación económica es un análisis válido para medir la eficiencia de una tecnología sanitaria, aunque ésta tenga un precio y un coste elevados.**
- **El análisis multicriterio es una metodología que implícitamente ya se aplica en la toma de decisiones sanitarias.**

Bibliografía

- Angelis A, Kanavos P, López-Bastida J, Linertová R, Nicod E. Social and economic costs and health-related quality of life in non-institutionalised patients with cystic fibrosis in the United Kingdom. *BMC Health Serv Res.* 2015; 15: 428 [DOI 10.1186/s12913-015-1061-3].
- Coyle D, Cheung MC, Evans GA. Opportunity cost of funding drugs for rare diseases: the cost-effectiveness of eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Medical Decision Making.* 2014; 34(8): 1.016-1.029.
- López-Bastida J, Oliva-Moreno J, Linertova R, Serrano-Aguilar P. Social/economic costs and health-related quality of life in patients with rare diseases in Europe. *Eur J Health Econ.* 2016; 17 Supl 1: 1-5 [DOI 10.1007/s10198-016-0780-7].
- Schuller Y, Hollak CEM, Biegstraaten M. The quality of economic evaluations of ultraorphan drugs in Europe: a systematic review. *J Rare Dis.* 2015; 10: 92 [DOI 10.1186/s13023-015-0305-y].