

ANÁLISIS DE DECISIÓN MULTICRITERIO MULTIDECISOR EN ENFERMEDADES RARAS: Criterios de financiación de medicamentos huérfanos en España (Estudio FinMHU-MCDA)

de Andrés-Nogales F¹, Calleja Hernández MA², Delgado Sánchez O³, Gorgas Torner MQ⁴, Domínguez-Hernández R¹, Casado Gómez MA¹, Arce Delgado R⁵; Grupo de Trabajo FinMHU-MCDA*

¹ Pharmacoeconomics & Outcomes Research Iberia (PORIB), Madrid; ² Servicio de Farmacia, Hospital Universitario Virgen Macarena, Sevilla; ³ Servicio de Farmacia, Hospital Universitario Son Espases, Palma de Mallorca; ⁴ Servicio de Farmacia, Hospital Universitari Vall d'Hebron, Barcelona; ⁵ Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), Barcelona.

OBJETIVO

Establecer los criterios más relevantes para la financiación de medicamentos huérfanos en España, desde una perspectiva multidecisor.

MÉTODOS

- Se desarrolló un análisis de decisión multicriterio en 3 fases (A, B, C), según recomendaciones internacionales^{1,2}.
- El estudio incluyó 28 participantes con experiencia en enfermedades raras: 6 clínicos, 5 farmacéuticos hospitalarios, 7 economistas de la salud, 4 representantes de asociaciones de pacientes y 6 miembros de administraciones sanitarias.
- Inicialmente (Fase A), un panel de 8 expertos propuso, seleccionó y definió los criterios de financiación potencialmente relevantes, identificados mediante revisión bibliográfica.
- Se desarrolló un experimento de elecciones discretas (EED) (Fase B) para determinar los criterios relevantes y su importancia relativa según las preferencias de los participantes seleccionando entre pares de escenarios hipotéticos de financiación (cuestionario online). Se ajustó un modelo logit multinomial para analizar las respuestas.
- El panel de expertos revisó los resultados y estableció las conclusiones del estudio mediante un proceso deliberativo (Fase C).

RESULTADOS

- Se definió un total de 13 criterios clasificados en 4 categorías: población, enfermedad, tratamiento y evaluación económica (Tabla 1).
- A partir de ellos, se generaron 36 pares de escenarios hipotéticos de financiación para obtener el cuestionario del EED.
- Para el conjunto de agentes decisores participantes (n=28), 9 de los 13 criterios considerados resultaron relevantes durante la toma de decisiones (Tabla 1).
- Para el grupo de Farmacia Hospitalaria (n=5), 6 criterios fueron relevantes en la toma de decisiones, comprendiendo casi el 83% de la importancia relativa.
- La calidad de vida relacionada con la salud, eficacia, existencia de alternativas terapéuticas, gravedad de la enfermedad, costes evitados y edad de la población diana fueron los criterios relevantes en común para ambos grupos.

Tabla 1. Resultados del estudio FinMHU-MCDA

	N=28	N=6 (FH)
1 Calidad de Vida Relacionada con la Salud	23,53%	22,35%
2 Eficacia	14,64%	17,10%
3 Existencia de alternativas terapéuticas	13,51%	16,43%
4 Gravedad de la enfermedad	12,62%	8,89%
5 Costes evitados	11,21%	9,27%
6 Edad de la población diana	7,75%	8,22%
7 Seguridad (gravedad de AA)	4,72%	1,50%
8 Calidad de la evidencia	3,82%	4,50%
9 Población diana	3,12%	3,61%
10 Carga económica de la enfermedad	2,50%	2,43%
11 Coste del tratamiento	1,73%	0,79%
12 Coste-efectividad	0,83%	2,04%
13 Seguridad (frecuencia de AA)	0,03%	2,25%

Celdas resaltadas p<0,05

CONCLUSIONES

La financiación de un medicamento huérfano vendrá condicionada principalmente por su efecto sobre la calidad de vida relacionada con la salud, el alcance de su beneficio terapéutico y la existencia de alternativas terapéuticas, siendo además relevante la gravedad de la enfermedad rara para la que está indicado y su capacidad para evitar los costes asociados a esta patología.

REFERENCIAS

1. Thokala P, et al. Value Health 2016;19(1):1-13; 2. Marsh K, et al. Value Health 2016;19(2):125-37.

Grupo FinMHU-MCDA: Alba Ancochea (FEDER, Madrid); Fernando Antoñanzas (U. La Rioja, Logroño); Santiago Bonanad (H. La Fe, Valencia); Encarnación Cruz (BIOSIM, Madrid); Teresa Caballero (H. La Paz, IdiPaz, CIBERER U754, Madrid); Juan Manuel Cabasés (U. Pública Navarra, Pamplona); Miguel Ángel Calleja (H. Virgen Macarena, Sevilla); Jordi Cruz (MPS España, Barcelona); Olga Delgado (H. Son Espases, P. de Mallorca); Jaime Espín (EASP, IBS y CIBERESP, Granada); Manuel García-Goñi (U. Complutense, Madrid); Ricardo Gil (H. La Fe, Valencia); Pedro Gómez Pajuelo (Econ. Salud, Madrid); María Queralto Gorgas Torner (H. Vall d'Hebron, Barcelona); Antonio López Andrés (S. Navarro Salud-Osasunbidea, Pamplona); Mónica López Rodríguez (H. Ramón y Cajal, U. Alcalá, IRYCIS, Madrid); Adela Marín Ballvé (H. Lozano Blesa, Zaragoza); María Isabel Martín Herranz (INIBIC, CHUAC, UDC, A Coruña); Jorge Mestre-Ferrandiz (Consultor independiente; UC3M, Madrid); Alberto Morell Baladrón (H. La Princesa; Madrid); Carlos Mur (Consejería Sanidad, Madrid); Francesc Palau (H Sant Joan de Déu, CIBERER, Barcelona); Matilde P. Machado (UC3M, Madrid); Fernando Ignacio Sánchez Martínez (U. Murcia, Murcia); Alba R. Santos (Asociación NUPA, Madrid); Mónica Suárez (Federación ASEM, Barcelona); José Luis Trillo (Dep. Salud Clínico Malvarrosa, Valencia).