

Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance

José Antonio Sacristán^a / Tatiana Dilla^a / José Luis Pinto^b / Fernando Antoñanzas^c

^aDepartamento de Investigación Clínica, Lilly S.A., Madrid, España; ^bDepartamento de Economía, Universidad Pablo de Olavide, Sevilla, España. ^cDepartamento de Economía, Universidad de la Rioja, España.

(Economic drug evaluation: experiences and pathways to progress)

La evaluación económica de medicamentos (EEM) ha experimentado un fuerte crecimiento en los últimos años, debido a la progresiva aplicación de la eficiencia como criterio de priorización en un entorno en el que los recursos disponibles no son suficientes para satisfacer una demanda cada vez mayor. Los primeros países en utilizar las EEM en sus decisiones de política farmacéutica fueron Australia¹ y Canadá². Desde entonces, alrededor de una decena de países, la mayoría de ellos en Europa, han requerido formalmente EEM a las compañías farmacéuticas como paso previo a la fijación de precio o a la financiación pública de los nuevos medicamentos^{3,4}. Es previsible que en un corto período España siga este ejemplo, por lo que es conveniente analizar cuáles son los principales retos que plantea el uso del criterio de eficiencia en las decisiones sobre política farmacéutica. El presente artículo pretende reflexionar sobre esos aspectos, señalando posibles dificultades y proponiendo algunas vías de avance para que la EEM pueda demostrar todo su potencial.

Eficiencia y equidad

Quizás el mayor peligro que plantea la adopción del criterio de eficiencia es la tentación de convertirlo en el único criterio de decisión. El riesgo es aún mayor si se tiene en cuenta que los resultados del análisis coste-efectividad (CE) se expresan de forma numérica y, por ello, no resulta difícil aplicarlo de forma mecánica, re-

comendando únicamente el reembolso o la adopción de intervenciones cuyo CE esté por debajo de un límite de eficiencia establecido a priori (p. ej., en el Reino Unido, dicho límite se ha situado en 30.000 libras por año de vida ajustado por calidad [AVAC]⁵). Aunque la utilización de criterios sencillos y objetivos siempre resulta atractiva, en la práctica hay otros criterios, aparte del de eficiencia, que los decisores no pueden obviar. Si nos fijamos en las experiencias de otros países, veremos que ninguno de ellos considera la eficiencia como único criterio de decisión. Volviendo al caso del Reino Unido, los responsables del National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) han declarado explícitamente que no desean tomar sus decisiones exclusivamente en función de criterios de CE ya que, aparte de la incertidumbre en los resultados de las propias EEM, que hace necesarios los juicios de valor sobre los aspectos puramente científicos, también son imprescindibles los juicios de valor sociales para, entre otras cosas, equilibrar las tensiones entre eficiencia y equidad⁶. La creación de un *Citizen Council*, con representación de los pacientes, es buen ejemplo de la influencia de los «factores sociales» en sus decisiones⁷. En la práctica, en un buen número de ocasiones, el NICE ha establecido sus recomendaciones sin información sobre el CE de las intervenciones, y otras veces sus recomendaciones han sido opuestas a lo que el resultado numérico de las evaluaciones hubiera sugerido, es decir, hay intervenciones con un CE superior a 30.000 libras/AVAC que han sido recomendadas, e intervenciones con un CE inferior a 30.000 libras/AVAC que no lo han sido^{8,9}.

En Australia, el Pharmaceutical Benefits Advisory Committee reconoce que el criterio de CE es sólo uno de los factores que se consideran en sus decisiones, y que hay otros factores tan importantes o más, como son la gravedad de la enfermedad, la disponibilidad de alternativas, las implicaciones de incluir la nueva tecnología en el listado o los aspectos relacionados con las inversiones en investigación de la compañía¹⁰. En la pro-

Correspondencia: José Antonio Sacristán.
Departamento de Investigación Clínica, Lilly.
Avda. de la Industria, 30. 28108 Alcobendas. Madrid. España.
Correo electrónico: sacristan-jose@lilly.com

Recibido: 17 de julio de 2007.

Aceptado: 18 de diciembre de 2007.

vincia de Ontario, en Canadá, la efectividad de los nuevos tratamientos sigue siendo el factor decisivo en las decisiones del Drug Quality Therapeutics Committee perteneciente al Ontario Ministry of Health and Long Term Care¹¹. Suecia y los Países Bajos son otros países en los que también se tienen en cuenta aspectos como la equidad, las necesidades de colectivos específicos de pacientes o la necesidad de apoyar la innovación.

En sistemas sanitarios como el español, al igual que ocurre en el Reino Unido, resulta indispensable considerar elementos como la equidad¹². Por tanto, parece razonable que si la EEM llegara a implantarse en España, la eficiencia no debería ser el único criterio que se utilizase en las decisiones de financiación, precio y selección de medicamentos. De la misma forma, habría que buscar la vía para empezar a tener en cuenta las opiniones de los profesionales sanitarios y, fundamentalmente, las de los pacientes en los procesos de priorización de la evaluación, así como en los propios procesos de evaluación¹³.

Gasto sanitario

Se ha sugerido que el objetivo perseguido inicialmente con las EEM era contener el gasto farmacéutico¹⁴. Sin embargo, el tiempo ha demostrado que eficiencia no siempre es sinónimo de ahorro y que gastar de manera eficiente no significa gastar menos¹¹. La mayoría de los medicamentos eficientes no ahorran dinero (no olvidemos que una opción cuyo CE incremental es de 20.000 euros/AVAC respecto a otra significa que es necesario pagar 20.000 euros extra por cada AVAC adicional conseguido respecto a la opción comparada). Según una revisión de las EEM realizadas en todo el mundo durante 25 años, tan sólo un 19% de las intervenciones sanitarias producían ahorros netos¹⁵. Por ello, tenemos que empezar a concienciarnos de que los nuevos fármacos y dispositivos médicos pueden contribuir a que los pacientes se sientan mejor o vivan más tiempo, pero raramente ahorrarán dinero^{16,17}.

Rigidez presupuestaria

La existencia de estructuras presupuestarias segmentadas para cada uno de los componentes del gasto sanitario es una de las principales barreras identificadas por la mayoría de los expertos para adoptar el criterio de eficiencia. Este problema, que puede considerarse un mal endémico en Europa¹⁸, favorece la aparición de mentalidades de compartimento estanco o de «silo» que, en la práctica, suponen que no se tenga en cuenta el ahorro que puede generar una determinada intervención, si dicho ahorro no impacta en el pro-

pio presupuesto. Es necesario matizar que la raíz del problema no es la existencia de un presupuesto farmacéutico, ya que ésta es la única forma en la que el gestor puede hacer un seguimiento de la evolución del gasto en medicamentos, sino que no se analice, al mismo tiempo, cuál es el impacto que tienen las variaciones en esta partida sobre el resto de los presupuestos. La rigidez presupuestaria suele dar lugar a ineficiencia en la asignación de recursos y a que las medidas de contención del gasto no sean efectivas¹⁹.

Si lo que se pretende es tener un sistema sanitario más eficiente, el criterio de eficiencia debería aplicarse a todos sus componentes. Sería beneficioso poner en marcha políticas sanitarias que fomentasen una gestión más integral de todos los componentes del sistema sanitario¹⁹. Los recursos deberían asignarse en función de enfermedades o programas, y no en función de tipos de servicios¹⁸. Esta integración podría llevarse a cabo a diferentes niveles (área terapéutica, enfermedad, etc.), lo que permitiría al gestor sanitario decidir cuál es la combinación de elementos que presenta una mayor eficiencia; así mejorarían tanto los resultados como la calidad proporcionada a los pacientes.

Conflicto de interés en la evaluación económica de medicamentos

Los resultados de las EEM pueden tener un alto impacto en la utilización de un determinado fármaco. A menudo se llama la atención sobre los conflictos de intereses y la potencial aparición de sesgos en los estudios patrocinados por la industria farmacéutica²⁰. Sin embargo, la misma precaución hay que tener con las evaluaciones realizadas por los organismos ligados, directa o indirectamente, a la financiación de los fármacos²¹. Por ello, sería recomendable que los estudios fueran realizados o evaluados por expertos independientes, de forma similar a como se hace en las revistas científicas. No parece razonable que los artículos que se publican en revistas científicas sean revisados por al menos 2 expertos y las guías y boletines farmacoterapéuticos, cuyo impacto es mucho mayor, no sean revisadas por ninguno. La estandarización de los métodos de evaluación y la transparencia en los análisis son elementos que deberían contribuir a lograr una mayor credibilidad de las EEM, independientemente de quién sea el autor de éstas.

Análisis continuo de la eficiencia

Es necesaria la reevaluación, ya que la eficiencia de los medicamentos puede variar con el tiempo por cambiar las circunstancias de su aplicación. Para

poder decidir sobre la financiación de un nuevo medicamento no hay más remedio que utilizar información que proviene de ensayos clínicos, a pesar de que se sabe que ésta no es la fuente ideal para realizar EEM. Pero la eficiencia de un medicamento no se conoce hasta que no se emplea en las condiciones de la práctica clínica habitual. Por este motivo, es necesario reevaluar la eficiencia una vez que se cuente con nuevos datos sobre efectividad y costes en condiciones reales²². En ocasiones, el CE de una determinada intervención puede disminuir con el paso del tiempo, debido, por ejemplo, a que se haya adquirido mayor experiencia en su utilización, se empleen dosis más bajas o se haya ido seleccionando mejor a los pacientes que más pueden beneficiarse de la intervención²³. Pero con frecuencia ocurre lo contrario, ya que la eficacia que se consigue en las condiciones experimentales de los ensayos clínicos suele ser mayor que la efectividad lograda en la práctica clínica.

A este respecto, los contratos de riesgo compartido firmados entre las administraciones públicas y las compañías farmacéuticas pueden ser especialmente útiles en situaciones en las que no se conocen con certeza algunos de los parámetros clave para fijar el precio y la financiación pública de los fármacos. Posteriormente, cuando el fármaco ya se haya comercializado y se disponga de nuevos resultados derivados de la práctica real, una nueva evaluación económica ayudaría a conocer el valor que dicho medicamento aporta a la sociedad, y serviría para establecer su precio y fijar sus condiciones de reembolso.

Innovación y eficiencia

Actualmente, el proceso de aprobación regulatoria, basado en la eficacia, la calidad y la seguridad, está formalmente separado del proceso de precio, reembolso y acceso a la innovación. De igual forma, la evaluación de la innovación debería ser independiente de la evaluación de la eficiencia. Puede ocurrir que un medicamento sea bastante innovador pero no eficiente, poco innovador y muy eficiente, poco innovador y poco eficiente, etc. Valdría la pena reorientar el debate sobre la innovación, considerando cuál es la verdadera aportación que supone un nuevo fármaco para los pacientes. Un fármaco nuevo será una innovación si realmente contribuye al avance terapéutico. Quizás lo más difícil sea ponerse de acuerdo sobre cuándo un nuevo fármaco contribuye o no a dicho avance.

También debería reconocerse que la innovación incremental es la principal forma de progreso en cualquier sector industrial, y que el farmacéutico no debería ser una excepción. En muy pocas ocasiones los nuevos fármacos representan una gran innovación. La mayoría de las veces, el progreso médico y los beneficios para los

pacientes se obtienen gracias a pequeñas mejoras que pueden ser el primer paso para lograr mejoras más importantes en el futuro. Un reciente informe ha puesto de manifiesto que el 63% de los medicamentos esenciales de la Organización Mundial de la Salud fueron considerados inicialmente como *me-too* o seguidores²⁴. Si un sistema sanitario no tiene suficientes recursos para pagar una determinada innovación la solución no pasa por negar dicha innovación sino por reconocer que no se está dispuesto a pagar un determinado coste a cambio de los beneficios obtenidos. El análisis de eficiencia es una herramienta adecuada para explicar a la sociedad las razones de una determinada decisión. Ante unos recursos limitados, puede que para los gestores lo más sencillo, de cara a la sociedad, sea cuestionar la eficacia, la seguridad o el grado de innovación de los nuevos medicamentos, pero lo más coherente es separar la evaluación de esos aspectos de la evaluación de la eficiencia.

Impacto presupuestario

EEM y gestión basada en presupuestos deberían ser entendidos como conceptos complementarios, aunque a veces el uso conjunto del análisis CE y de la gestión presupuestaria puede dar lugar a conflictos. Por ejemplo, puede que una nueva intervención se considere eficiente (si su CE incremental es inferior al umbral predeterminado), pero que su impacto presupuestario sea tan elevado que no pueda financiarse con el presupuesto existente²⁵. También puede suceder que el CE sea demasiado alto (sería el caso de muchos medicamentos huérfanos), pero que el impacto presupuestario sea pequeño. La reciente recomendación de un quimioterápico por el NICE en el Reino Unido, sin considerar cuál sería su impacto presupuestario, quién y cómo se iba a financiar el fármaco, ha reabierto este debate²⁶.

En teoría, no financiar o poner restricciones al uso de un medicamento eficiente por el hecho de tener un impacto presupuestario elevado conduciría a una asignación poco eficiente de los recursos. Si lo que se pretende es financiar las intervenciones cuyo CE se considera aceptable y, al mismo tiempo, es necesario hacerlo con el presupuesto disponible, no habrá más remedio que obtener recursos de otra parte del sistema, dejando de financiar intervenciones con un CE menos favorable. Para ello habría que contar con información más completa sobre el CE del conjunto de las intervenciones sanitarias. Algunos autores señalan que sólo de esa forma sería posible emplear adecuadamente el análisis CE²⁷. Si los gestores sanitarios no pueden tomar decisiones que implican trasvasar recursos de unas partidas a otras, reducir gastos de políticas y tratamientos con un CE alto, para incrementar

el gasto en tratamientos con un CE más bajo, la utilidad que puede tener el análisis CE para la toma de decisiones es reducida. De nuevo, una gestión más integral de la salud ayudaría a solucionar este problema.

Conclusión

Como resumen final de estas reflexiones, quisiéramos señalar que si en España desea utilizarse el criterio de eficiencia en las decisiones de política farmacéutica, debemos aprender de los países que han ido por delante de nosotros y cuentan con una mayor experiencia. Los métodos de evaluación están suficientemente desarrollados, empieza a haber una cultura de evaluación y una mayor conciencia por parte de los gestores y profesionales sanitarios sobre la necesidad de priorizar los recursos disponibles. En ese contexto, el análisis de la eficiencia puede ser un elemento de ayuda muy útil en la selección de intervenciones sanitarias, aunque sería un grave error convertirlo en el único criterio. Es preciso entender mejor que ser eficientes significa gastar mejor, y no menos, y que para lograr un sistema eficiente hay que evaluar, de manera continuada, los diferentes componentes del sistema sanitario, sin olvidar que una gestión más integral de la salud es el requisito fundamental para que la EEM demuestre todo su potencial.

Conflicto de intereses

Tatiana Dilla y José Antonio Sacristán trabajan en el Departamento Médico de Lilly, S.A.

Bibliografía

- Guidelines for preparing submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) (version 4.1). Canberra: Department of Health and Ageing, Australian Government, 2006 [citado 16 julio 2007]. Disponible en: <http://www.health.gov.au/internet/wcms/publishing.nsf/Content/pbacguidelines-index>
- Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals: Canada. 2nd. edition. Ottawa: The Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment (CCOHTA), 1997 [citado 16 Jul 2007]. Disponible en: <http://www.cadth.ca/index.php/en/publication/35>
- National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). London: National Health Service [citado 16 Jul 2007]. Disponible en: <http://www.nice.org.uk/>
- Drummond M, Sculpher M. Better analysis for better decisions: has pharmacoeconomics come of age? *Pharmacoeconomics*. 2006;24:107-8.
- Social value judgements. Principles for the development of NICE guidance. London: NICE, 2005 [citado 16 Jul 2007]. Disponible en: <http://www.nice.org.uk/page.aspx?o=283494>
- Rawlins MD, Culyer AJ. National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ*. 2004;329:224-7.
- NICE Citizens Council. Report of the first meeting: Determining clinical need. London: NICE, 2003 [citado 16 Jul 2007]. Disponible en: http://www.nice.org.uk/pdf/FINALNICEFirstMeeting_FINALReport.pdf
- Raftery J. NICE: faster access to modern treatments? Analysis of guidance on health technologies. *BMJ*. 2001;323:1300-3.
- Devlin N, Parkin D. Does NICE have a cost-effectiveness threshold and what other factors influence its decisions? A binary choice analysis. *Health Econ*. 2004;13:437-52.
- Taylor RS, Drummond MF, Salkeld G, Sullivan SD. Inclusion of cost effectiveness in licensing requirements of new drugs: the fourth hurdle. *BMJ*. 2004;329:972-5.
- Laupacis A. Inclusion of drugs in provincial drug benefit programs: who is making these decisions, and are they the right ones? *CMAJ*. 2002;166:44-7.
- Sheldon TA, Smith PC. Equity in the allocation of health care resources. *Health Econ*. 2000;9:571-4.
- Peacock S, Ruta D, Mitton C, Donaldson C, Bate A, Murtagh M. Using economics to set pragmatic and ethical priorities. *BMJ*. 2006;332:482-5.
- Kulp W, Greiner W, Von der Schulenburg JM. The fourth hurdle as controlling instrument for expenditure on medication? *Eur J Health Econ*. 2003;4:1-5.
- Neumann PJ, Sandberg EA, Bell CM, Stone PW, Chapman RH. Are pharmaceuticals cost-effective? A review of the evidence. *Health Aff (Millwood)*. 2000;19:92-109.
- Lasagna L. Clinical pharmacology: past, present and future. Lectio del Profesor Louis Lasagna en la Universidad de Alcalá de Henares, 2000 (los interesados pueden solicitar una copia).
- Dent TH, Sadler M. From guidance to practice: why NICE is not enough. *BMJ*. 2002;324:842-5.
- Garrison L, Towse A. The drug budget silo mentality in Europe: an overview. *Value Health*. 2003;6 Suppl 1:1-9.
- Drummond M, Jönsson B. Moving beyond the drug budget silo mentality in Europe. *Value Health*. 2003;6 Suppl 1:74-7.
- Bell CM, Urbach DR, Ray JG, Bayoumi A, Rosen AB, Greenberg D, et al. Bias in published cost effectiveness studies: systematic review. *BMJ*. 2006;332:699-703.
- Sacristán JA, Bolanos E, Hernández JM, Soto J, Galende I. Publication bias in health economic studies. *Pharmacoeconomics*. 1997;11:289-92.
- Sculpher M, Claxton K. Establishing the cost-effectiveness of new pharmaceuticals under conditions of uncertainty: when is there sufficient evidence? *Value Health*. 2005;8:433-46.
- Remak E, Hutton J, Jones M, Zagari M. Changes in cost-effectiveness over time. The case of epoetin alfa for renal replacement therapy patients in the UK. *Eur J Health Econ*. 2003;4:115-21.
- Cohen J, Cabanilla L, Sosnov J. Role of follow-on drugs and indications on the WHO Essential Drug List. *J Clin Pharm Ther*. 2006;31:585-92.
- Donaldson C, Currie G, Mitton C. Cost effectiveness analysis in health care: contraindications. *BMJ*. 2002;325:891-4.
- Barrett A, Roques T, Small M, Smith RD. How much will herceptin really cost? *BMJ*. 2006;333:1118-20.
- Detsky AS, Laupacis A. Relevance of cost-effectiveness analysis to clinicians and policy makers. *JAMA*. 2007;298:221-4.