

Del concepto de la utilidad terapéutica de los medicamentos a su aplicabilidad

Juan del Llano Señarís, Julián Ruiz Ferrán y Gema Pi Corrales
Fundación Gaspar Casal

Introducción

Antecedentes

El concepto de utilidad terapéutica

La utilidad terapéutica en el contexto europeo

Objetivos

Documento de síntesis. ¿Qué es y para qué sirve la utilidad terapéutica? De la efectividad relativa de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental en la salud

Introducción

El concepto de utilidad terapéutica: más allá de la semántica

Innovaciones regulatorias en el sistema comparado (UE)

El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio

A modo de epílogo

Abordaje cualitativo: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión

Concepto y aplicación de la utilidad terapéutica de los medicamentos y otras tecnologías sanitarias en España: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión

Utilidad terapéutica como valor relativo

Su medición: potencial de la historia clínica electrónica y las tecnologías de información y comunicaciones

Evolución de la indicación, financiación selectiva y *me-toos*

Fármacos frente a otras tecnologías sanitarias

Papel de las agencias: ¿evaluadoras y/o decisoras?

Ministerio de Sanidad, Ministerio de Economía y Ministerio de Innovación y Ciencia

Contratos de riesgo compartido

Papel de la evaluación económica

Necesidad de transparencia

Oportunidad de una agencia de ámbito europeo

Diferencias entre grupos de discusión

Conclusiones

¿Cómo avanzamos?

Referencias bibliográficas

Anexo I. Currícula de los participantes en los grupos de discusión

Anexo II. Guía empleada en los grupos de discusión

Del concepto de la utilidad terapéutica de los medicamentos a su aplicabilidad

Juan del Llano Señarís, Julián Ruiz Ferrán y Gema Pi Corrales
Fundación Gaspar Casal

SUMARIO

| | |
|---|-----------|
| Introducción | 1 |
| Antecedentes..... | 1 |
| El concepto de utilidad terapéutica..... | 2 |
| La utilidad terapéutica en el contexto europeo..... | 3 |
| | |
| Objetivos | 6 |
| | |
| Documento de síntesis. ¿Qué es y para qué sirve la utilidad terapéutica? De la efectividad relativa de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental en la salud | 7 |
| Introducción..... | 7 |
| El concepto de utilidad terapéutica: más allá de la semántica..... | 8 |
| Innovaciones regulatorias en el sistema comparado (UE)..... | 10 |
| El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio..... | 11 |
| A modo de epílogo..... | 12 |
| | |
| Abordaje cualitativo: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión | 13 |
| Concepto y aplicación de la utilidad terapéutica de los medicamentos y otras tecnologías sanitarias en España: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión..... | 13 |
| Utilidad terapéutica como valor relativo..... | 15 |
| Su medición: potencial de la historia clínica electrónica y las tecnologías de información y comunicaciones..... | 16 |
| Evolución de la indicación, financiación selectiva y <i>me-toos</i> | 17 |
| Fármacos frente a otras tecnologías sanitarias..... | 17 |
| Papel de las agencias: ¿evaluadoras y/o decisoras?..... | 18 |
| Ministerio de Sanidad, Ministerio de Economía y Ministerio de Innovación y Ciencia..... | 18 |
| Contratos de riesgo compartido..... | 19 |
| Papel de la evaluación económica..... | 19 |
| Necesidad de transparencia..... | 20 |
| Oportunidad de una agencia de ámbito europeo..... | 20 |
| Diferencias entre grupos de discusión..... | 21 |
| | |
| Conclusiones | 21 |
| ¿Cómo avanzamos? | 22 |
| Referencias bibliográficas | 22 |
| Anexo I. Currícula de los participantes en los grupos de discusión | 7 |
| Anexo II. Guía empleada en los grupos de discusión | 15 |

Del concepto de la utilidad terapéutica de los medicamentos a su aplicabilidad

Juan del Llano Señarís, Julián Ruiz Ferrán y Gema Pi Corrales

Fundación Gaspar Casal

Introducción

La evaluación de los medicamentos ha transcurrido por diferentes fases en relación con el progreso científico, las necesidades terapéuticas y la situación económico-sanitaria reinante en cada momento. En la década de 1960, se produjo la gran eclosión de la investigación clínica, y se realizaron ensayos clínicos cuyos resultados aportaban credibilidad y validez. En la mayoría de los países, se hizo indispensable realizar ensayos clínicos para valorar la eficacia y la seguridad de cualquier nuevo medicamento, en la fase previa de autorización de registro. A partir de la segunda parte de la década de 1980, se han ido desarrollando métodos de análisis de evaluación económica de medicamentos (AEEM), con la pretensión de calcular la eficiencia como criterio de priorización en un entorno en el que los recursos públicos disponibles pueden no ser suficientes para satisfacer una demanda cada vez mayor.

El concepto de *eficacia relativa* está cada vez más presente en las evaluaciones económicas de medicamentos que realizan los Estados miembros de la Unión Europea. La eficacia relativa consta de 2 componentes: *a)* el valor terapéutico añadido (VTA) de un medicamento (su eficacia clínica frente a otros medicamentos), y *b)* su rentabilidad, basada en el VTA y que introduce la consideración del precio en la comparación. Las autoridades competentes cada vez tienen más presente la rentabilidad al tomar sus decisiones, ya que la incorporación permanente de nuevos medicamentos constituye un factor de aumento importante de los costes de la asistencia sanitaria.

Las autoridades sanitarias tienen como competencia autorizar el registro de los nuevos medicamentos, establecer su precio y decidir sobre su reembolso a cargo del presupuesto del Sistema Nacional de Salud. La utilización de los AEEM como herramienta para determinar dónde y en qué invertir los recursos disponibles –junto con la evaluación de la eficacia, la seguridad y la calidad– es un instrumento de ayuda para la toma de decisiones y la asignación de recursos, lo cual permite incluir en el reembolso público los medicamentos con

una mejor relación coste-efectividad. De esta manera, las autoridades sanitarias estiman que se incrementará el correcto uso de los medicamentos, y se utilizarán los más adecuados a cada situación, lo cual todo ello redundará en un aumento de la calidad asistencial.

En España, la Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos, realiza una clara vinculación entre la utilidad terapéutica de un medicamento y la financiación selectiva. En la ley se señala que la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) será la que realizará los informes que, entre otras cosas, ayudarán en la toma de decisiones sobre el precio (art. 90) y sobre la inclusión o no en la financiación pública (art. 89). Para esta financiación pública, además de la utilidad terapéutica, también se tendrán en cuenta otros criterios, como son el grado de innovación del medicamento, la gravedad de la enfermedad, etc. El artículo 89 de la ley –aunque en relación con la enumeración de la utilidad terapéutica como criterio a tener en cuenta para la financiación pública– no difiere de su predecesor (art. 94 de la ley 25/1990, de 20 de diciembre, del medicamento), e incluye 2 conceptos que son de gran repercusión: en primer lugar, habla de financiación selectiva y no indiscriminada y, en segundo lugar, el grado de innovación es otro de los elementos a tener en cuenta para la financiación.

Ante esta lectura de los artículos de la ley, es necesario tener una definición clara de qué conceptos o criterios nos pueden ayudar a medir la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento, especialmente teniendo en cuenta que, si bien hay una clara asociación entre utilidad terapéutica y resultados clínicos (contraindicaciones, efectos adversos, etc.), posiblemente esa relación deba tener una definición más amplia en la que se incluyan más elementos.

Antecedentes

En un informe reciente de la Agencia Estatal de Evaluación de las Políticas Públicas y la Calidad de los Servicios (www.aeval.es), dependiente del Ministerio de Administraciones Públicas, se analiza el Plan Estratégico de Política

Farmacéutica para el Sistema Nacional de Salud español de noviembre de 2004. Entre las medidas sugeridas en el informe para avanzar en el cumplimiento de los objetivos del Plan Estratégico, se indica el desarrollo de medidas que permitan “la aplicación efectiva del principio de financiación selectiva”, para lo que considera necesario la implantación de un “procedimiento reglado y basado en la evidencia científica” que cuantifique el valor terapéutico de los medicamentos a financiar basados en su eficiencia. Asimismo, afirma que es necesario plantear, de manera conjunta entre Estado y comunidades autónomas, una línea de trabajo con la que evaluar la utilidad terapéutica de los medicamentos, con la coordinación de la AEMPS.

El concepto de utilidad terapéutica

En el año 2004, en un informe realizado para la Comisión Europea sobre la innovación en el sector farmacéutico¹, se señala como recomendación la estandarización del concepto de utilidad o valor terapéutico, y exactamente propone “el desarrollo de una metodología común en la Unión Europea para la evaluación clínica relativa y coste efectividad. Si se hiciera en el ámbito europeo, proporcionaría un punto de referencia útil para evaluar la calidad de la innovación farmacéutica (en términos de valor terapéutico de nuevos productos)”. Ese mismo informe define el término innovación como el “progreso tecnológico que lleva a la creación de un nuevo producto o a la reducción en el coste de producción o a un incremento del valor terapéutico de un producto existente”.

Aunque la Ley 29/2006 utiliza el término *utilidad terapéutica*, en el entorno hay otras denominaciones que vienen a significar más o menos lo mismo, como por ejemplo *aportación terapéutica*, que es la expresión que utiliza el Comité Mixto de Evaluación de Nuevos Medicamentos², o *valor terapéutico añadido*, traducción del inglés *added therapeutic value*. En este documento se utilizarán de un modo indistinto.

La tendencia ha sido entender la utilidad terapéutica sólo con criterios clínicos, pero un concepto amplio de utilidad terapéutica nos llevaría a incluir no únicamente esos beneficios clínicos, sino también los económicos y de calidad de vida que derivan de utilizar un tratamiento. Un ejemplo puede ser la utilización o no de la mejora del cumplimiento terapéutico como elemento a tener en cuenta en la utilidad terapéutica. Si no se tiene en cuenta, puede darse el caso de un medicamento que –con una mayor eficacia y mayor seguridad que el de referencia, y que por tanto tendría una alta calificación como novedad terapéutica– tuviera, sin embargo, una adherencia baja, porque este nuevo fármaco requiere 4 tomas diarias y el anterior, sólo una.

El tema de los costes asociados a los nuevos medicamentos requiere un análisis pormenorizado que se tiene que completar con los estudios de evaluación económi-

ca. Comparar solamente los precios de medicamentos (o costes por dosis diaria definida), que suele asemejarse a un análisis de minimización de costes, no es recomendable ni por consistencia, ni por rigor.

Por tanto, en el concepto de utilidad terapéutica se deben incluir elementos como:

- Grado de innovación del fármaco. En él se tendrán en cuenta su calidad, eficacia y seguridad en relación con los tratamientos alternativos disponibles.
- Importancia de la enfermedad. Por ejemplo, los nuevos tratamientos en cáncer deben tener una prioridad mayor que los medicamentos destinados a otras enfermedades “menores”.
- Número de personas afectadas. Se deberá tener en cuenta el valor añadido que puede aportar a la sociedad este nuevo fármaco y si la necesidad médica no está cubierta, como por ejemplo los medicamentos huérfanos.
- Facilidad en el seguimiento del tratamiento. El cumplimiento terapéutico y la adherencia son muy importantes, y se deberá asignar una utilidad terapéutica mayor a aquellos que los faciliten (una toma en lugar de 3, por ejemplo).
- Necesidades en el sistema sanitario. Los nuevos medicamentos deben cubrir los huecos terapéuticos de los que ya existen en el sistema sanitario y no centrarse tanto en modificaciones de los ya existentes (*me-toos*). Deberían existir unas guías que marquen las prioridades terapéuticas y que sirvan, asimismo, de orientación para la recompensa de la innovación.
- Calidad de vida del paciente. Las experiencias y las preferencias del paciente, así como su grado de satisfacción con el tratamiento, también han de tenerse en cuenta.

La práctica habitual en España es la financiación pública de la mayor parte de los medicamentos que se incorporan al mercado. Sin embargo, como puede verse en la figura 1, sólo un número pequeño de fármacos es calificado por 3 centros regionales de evaluación de medicamentos (Andalucía, País Vasco y Cataluña, con datos entre 1994 y 2005) con “ganancia terapéutica significativa” o “añade algo”, y destacan la evaluación de “no añade nada nuevo”, como la prevalente.

Como comentamos anteriormente, la nueva ley encarga a la AEMPS realizar los informes de utilidad terapéutica y señala que contará “con una red de colaboradores externos constituida por expertos independientes de reconocido prestigio científico, que serán propuestos por las comunidades autónomas, en la forma que se determine reglamentariamente” (art. 90). Siguiendo este esquema, sólo los que añadan algo o tengan una ganancia terapéutica significativa podrían entrar en distintos esquemas de financiación pública.

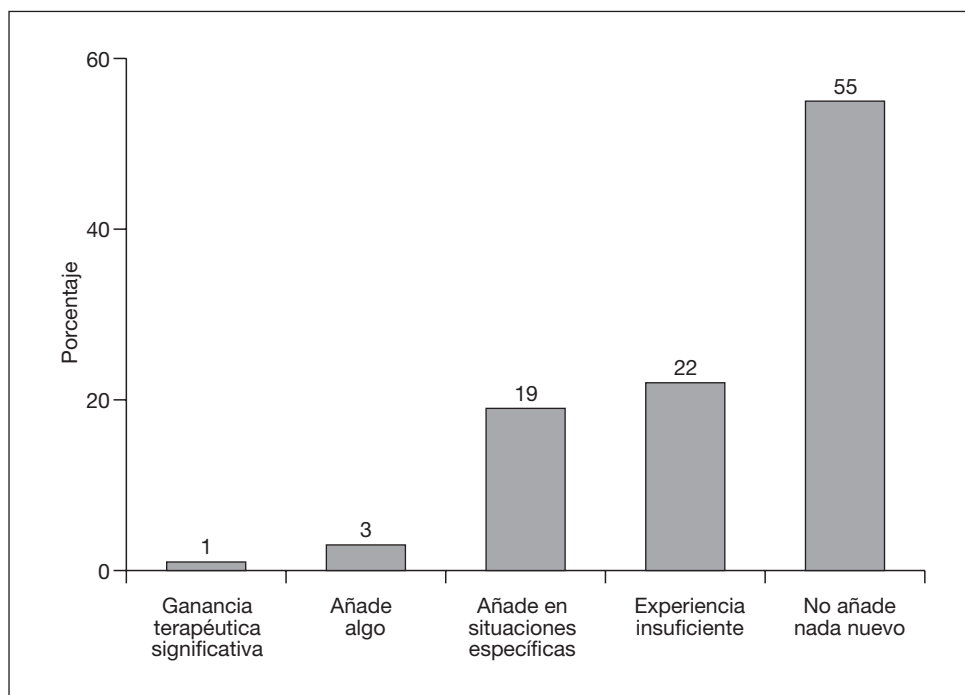


Figura 1. Respuestas de evaluación según el grado de innovación. Tomada de Jönsson et al³.

La utilidad terapéutica en el contexto europeo*

Desde el punto de vista de las decisiones sobre precios y reembolsos, en los Estados miembros de la Unión Europea hay variados sistemas obligatorios o voluntarios que ofrecen un mecanismo para la asignación de recursos limitados en los que se tienen en cuenta las cuestiones relacionadas con la eficacia relativa. Los primeros países en solicitar evaluaciones económicas de medicamentos (EEM), como requisito legal para decidir el reembolso de los nuevos medicamentos, fueron Australia y, después, Canadá. En Australia hay guías muy detalladas para la presentación de estudios de evaluación económica en el proceso de solicitud de reembolso para nuevos fármacos, nuevas indicaciones y en la solicitud de expansión del número de pacientes a ser tratados. En el caso de Canadá, la información económica es obligatoria para algunos fármacos; las empresas farmacéuticas deben incluir la información económica en la solicitud de reembolso en varias provincias y existe un organismo, el Canadian Co-ordinating Office for Health Technology Assessment, que realiza AEEM ya existentes. Desde entonces, alrededor de una decena de países, la mayoría de ellos en Europa (Portugal, los Países Bajos, Finlandia, Noruega, Dinamarca, Alemania y Suecia, y en menor medida Italia y Bélgica), han requerido formalmente EEM a las compañías farmacéuticas como paso previo para fijar el precio

y/o para la financiación pública de los nuevos medicamentos para la toma de decisiones.

En el caso de los Países Bajos, la Federación de Fondos de Enfermedad requiere la evaluación económica como requisito de reembolso en las innovaciones terapéuticas.

En el Reino Unido, el National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE), establecido en 1999, se encarga de decidir cuáles de los nuevos medicamentos comercializados se reembolsará con cargo al Sistema Nacional de Salud para Inglaterra y Gales. Uno de los criterios que tiene en cuenta este organismo a la hora de tomar decisiones es la eficiencia del nuevo medicamento respecto a los ya existentes, por lo que es imprescindible presentar el EEM a este organismo cuando se solicita el reembolso.

En Italia, la información económica se considera en la solicitud de reembolso de nuevos fármacos, el Ministerio de Sanidad solicita justificación económica de los nuevos medicamentos, aunque no está claro cómo se evalúa esta información.

Una de las características principales que tienen los países europeos para la fijación del precio de los medicamentos es la referencia constante a los precios de los países del entorno (conocido como *international reference pricing*).

Esta situación plantea ciertas incongruencias. Tomemos, por ejemplo, un país que al decidir el precio de su medicamento está tomando en cuenta 2 elementos (utilidad terapéutica y precio internacional de referencia) que nos pueden dar las situaciones siguientes:

*Autor: Jaime Espín Balbino

país que no tiene en cuenta la evaluación económica a la hora de fijar el precio o financiación de un medicamento y en cambio sí tiene en cuenta el precio de otro país que sí la utiliza; país de precio regulado que tiene en cuenta el precio de otro país cuyo precio es libre, etc. De hecho, en un estudio reciente⁴, se señala que uno de los países más referenciado es Alemania, país con los precios más altos, situación que inevitablemente produce que los precios europeos suban sin tener en cuenta su utilidad terapéutica (convergencia de precios de los medicamentos en el entorno europeo).

Hay que destacar que en el marco del Pharmaceutical Forum⁵ se han constituido varios grupos de trabajo, entre los cuales destaca el de Efectividad Relativa³, que ha tratado de buscar el intercambio de información entre los Estados miembros sobre el concepto de valor terapéutico relativo. En este sentido, se determinaron 3 parámetros distintos a la hora de realizar la evaluación de la efectividad relativa: los parámetros clínicos/terapéuticos, los de calidad de vida y los socioeconómicos.

La inclusión o no de los aspectos económicos en el concepto de utilidad terapéutica es algo complejo. En un glosario realizado durante las sesiones del grupo de trabajo del Pharmaceutical Forum de la Unión Europea, se aclaró que el concepto de efectividad relativa incluye 2 elementos, utilidad terapéutica y coste efectividad, y clarifica que el concepto de utilidad terapéutica siempre evalúa los riesgos y los beneficios de los medicamentos, sin tener en cuenta las consideraciones económicas. Sin embargo, es importante tener en cuenta los conceptos de eficiencia e impacto presupuestario para tener una realidad verdadera de qué es utilidad terapéutica como concepto global.

Es importante destacar que los objetivos de este grupo de trabajo fueron tres⁶, porque en parte el concepto de utilidad terapéutica tiene mucho que ver con este documento de revisión: en primer lugar, desarrollar mecanismos que incrementen la calidad y la cantidad de los datos disponibles que permiten realizar las evaluaciones y tener en cuenta cómo trabajar con la incertidumbre; en segundo lugar, mejorar el grado de consenso en el ámbito europeo sobre los datos necesarios para realizar estudios de utilidad terapéutica y coste-efectividad, y, por último, desarrollar una propuesta para analizar los actuales procesos de evaluación e identificar buenas prácticas.

Seguidamente, se detalla cómo se utiliza la evaluación

de las innovaciones terapéuticas en algunos países de la Unión Europea para la fijación del precio y la financiación pública o no de los medicamentos.

Francia

Francia es uno de los países en el contexto europeo donde existe una clasificación y una delimitación del concepto de valor terapéutico. Si un medicamento quiere estar en la lista positiva de medicamentos reembolsables (financiación pública), previamente se realiza un informe en el que el Comité de Transparencia determina su clasificación según su beneficio actual (Service Médical Rendu [SMR]) que puede ser: muy importante, importante, bajo o insuficiente. Los criterios principales que se tienen en cuenta son: el nivel de eficacia (beneficios/riesgos), el impacto en la salud pública y la gravedad de la enfermedad. Los medicamentos que se califican como insuficientes se excluyen de la financiación.

La fijación del precio se determina mediante el criterio de mejora del beneficio (Amélioration du SMR [ASMR]), donde se compara el nuevo medicamento con el de referencia. La calificación puede ser muy importante (ASMR I), importante (ASMR II), moderada (ASMR III), menor (ASMR IV) y no hay mejora clínica (ASMR V). Si no hay mejora, el medicamento puede ser reembolsado solamente si el precio es inferior a su comparador. En cambio, si existe mejora, el precio puede ser mayor que el de referencia. En este contexto, los que han obtenido una buena calificación (I, II y III) consiguen un precio mejor, además de una accesibilidad más rápida al mercado, porque se produce una notificación de precio en vez de una negociación. En la figura 2 puede verse un detalle de las evaluaciones del año 2006, clasificación que coincide en parte con los porcentajes de la figura 1 (evaluaciones de los centros de las comunidades autónomas en España).

Países Bajos

En los Países Bajos, los elementos que configuran la utilidad terapéutica de un medicamento están especificados a priori y son los que ayudan a determinar el tipo de reembolso asignado. En este sentido, dentro del concepto de valor terapéutico, se encuentra la eficacia/efectividad, los efectos secundarios, la aplicabilidad, la conveniencia, la experiencia y la calidad de vida. Aparte de la utilidad terapéutica, se tiene en cuenta la eficiencia a través de estudios de evaluación económica y de impacto presupuestario, así como la importancia de ese medicamento para la salud pública (gravedad de la enfermedad, disponibilidad de tratamientos alternativos, etc.)

Como se puede observar en la figura 3, la financiación pública en los Países Bajos tiene distintas clasificaciones, dependiendo de la existencia o no de sustitutos terapéuticamente intercambiables. En el grupo 1A se recogen los medicamentos que tienen referencia y cuya financiación pública se realiza de acuerdo con la media

⁴The Working Group on Relative Effectiveness aims to support Member States apply Relative Effectiveness systems in order to allow containment of pharmaceutical costs as well as a fair reward for innovation. Relative Effectiveness systems are relatively new for many Member States and rather complex. Nevertheless the outcome of relative effectiveness is promising as they will help allow identify the most valuable medicines, both in terms of clinical efficiency as of cost-effectiveness, and will help set a fair price for these medicines. The Working Group will bring experiences of different Member States and of industry together in order to further develop this promising field.

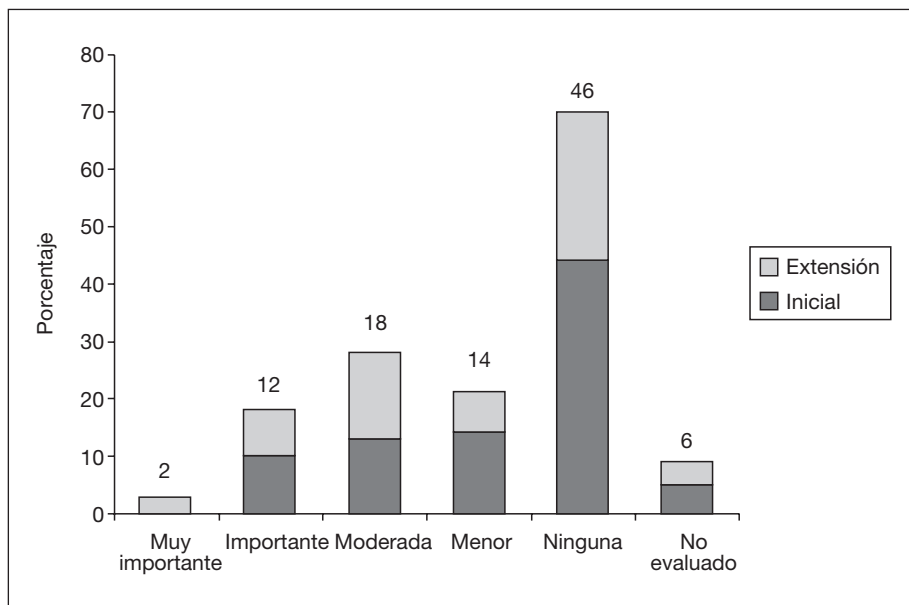


Figura 2. ASMR en 2006. Inicial + extensión de la indicación (n = 152). Elaboración propia con datos del Ministerio de Salud francés.

de los que están en el mismo grupo terapéutico. Los medicamentos que se clasifican en el grupo 1B no disponen de referencia para reembolso, por lo que su límite dependerá de su valor terapéutico y evaluación económica. Por último, los medicamentos que se encuentran en el grupo 2 son medicamentos con un reembolso condicionado (limitación de indicación, protocolos de tratamiento, etc.) en el que las aseguradoras sanitarias pueden poner condiciones o incluso solicitar autorizaciones previas (tipo visados).

Bélgica

La Comisión de Remboursement des Médicaments (Comisión de Reembolso de Medicamentos) de Bélgica utiliza la eficacia, la seguridad, la comodidad y la conveniencia del uso y la aplicabilidad. Si al medicamento se le encuentra una utilidad terapéutica añadida importante, se le clasifica como clase 1 y se le exige a la industria la aportación de estudios farmacoeconómicos. El resto de los productos son calificados como clase 2 (la clase 3 está reservada para las copias y los genéricos).

Suecia

En el año 2002 se produjo una importante reforma en Suecia en el sistema de reembolso de medicamentos. Fueron varias las razones que justificaron este cambio, especialmente el aumento importante en el gasto público desde la década de 1990, pero las autoridades suecas alegaron que una de las primeras razones era no saber si los medicamentos merecían su precio (*value for money*) y si los aumentos en costes estaban equilibrados con un aumento en valor terapéutico. Tras esta reforma, la evaluación económica, con la perspectiva de la sociedad, desempeña un papel clave en los sistemas de reembolso de Suecia.

Reino Unido

El Reino Unido es uno de los pocos países en el que el precio de los medicamentos innovadores hasta el momento es libre y que, por tanto, las autoridades no tienen en cuenta su utilidad terapéutica para la fijación de su precio. Sin embargo, para la financiación pública, se tiene en cuenta su utilidad terapéutica a través de las evaluaciones que el NICE realiza.

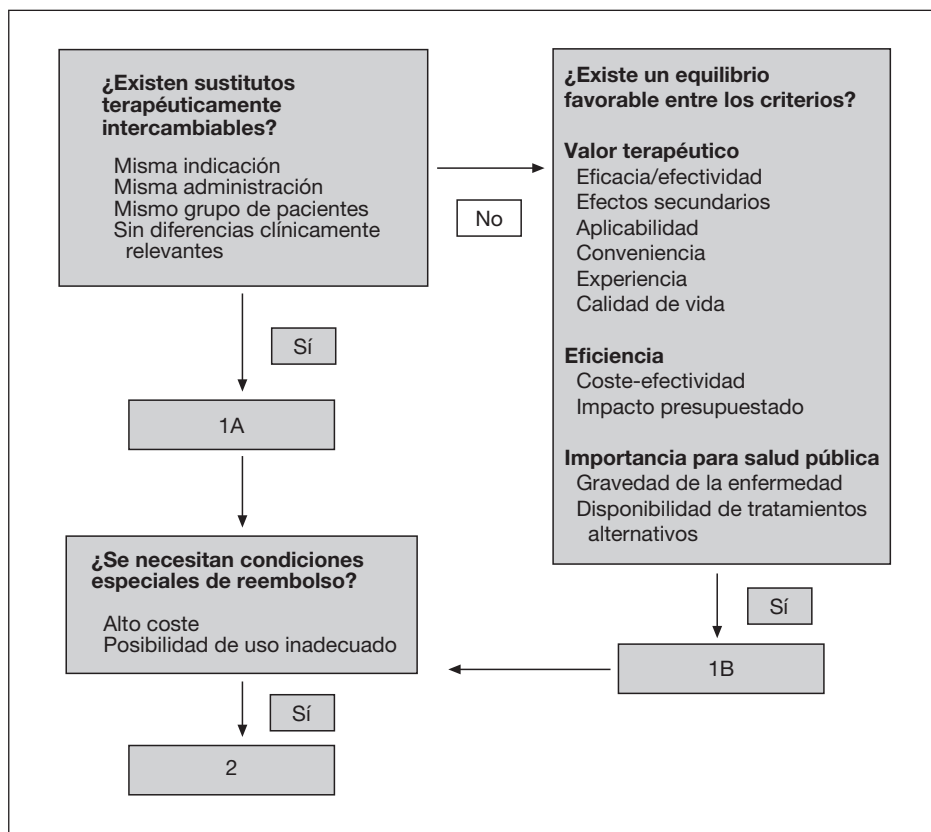
En un informe reciente de la Office of Fair Trading (Comisión de la Competencia) para evaluar el sistema de reembolso del Reino Unido, que se basa principalmente en el precio libre de los medicamentos con un control de beneficios, recomendaba que se cambiara a un enfoque basado en su valor (*value-based approach*), que permitiera garantizar que el precio de los medicamentos reflejara su valor clínico y terapéutico. En ese mismo informe, se indicaba que la noción de valor terapéutico no sólo debe recoger los beneficios que produce al paciente, sino también a todos los que están afectados por su condición, como por ejemplo sus cuidadores.

Alemania

En Alemania, muchos medicamentos se reembolsan de acuerdo con su grupo de referencia. Si un medicamento aporta un VTA, ese medicamento no forma parte del grupo y se reembolsa íntegramente. Las aseguradoras (G-BA [Joint Federal Committee of Physicians, Dentists, Hospitals, and Health Insurance Funds]) pueden limitar el nivel de reembolso a partir de los resultados de estudios de evaluación económica.

Recientemente, se creó el Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) que realiza estudios de evaluación de la evidencia tanto para el

Figura 3. Valoración de la utilidad terapéutica en los Países Bajos para el reembolso de medicamentos. Elaboración propia con datos del Ministerio de Salud de los Países Bajos.



Ministerio de Salud, como para la G-BA. Actualmente está en fase de incorporar, junto a la evaluación de beneficios clínicos, los estudios de evaluación económica en sus decisiones.

Finalmente, merece mención el proyecto EMINet (European Medicines Information Network), cofinanciado por la Comisión Europea, que tiene una duración de 4 años y que se inició a finales del año 2008. Participan el GÖG/ÖBIG (Instituto Austríaco de Salud), la Escuela Andaluza de Salud Pública (EASP) y el LSE Health (Health Research Centre of the London School of Economics).

El objetivo principal del proyecto es aumentar el conocimiento mutuo de los sistemas de precios y reembolso de medicamentos de los Estados miembros de la Unión Europea y dar la oportunidad de intercambio de información que permita una transferencia de conocimiento y disseminación de datos y análisis.

El proyecto creará una página web con información, realizará un análisis de temas relevantes en materia de precios y reembolso de medicamentos, actuará como soporte técnico en algunas de las actividades de la Comisión Europea, etc.

Este proyecto va a facilitar el intercambio de información en materia de política farmacéutica, lo cual va a contribuir a la búsqueda de buenas prácticas.

La EASP desarrolló algunas experiencias anteriores en el marco del High Level Pharmaceutical Forum, que se publi-

caron en el informe *Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe* (http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_en.htm).

Objetivos

El primer objetivo de este estudio es disponer de un documento que ponga al día de forma sistematizada todo lo que pueda considerarse como *utilidad terapéutica*. Este documento pretende analizar las diversas interpretaciones que pueden hacerse del concepto de utilidad terapéutica y describir cómo se encuentra el debate en España y el contexto europeo.

El segundo objetivo es conocer las opiniones de expertos acerca del concepto de utilidad terapéutica, después de revisar los contenidos del documento de síntesis previamente generado con la emisión de juicios críticos sobre la caracterización del concepto, las opciones posibles en España, mediante la ejecución de 2 grupos de discusión (*focus group*), con sus respectivos análisis del discurso finales. El primero, desde un punto de vista más de la macrogestión, reunió tanto a miembros de los distintos centros de Evaluación de Medicamentos Regionales, de las agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y de las direcciones generales de Farmacia de distintas comunidades autónomas, así como a expertos procedentes del ámbito universitario. El segundo,

desde un punto de vista más de la mesogestión-microgestión, contó con prescriptores, farmacéuticos, farmacólogos, gestores y pacientes (ver anexo 1, lista de participantes).

Documento de síntesis. ¿Qué es y para qué sirve la utilidad terapéutica? De la efectividad relativa de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental en la salud*

Introducción

La cuestión relevante sobre la *deseabilidad* de los aumentos del gasto sanitario reside en saber si invertir más dinero en la atención sanitaria permitirá conseguir una mejor

*Autor: Jaume Puig i Junoy, a partir de los documentos de Jaime Espín Balbino y Pedro Gómez Pajuelo (en: www.fgcasal.org)

salud y calidad de vida relacionada con el estado de salud. Otro aspecto que cobra una importancia creciente es que el único resultado que se valora de la atención sanitaria no es la mejora en la salud, sino que los pacientes, y sus familiares, tienen muy en cuenta la satisfacción con el propio proceso de la atención (información, trámites burocráticos, comodidad, amabilidad, etc.).

La deseabilidad del aumento de la financiación destinada a los servicios sanitarios depende del valor de las mejoras de salud y de bienestar que supongan los servicios concretos en los que se invierte. El problema real al que se enfrenta el Sistema Nacional de Salud no es tanto la factibilidad o sostenibilidad de los aumentos del gasto sanitario público, sino la deseabilidad social de éste. Aparte de que podamos permitirnos determinados crecimientos en el gasto, la pregunta relevante, a suscitar en tiempo y lugar, es si éstos valen lo que cuestan.

La mejora de la relación entre cantidad y calidad de vida ganada y recursos empleados tiene bastantes elementos de política de salud y muchos de decisión clínica, diagnóstica o terapéutica, coste-efectiva. Se sabe que la eficiencia de un sistema sanitario depende del hecho que los profesionales sanitarios, fundamentalmente clí-

ANEXO I. Currícula de los participantes en los grupos de discusión

PARTICIPANTES EN EL PRIMER GRUPO DE DISCUSIÓN (19 de noviembre de 2008)

José Asua

Jefe de Servicio de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del Gobierno Vasco, OSTEBA.

Laura Cabiedes

Profesora titular del Departamento de Economía Aplicada, Universidad de Oviedo.

Pedro Cervera

Responsable del Servicio de Farmacia de Atención Primaria, Consejería de Sanidad, Generalitat Valenciana.

Ángel María Martín

Jefe de Área de Farmacia del SESCAM, Dirección de Farmacia, Junta de Comunidades de Castilla-La Mancha (JCCM).

Salvador Peiró

Fundación Instituto de Investigación de Servicios Sanitarios, Valencia.

Profesor de Investigación de Servicios de Salud de la Escuela Valenciana de Estudios de la Salud (EVES), Consejería de Sanidad, Generalitat Valenciana.

José María Recalde

Director del Centro Andaluz de Documentación e Información del Medicamento (CADIME), Escuela Andaluza de Salud Pública.

Gonzalo Trincado

Director general de Farmacia, Gobierno Vasco.

PARTICIPANTES EN EL SEGUNDO GRUPO DE DISCUSIÓN (11 de diciembre de 2008)

Jordi Colomer

Cirujano del Hospital de Viladecans, Barcelona. Ex gerente de hospitales los últimos 20 años.

Ana Gangoso

Farmacéutica de Atención Primaria, Ávila, SACYL. Vocal de la Sociedad Española de Farmacéuticos de Atención Primaria (SEFAP).

Jesús Hernández

Médico de Familia de Atención Primaria del Servicio de Salud de Castilla-La Mancha (SESCAM). Miembro del Patronato de la Fundación Signo.

Albert Jovell

Presidente del Foro Español de Pacientes.

África Mediavilla

Profesora titular de Farmacología, Facultad de Medicina, Universidad de Cantabria. Médico adjunto del Servicio de Farmacología Clínica, Hospital Universitario Marqués de Valdecilla, Santander.

Joan Serra

Director general del Hospital Universitario Son Dureta, Palma de Mallorca.

nicos –los cuales adoptan las decisiones diagnósticas y terapéuticas–, tengan la información y los incentivos necesarios para actuar de forma coste-efectiva.

El objetivo de estas notas consiste en presentar un comentario y una visión complementaria al debate necesario sobre el desarrollo del concepto de utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos y su utilización en el marco de las decisiones relacionadas con: *a*) la regulación de precios; *b*) el grado de financiación pública; *c*) la inclusión en formularios y guías terapéuticas, y *d*) las recomendaciones en boletines terapéuticos y sistemas electrónicos de prescripción. El punto de vista adoptado en los comentarios que siguen se basa en relacionar de forma directa y necesaria los conceptos de utilidad terapéutica y grado de innovación con la valoración de la contribución marginal de las innovaciones farmacéuticas a su impacto incremental en la mejora del estado de salud (supervivencia y calidad de vida, comodidad) y sobre el consumo de recursos (relación coste-efectividad)^{7,b}. Los instrumentos aplicados de la medicina basada en la evidencia y la EEM deben constituir la caja de herramientas (eficacia y efectividad relativa o marginal, relación coste-efectividad incremental⁸, disposición social a pagar, impacto presupuestario) a la que acudir para modernizar la información que debe guiar u orientar (que no determinar) unas decisiones más eficientes y responsables de financiación pública de medicamentos. Los textos de Espín Balbino⁹ y de Gómez Pajuelo¹⁰ (disponibles en www.fgcasal.org) ofrecen una visión muy interesante y apropiada de la necesidad de revisar los criterios de valoración de la utilidad terapéutica y del grado de innovación en el contexto del Sistema Nacional de Salud español. Más allá de los acuerdos y los desacuerdos con los aspectos señalados en ambos trabajos, no se puede dejar de reconocer y elogiar que sus reflexiones llegan en un momento muy oportuno.

El concepto de utilidad terapéutica: más allá de la semántica

Desde la perspectiva social, los conceptos de utilidad terapéutica y de grado de innovación de los nuevos medicamentos deben entenderse –en el contexto de la financiación de un sistema sanitario público– como el valor social añadido o aportado por éstos en relación con las alternativas de tratamiento y/o de diagnóstico disponibles para la misma indicación. Desde esta perspectiva, destacan 3 elementos analíticos: *a*) las dimensiones del valor social del impacto en la salud y el bien-

estar social; *b*) el carácter relativo o incremental de este valor, y *c*) las escalas alternativas de medida de este valor añadido o incremental.

De forma general, el valor de las innovaciones sanitarias y farmacéuticas depende conjuntamente de su efecto o impacto incremental en los resultados en salud y en calidad de vida relacionada con la salud (*outcomes*), y de su efecto o impacto en los recursos implicados (coste de oportunidad). El valor de estas innovaciones puede valorarse con la adopción de una perspectiva restringida o limitada (p. ej., la perspectiva del proveedor sanitario, del paciente, etc.), o bien desde una perspectiva social más amplia sobre la inclusión/exclusión de efectos en resultados y recursos.

Desde una perspectiva clínica e individual, el denominado de forma común como valor terapéutico añadido (*added therapeutic value*) se limita, como se puede verificar fácilmente en una parte importante de la bibliografía clínica, al impacto en la eficacia incremental medida a través de los resultados de ensayos clínicos en variables clínicas intermedias (además de calidad, seguridad y tolerabilidad, en algunos casos) y aspectos clínicos directamente relacionados (efectos adversos, complicaciones, interacciones, etc.)^c. En cambio, desde la perspectiva más amplia y comprehensiva del conjunto de la sociedad, el valor social de los nuevos medicamentos depende de su impacto incremental en: *a*) la salud de los individuos y de la población medida a través de la eficacia y la efectividad (efecto en condiciones reales de aplicación, incluida la adherencia al tratamiento) relativa a supervivencia (variables de resultado final) y calidad de vida relacionada con el estado de salud (incluido el valor de las preferencias sobre la comodidad y la facilidad de uso), y *b*) el coste de recursos farmacéuticos y sanitarios, así como los costes sociales de productividad (costes de mortalidad y de morbilidad, coste del tiempo remunerado y no remunerado, etc.). Así pues, la lógica de la perspectiva social define la utilidad terapéutica a partir de la lógica de la efectividad incremental y el coste de oportunidad (relación coste-efectividad incremental).

Tal como ya señalaba Soto Álvarez¹¹, la definición del VTA no puede limitarse a las condiciones ideales de un ensayo clínico controlado (eficacia, seguridad y calidad), sino que debe extenderse a otros posibles efectos positivos en la salud (calidad de vida relacionada con la salud, cumplimiento terapéutico y persistencia en el tratamiento) o en el bienestar de los pacientes (satisfacción con el tratamiento, preferencias del paciente), así como las posibles ventajas en eficiencia, incluidas las ventajas en productividad laboral. Las 4 dimensiones básicas

^bEn este texto se emplea el término coste-efectividad como expresión general de los resultados de los estudios de evaluación económica al margen de cuál sea el método concreto de evaluación empleado (coste-efectividad, coste-utilidad, coste-beneficio)⁷.

^cDebería resultar innecesario observar aquí que la inclusión en estas escalas básicamente clínicas de criterios seudoeconómicos –como podrían ser el coste farmacéutico por tratamiento y día o el coste por dosis diaria definida– es una práctica que se aleja claramente de la medida de la dimensión del impacto en el consumo de recursos y en la eficiencia, al basarse en una aplicación simple y errónea del análisis de minimización de costes.

del valor de las innovaciones señaladas por el trabajo de Gómez Pajuelo¹⁰ apuntan también en la dirección de adoptar la perspectiva social y alejarse de la perspectiva clínica e individual: la mejora de la salud de las personas, la conveniencia del paciente, el aporte de valor al conjunto de la sociedad y el avance científico-tecnológico.

La utilidad terapéutica, entendida como valor social de las innovaciones, se define de forma incremental respecto a las alternativas de tratamiento disponibles o existentes en el mercado: nuevo no es lo mismo que innovador. La aportación de valor puede darse en ambos lados de la balanza o tan sólo en uno de ellos: en los resultados y/o en la relación coste-efectividad. El hecho que se trate siempre de una medida de carácter relativo o incremental resta utilidad a las medidas de efectividad, comparada con el placebo, y requiere un conocimiento mejor de la eficacia y la efectividad comparada con los tratamientos disponibles para la misma indicación. La necesidad de reevaluación durante el tiempo se impone en la medida que la mejora de la información (eficacia frente a placebo, frente a eficacia, frente a comparadores; efectividad frente a eficacia) permita una estimación más apropiada del valor incremental de las innovaciones. Entre las dificultades que el análisis incremental comporta, se encuentran la elección del comparador (elección, dosis y posología), la selección de pacientes y grupos de riesgo, y otros sesgos en la investigación clínica^{12,13} y económica¹⁴. El valor incremental debe buscarse, en primer lugar, por el lado de los resultados, pero la ausencia de un valor incremental importante por el lado de los resultados (p. ej., en el caso de los denominados *me-too*) no constituye prueba de ausencia de valor o utilidad del nuevo medicamento, si éste presenta una mejor relación coste-efectividad que las alternativas disponibles y/o presenta un potencial importante de fomento de la competencia de precios entre sustitutos terapéuticos. La necesidad de excluir de la financiación pública los sustitutos terapéuticos o *me-too*⁹ sólo se puede sostener si se olvida el potencial para la competencia de precios que supone la existencia de sustitutos terapéuticos.

Resulta un lugar común en el sistema comparado utilizar conceptos y escalas de medida y/o de clasificación de los nuevos medicamentos según su VTA, de carácter discreto (número reducido de categorías⁹) y basadas en la valoración de dimensiones más cercanas a la perspectiva clínica e individual que a la perspectiva social. Desde 1950 hasta principios de la década de 1990, la Food and Drug Administration estadounidense utilizó un sistema de clasificación clínica en 3 únicas categorías que ha experimentado modificaciones sucesivas^d basadas en la eficacia y la seguridad. La Medical

Products Agency (MPA) sueca utiliza la escala de Rosen, en la que se clasifica a los nuevos medicamentos en 8 categorías según su eficacia, comodidad y mecanismo de acción. Al margen de las limitaciones que impone una clasificación discreta en un número muy reducido de categorías, incluso en el caso de las clasificaciones emitidas por agencias independientes (sin implicaciones en el mercado farmacéutico, sea por el lado de la oferta o por el de la demanda)^e, hay un amplio margen para la variabilidad.

En una comparación entre la clasificación de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos introducidos en el mercado entre 1997 y 1999 por una agencia independiente francesa (Gaspard score empleado por *La Revue Prescrire*) y la MPA sueca (Rosen grading system), como motivos principales de las notables discrepancias documentadas en las clasificaciones publicadas por ambas agencias, se señalan¹⁵: a) el valor atribuido a resultados intermedios (variables subrogadas); b) la elección de un comparador más o menos eficaz; c) la comodidad del tratamiento; d) las diferencias en el *timing* de entrada de nuevos medicamentos en cada mercado nacional; e) las diferencias nacionales en la gestión de los problemas de salud; f) la interpretación sesgada o equivocada de los resultados de los ensayos clínicos, y g) la documentación disponible en el momento de adoptar la decisión de clasificación^{16,f}.

En la mayoría de las clasificaciones del valor añadido de los medicamentos de carácter discreto, no tan sólo se limita de forma arbitraria el número de dimensiones que forman parte de la escala de valoración, sino que también se emplean pesos relativos subjetivos y escasamente transparentes para cada dimensión incluida en la valoración y se desdibuja el valor de la magnitud de las variaciones en las dimensiones incluidas¹⁵, a no ser que éstas sean de una magnitud considerable a través de umbrales generalmente no explícitos y subjetivos. La utilización de escalas con valores continuos no está exenta de problemas, como los de agregación, pero permite una aproximación más comprensiva y cercana a la perspectiva social del valor de las innovaciones: desde medidas parciales del resulta-

^eLas clasificaciones emitidas por organismos aseguradores nacionales, que las emplean para justificar políticas legítimas de regulación de precios o de inclusión/exclusión de la cobertura aseguradora pública, carecen de la independencia necesaria en la medida en la que son parte implicada (comprador y regulador), al margen de la necesaria transparencia y rendición de cuentas de los criterios e información empleada para avalar la clasificación.

^fLa comparación de las escalas discretas empleadas por el Ministerio de Sanidad y Consumo (A*: novedad terapéutica excepcional; A: aportación terapéutica importante; B: aportación terapéutica moderada; C: aportación terapéutica nula o muy pequeña; D: sin clasificación) y por el Centro Andaluz de Información del Medicamento (1: novedad terapéutica especial; 2: mejora terapéutica de interés; 3: utilidad eventual; 4: no aporta nada nuevo; 5: experiencia clínica insuficiente) arroja también algunas diferencias destacables para algunos de los 20 principios activos nuevos con un volumen mayor de ventas e introducidos en el mercado entre 1996 y 2003¹⁵.

^dClass A: important therapeutic gain. Class B: modest therapeutic gain. Class C: little or no therapeutic gain.

do (p. ej., número necesario de casos a tratar para evitar una muerte¹¹) hasta medidas agregadas que combinan el impacto incremental en la supervivencia y la calidad de vida (p. ej., los años de vida ajustados por calidad [AVAC]), o bien medidas que combinan el impacto global sobre resultados y sobre costes (la relación coste-efectividad de los estudios de evaluación económica).

En la adopción de decisiones de cobertura y financiación pública, los aseguradores pueden adoptar de forma absolutamente legítima una perspectiva más limitada que la del conjunto de la sociedad. Ello situaría las decisiones de financiación más allá de la simple inclusión/exclusión de la cobertura y abriría margen objetivo para la inclusión dentro de la cobertura con una aportación financiera (copago) a cargo del paciente en función de la efectividad relativa del medicamento y de su relación coste-efectividad incremental. Así, por ejemplo, un seguro público puede establecer una disposición a pagar reducida o incluso nula por el valor del medicamento relacionado con la simple mejora de la comodidad en la administración del mismo, como podría ser el caso de las formas de liberación prolongada o retardada de un principio activo, pero sí podría manifestar una disposición a pagar positiva por la potencial mejora en la adherencia terapéutica (copagos diferenciales y evitables).

Innovaciones regulatorias en el sistema comparado (UE)

Existe amplia evidencia de que la financiación eficiente de innovaciones farmacéuticas debería estar guiada por criterios objetivos relacionados con la aportación marginal del fármaco a la mejora del estado de salud y a la relación coste-efectividad incremental^{17,18}. Para ello, en lugar de precios inflexibles para toda la vida y establecidos de forma escasamente transparente, resulta extremadamente útil una evaluación objetiva y transparente realizada por una agencia externa independiente de los agentes implicados y especializada que podría incluso ser un Euro-NICE^{19,20}, siendo la decisión de financiación de los aseguradores nacionales o regionales.

La tarea de un Euro-NICE, así como la de agencias nacionales creadas con propósito similar, se enfrenta al

problema de la adaptabilidad o transferibilidad de los estudios de evaluación económica realizados en otros medios. Aunque un estudio sea técnicamente impecable, puede no ser aplicable a nuestro medio por diversas razones (diferencias epidemiológicas entre poblaciones, diferentes estructuras de coste, diferencias en esperanza de vida que afecta al resultado final, etc.)^b. Un Euro-NICE, así como cualquier agencia nacional, tendría que realizar una importante labor de adaptación de sus informes a la realidad sanitaria de cada país. A este respecto, los problemas de calidad de los estudios publicados pueden resultar una dificultad importante: al revisar una muestra de 27 estudios españoles sobre enfermedades infecciosas, Antoñanzas et al²¹ encuentran que 11 de ellos no son transferibles de ninguna manera y el índice global de transferibilidad para los restantes es sólo de 0,54, en una escala entre 0 y 1.

En los últimos años, varios países de la Unión Europea han adoptado medidas tendentes a incorporar la evaluación económica (y los estudios de impacto presupuestario^{22,i}) entre el conjunto de herramientas que guíen las estrategias de adopción y difusión de las innovaciones sanitarias. Cada país ha adoptado diferentes procesos en sus apuestas para insertar la información proveniente de la evaluación económica de tecnologías sanitarias en la toma de decisiones²³⁻²⁵. No obstante, lo relevante es que los conceptos y la cultura evaluadora proveniente de este campo han impregnado a los agentes sanitarios en diferentes ámbitos de decisión. Es el primer paso de un proceso que se debe consolidar y en el que se debería avanzar en los próximos años.

La relación coste-efectividad puede y debe ser una buena guía para la identificación de prioridades relacionadas con la financiación pública de los nuevos medicamentos y tecnologías médicas para un financiador inteligente. Resulta difícil imaginar una aproximación a la valoración de la utilidad terapéutica y del grado de innovación que se encuentre alejada de la medida de la aportación marginal del fármaco a la mejora del estado de salud y a la relación coste-efectividad incremental. ¿Cuál es el valor económico de las mejoras adicionales en el estado de salud que han aportado los cambios tecnológicos en el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades?, ¿qué parte de la mejora en la esperanza de vida y en la calidad de vida es atribuible a la atención sanitaria y a los medicamentos?, ¿valen lo que cuestan los aumentos en el gasto en medicamentos?

^aResulta significativo observar las dimensiones, incluidos los criterios del sistema de clasificación que proponen Ahlqvist-Rastad et al¹⁶ y que sirven como ejemplo de aquéllo que incluyen/excluyen la mayoría de clasificaciones clínicas: a) ¿es el primer medicamento indicado para el tratamiento o la prevención de esta enfermedad?; b) ¿es más efectivo que los medicamentos o tratamientos previos?; c) ¿es más seguro?; d) ¿es más cómodo para el paciente?; e) ¿es menos efectivo?; f) ¿es menos seguro?

^bAl respecto, resulta relevante e interesante el índice general y específico de transferibilidad de los estudios de evaluación económica propuesto por Antoñanzas et al²¹.

ⁱLas decisiones de adopción y financiación de innovaciones que tienen en cuenta el impacto presupuestario, tanto o más que la relación coste-efectividad incremental, deben interpretarse no como un conflicto entre las reglas de eficiencia y las presupuestarias, sino también precisamente como la forma de tener en cuenta el coste de oportunidad para los aseguradores²². No obstante, el análisis de las reglas de decisión basadas en el coste de oportunidad escapan al alcance y el objetivo de este texto.

Los criterios para una priorización transparente, eficiente y equitativa en las decisiones de financiación pública de los medicamentos deben estar guiados por la evidencia sobre la relación entre el beneficio marginal (contribución marginal a la mejora del estado de salud) y el coste marginal del tratamiento completo, (a no confundir con el precio de venta del medicamento). Por ejemplo, mediante el establecimiento de un umbral indicativo de coste por año de vida ajustado por calidad máximo (AVAC). El principal criterio de financiación pública para los medicamentos innovadores (accesibilidad) protegidos por una patente debe ser que el nivel de esta financiación dependa de la eficacia relativa de la innovación y de la relación coste-efectividad. Estos criterios son la mejor expresión de la utilidad terapéutica y del grado de innovación de los nuevos medicamentos.

El marco regulatorio en España: oportunidad para el cambio^{25,j}

En España, más allá de las declaraciones políticas, el marco regulatorio y la voluntad de los decisores sanitarios hasta el momento no ha favorecido el desarrollo de la EEM aplicada a las decisiones de financiación pública de prestaciones sanitarias y a las decisiones de precios de medicamentos y de tecnologías médicas. Más allá del valor secundario y voluntario, tampoco se han favorecido instrumentos y criterios objetivos tendentes a la inclusión del VTA de los medicamentos en la negociación del precio y del nivel de financiación¹¹. Por una parte, aunque la Ley del Medicamento del año 1990 establecía que la prestación de medicamentos por el Sistema Nacional de Salud se debería realizar mediante la financiación selectiva en función de los recursos disponibles (gasto público presupuestado), y, por tanto, dejaba abierta la posibilidad de introducción de la EEM, en la práctica ello no se tradujo en la implementación de un sistema transparente y conocido por administraciones públicas y empresas comercializadoras acerca de lo selectiva que podría llegar a ser la financiación y sobre qué elementos se iba a basar el proceso de fijación del precio.

En el Plan Estratégico de Política Farmacéutica para el Sistema Nacional de Salud (2004), se apostaba claramente por el análisis *farmacoecológico* en varios de sus puntos. No obstante, la Ley de Uso Racional y Garantías de Medicamentos y Productos Sanitarios, de 28 de julio de 2006, no hace referencia explícita alguna a estos términos y, por ello, habrá que esperar al desarrollo reglamentario de la ley para ver si se incorpora la EEM como criterio de peso en la negociación del precio y la

decisión de financiación pública de los medicamentos. Sin duda, la promulgación del reglamento que ordene las funciones de la AEMPS y la creación del llamado Comité de Evaluación de la utilidad terapéutica de los nuevos medicamentos desempeñará un papel clave en esta cuestión.

Por otra parte, no parecería lógico excluir la EEM dentro de las medidas de evaluación de los costes y beneficios terapéuticos de los nuevos medicamentos. Y ello, no sólo por la dinámica europea ya citada, sino por coherencia con la financiación de otro tipo de tecnologías sanitarias. Así, la publicación del Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, por el que se establece la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización, en su artículo 5.1 se señala que: "Para la definición, detalle y actualización de la cartera de servicios comunes se tendrá en cuenta la seguridad, eficacia, eficiencia, efectividad y utilidad terapéuticas de las técnicas, tecnologías y procedimientos, así como las ventajas y alternativas asistenciales, el cuidado de grupos menos protegidos o de riesgo y las necesidades sociales, y su impacto económico y organizativo...". Este texto se matiza y amplía posteriormente en el artículo 6.8 de la Orden SCO/3422/2007, de 21 de noviembre, por la que se desarrolla el procedimiento de actualización de la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud. Por tanto, si se quiere tener en cuenta el criterio de eficiencia como un elemento relevante en la toma de decisiones sanitarias, el equilibrio entre el coste adicional y el beneficio terapéutico adicional tendrá que ser un elemento esencial a la hora de incorporar o no en la cartera de servicios del Sistema Nacional de Salud nuevas prestaciones o mejoras a las ya existentes. No parece razonable que este criterio se aplique a un programa de cribado o a un determinado dispositivo médico y no a un medicamento, sin estar dispuestos a asumir un elevado coste social derivado de la distorsión que supondría tener un sistema con reglas diferentes para la adopción de tecnologías sanitarias en función de su naturaleza (medicamento frente a no medicamento).

Junto a los recientes cambios en el marco normativo nacional, merece destacar otra serie de factores impulsores de la EEM. En primer lugar, aunque hay varias agencias de evaluación de tecnologías sanitarias desde hace años, en los últimos tiempos han crecido tanto en número, como en recursos. A las partidas presupuestarias aportadas por cada comunidad autónoma, habría que sumar la dotación de fondos acordados en la Conferencia de Presidentes y gestionados por la Agencia de Calidad del Ministerio de Sanidad, junto con las crecientes convocatorias de proyectos de evaluación de tecnologías sanitarias y proyectos de investigación del Fondo de Investigaciones Sanitarias convocadas por el Instituto de Salud Carlos III, más las correspondien-

^jEste epígrafe se basa parcialmente en Oliva et al²⁵.

tes a la creación de grupos CIBER y Redes temáticas de Investigación Cooperativa. En suma, recursos y actividad crecientes, si bien es justo reconocer que en España aún no se ha realizado un estudio sobre el impacto de estas agencias en la adopción de nuevas tecnologías, tal como se ha hecho en otros países^{26,27}. El escenario que ofrece el florecimiento de agencias regionales de evaluación en España, ajenas a la existencia de economías de escala en la sistematización y la producción de evidencia científica, ofrece un marco organizativo y regulatorio con un amplio margen para la mejora de las decisiones públicas y para una discusión sobre sus funciones y objetivos que esté más basada en la evidencia.

En segundo lugar, en un contexto de crecimiento del gasto en medicamentos, no ya en términos absolutos, sino como porcentaje del total de recursos sanitarios del Sistema Nacional de Salud –y dada la ambigüedad mostrada por la Administración central desde el año 1990 sobre el papel que ha de desempeñar la EEM–, en varias comunidades autónomas se han creado unidades de evaluación de medicamentos, que han ido incorporando el componente económico cada vez en mayor medida. Fruto de ello ha sido la creación del Comité Mixto de Evaluación de Nuevos Medicamentos compuesto por Andalucía, País Vasco, Navarra, Aragón y Cataluña, cuyo objetivo principal es el análisis de la aportación terapéutica de los nuevos medicamentos.

En tercer lugar, en el medio sanitario, incluso a niveles de microgestión, se comienza a transitar del “todo vale, sea cual sea, a cualquier precio” a plantearse como cuestión relevante “¿vale lo que cuesta?”. El esfuerzo realizado en programas de formación, que incorporan conceptos generales de economía y gestión de la salud o específicos de evaluación económica y los propios cambios en los sistemas de incentivos a prescriptores, va cambiando la mirada de los profesionales y provoca que el discurso de la eficiencia vaya calando. Ejemplo de ello son experiencias como la desarrollada por GENESIS (Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos), dentro de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, que se ha ocupado del desarrollo de guías farmacoterapéuticas que incorporan información relativa a la relación coste-efectividad de los fármacos analizados, así como también la experiencia de la Comisión de Análisis y Evaluación Económica e Impacto Presupuestario del Servicio Catalán de la Salud^{28,k}.

En suma, parece que hay una cierta efervescencia, en parte derivada de mirar a Europa y a otros países, y de observar que sus iniciativas en el empleo de herra-

mientas de evaluación económica se consolidan y contribuyen a reducir la opacidad de la regulación farmacéutica²⁹; y también en parte por el convencimiento de distintos actores del sistema sanitario de la utilidad de estas herramientas. Pero falta culminar esta labor, y, para ello, deben emitirse las señales adecuadas desde el más alto nivel (Consejo Interterritorial).

A modo de epílogo

En España parece conveniente y necesario revisar la clasificación y los criterios para establecer el grado de aportación relativa que supone un nuevo medicamento³⁰. Las comunidades autónomas y el Consejo Interterritorial deberían tomar la palabra y tomar ejemplo de lo que ya existe y funciona en Europa (NICE en el Reino Unido, LFN en Suecia, IQWiG en Alemania, etc.).

En este contexto, las decisiones de autorización y comercialización (seguridad, eficacia y calidad) debieran ser independientes de las de financiación pública (efectividad marginal relativa y relación coste-efectividad incremental). En términos generales, debiera distinguirse el tratamiento regulatorio, a efectos de la financiación pública, de las innovaciones con una elevada efectividad marginal (establecida cada vez más en el ámbito europeo por la European Medicines Agency) del resto (muy numerosas, con una reducida efectividad marginal y con una elevada relación coste-efectividad incremental). Para las primeras, es recomendable establecer la disposición a pagar, por parte de la Administración pública, a partir de criterios relativos al coste/efectividad incremental (“cuarta garantía” de la EEM), al estilo del NICE británico³¹ o, mucho mejor, un NICER (National Institute for Cost-Effectiveness Reviews), tal como propuso Alan Williams³². La omisión de estos aspectos, difícilmente justificable, en el desarrollo de los conceptos clave de utilidad terapéutica y grado de innovación previstos en la Ley 29/2006 no contribuiría precisamente a aproximar el nuevo marco legal español a las innovaciones regulatorias llevadas a cabo en otros países europeos³³.

A estos nuevos medicamentos y tecnologías médicas hay que pedirles no sólo eficacia respecto al placebo, sino también eficacia relativa respecto a los medicamentos con los que va competir o que va a sustituir. La evidencia disponible indica que, en muchos casos, la aportación marginal es muy pequeña, pero, a cambio, el coste es mucho más elevado. La estandarización de los procedimientos de evaluación económica³⁴, el requerimiento y la realización en condiciones de transparencia e independencia de este tipo de estudios para las innovaciones, así como el establecimiento de un umbral indicativo del coste máximo por AVAC que no se debiera superar (p. ej., una especie de “guía” situada alrededor de los 30.000 € por AVAC o un valor análogo mejor fun-

^kLa CAEIP (Comisión de Evaluación Económica e Impacto Presupuestario) del CatSalut (Servicio Catalán de la Salud), cuya atención se ha centrado en la evaluación comparada de los principios activos de los grupos terapéuticos de mayor consumo, constituye una referencia destacable en el contexto del Sistema Nacional de Salud español²⁸.

damentado y flexible, pero representativo de la disposición social a pagar)³⁵, serían actuaciones encaminadas a determinar la disposición pública a pagar en función del valor adicional del medicamento y a proporcionar indicaciones eficientes a la actividad investigadora.

La principal virtud de los trabajos de Espín Balbino⁹ y Gómez Pajuelo¹⁰ sobre el concepto, la medida y la utilización de la utilidad terapéutica de los medicamentos consiste en aportar argumentos teóricos y aplicados, desde la óptica de la experiencia en el sistema comparado, de forma rigurosa y ponderada, a favor de la aplicación de una medida objetiva del valor de la utilidad terapéutica en la toma de decisiones de precios y financiación de medicamentos, a fin de favorecer un uso más racional y más eficiente de los recursos públicos.

Abordaje cualitativo: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión*

Concepto y aplicación de la utilidad terapéutica de medicamentos y otras tecnologías sanitarias en España: análisis del discurso a partir de los grupos de discusión

Este epígrafe recoge los resultados de un análisis cualitativo de las opiniones de expertos procedentes tanto del mundo académico, como de la política y la gestión sanitarias acerca de la noción de *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias en España y su aplicación en los procesos de fijación de precio y financiación pública de ellas. La bondad de este ejercicio es la posibilidad de comparar los resultados presentados en los apartados anteriores de este texto con una visión más vivencial y próxima a la actividad diaria de los expertos consultados. Este contraste debiera permitir que el lector obtuviera una visión suficientemente amplia y exhaustiva de la complejidad que rodea una potencial mayor aplicación práctica del concepto de *utilidad terapéutica* para la evaluación de las actuales y nuevas tecnologías sanitarias que reciben o solicitan reembolso por parte del Sistema Nacional de Salud.

Objetivos

a) Conocer las opiniones y las propuestas de los expertos acerca de la definición, la medición y la aplicación actual y futura de la noción de *utilidad terapéutica* en los procesos de evaluación de las innovaciones y financiación pública de las tecnologías sanitarias en España en su sentido más amplio.

b) Estudiar la viabilidad de una aplicación sistemática del concepto de *utilidad terapéutica* en nuestro sistema sanitario, así como su encaje dentro tanto de su realidad descentralizada, como de las posibilidades de economías de escala derivadas de la posible colaboración en el ámbito de la Unión Europea.

c) Determinar sus preferencias acerca de las características metodológicas de este proceso de evaluación de la *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias a la luz del documento de síntesis previamente elaborado y difundido entre los panelistas.

d) Explorar su percepción acerca de otras características (como la integración de la evaluación económica y el grado de transparencia) del proceso normativo y técnico para la evaluación de la *utilidad terapéutica* de las tecnologías sanitarias.

Metodología

La metodología más frecuentemente empleada para investigar en ciencias de la salud es la cuantitativa o epidemiológica. Sin embargo, en el terreno de las ciencias sociales, se pueden estudiar tanto los hechos y su frecuencia de presentación, como el sentido y la significación de las representaciones y los discursos. Mientras de la primera tarea se encarga la metodología cuantitativa, la segunda corresponde a la metodología cualitativa³⁶. Otra clasificación estima que la investigación cualitativa se centra en desarrollar explicaciones a los fenómenos sociales³⁷.

Los métodos cualitativos ayudan a estudiar las interacciones entre varias personas con un papel relevante ante un asunto de salud pública. Las técnicas cualitativas son una herramienta esencial en el proceso de análisis de cuestiones emergentes o altamente complejas, ya que proporcionan un profundo entendimiento del fenómeno objeto de estudio y contribuyen a la formación de hipótesis. El empleo de técnicas cualitativas es especialmente útil cuando hay una gran carga de significados, estereotipos y prejuicios asociados a la cuestión estudiada. Otra característica de los métodos cualitativos es su flexibilidad, que las convierte en apropiadas para procesos en desarrollo, cambiantes, para investigaciones exploratorias o para tratar episodios imprevistos³⁸.

Las entrevistas grupales se diferencian de las entrevistas individuales en que tratan de aprovechar la dinámica grupal que se genera en la relación para hacer emerger los procesos de construcción conjunta mediante estrategias de confrontación, oposición y divergencia. Hay cierta confusión originada por la utilización de 3 denominaciones diferentes: entrevista grupal, grupo focal y grupo de discusión. Mientras el *grupo focal* pretende enfatizar el carácter focalizado en un tópico específico de una entrevista en un contexto grupal, el *grupo de discusión* (término más usado en la tradición española en métodos cualitativos) pretende reproducir un contexto social

*Autor: Carlos Polanco Sánchez

específico. Hay autores que prefieren la denominación *entrevista grupal* para referirse a una situación de interrogación desarrollada en un contexto de dinámica grupal que pretende emular una conversación cotidiana³⁹.

En el ámbito sanitario, se emplea sobre todo el *grupo focal* que, a diferencia del *grupo de discusión*, no prescinde nunca de un guión de preguntas relacionadas con el objetivo de la investigación que el moderador dirige a los participantes de éste. Así, la reunión grupal se convierte en una entrevista semiestructurada y dirigida que, como la metodología cuantitativa, busca con preguntas las respuestas del grupo. Por el contrario, en un *grupo de discusión* la intervención inicial del moderador debe producir el discurso del grupo, que no será interrumpido con preguntas directas³⁶.

El *grupo de discusión* se centra en la visión colectiva sobre el problema de estudio, a la vez que posibilita la recuperación del contexto social y cultural de los fenómenos estudiados⁴⁰. Se trata de un método de investigación cualitativa que emplea discusiones grupales dirigidas a generar información sobre experiencias y creencias⁴¹.

El moderador de la reunión, además de ser el representante del poder y la instancia investigadora, se convierte en una especie de "conmutador de la circulación"⁴². Debe conceder el turno a las intervenciones de unos y otros participantes, pero, sobre todo, dar paso a unos temas y cerrar otros poco o nada relacionados con los objetivos de la investigación.

Se aconseja que cada proyecto de investigación cuente con más de un grupo focal, ya que un único grupo estaría sujeto a factores internos y externos, de los que el investigador no es consciente, y sesgaría el análisis³⁷.

El tamaño recomendado de los grupos focales es de entre 6 y 10 personas, ya que un número menor limita el potencial de información colectiva, y uno superior dificulta la participación e interacción de todos los miembros^{37,42}. Los participantes deben tener características homogéneas e, idealmente, no conocerse previamente entre sí⁴³. Sin embargo, en investigaciones como la presente, asumir que los participantes no se conozcan previamente implica dejar de reconocer que estos estudios se llevan a cabo en contextos sociales y culturales muy específicos⁴⁰. El criterio opuesto aparece en autores que creen favorable que los miembros del grupo tengan características en común, y que el hecho de que se conozcan o no previamente puede suponer tanto ventajas, como inconvenientes para la investigación³⁷, como el riesgo de que la existencia de un cierto sesgo o perspectiva común en un grupo limite el potencial de información.

Grupos de discusión para el análisis de la utilidad terapéutica

A la luz de los objetivos anteriormente citados y las características expuestas de las distintas técnicas cuali-

tativas de investigación, se consideró que el diseño más adecuado para analizar el valor y el potencial del criterio de utilidad terapéutica contextualizado a las características sociales y culturales de nuestro sistema sanitario era la realización de un grupo de discusión. Esta técnica debería fomentar la interacción del grupo y permitir la exploración de los temas de mayor relevancia para los participantes.

Para esta elección, se valoró especialmente la posibilidad que los participantes replantearan el tema de estudio y se adentraran en direcciones no esperadas que finalmente resultarían muy significativas. El equipo investigador trató de no limitar la expresión de los conocimientos y la experiencia de los participantes a meras respuestas sesudas ante preguntas muy directas. El moderador, con experiencia en proyectos similares, otorgó un turno de palabra inicial a cada uno de los participantes, para enseguida comenzar con las comunicaciones cruzadas sobre preguntas concretas hasta su agotamiento. Se siguió un guión (ver anexo 2), sin que ello impidiera que se lograra un ambiente permisivo y poco directivo, que mantenía el carácter estrictamente confidencial y anónimo de cada intervención.

El primer grupo estaba constituido por 7 panelistas procedentes del mundo académico y la macrogestión sanitaria (direcciones generales de farmacia y servicios de evaluación de tecnologías sanitarias), y su reunión tuvo lugar el 19 de noviembre de 2008. El segundo grupo contaba con 6 panelistas de la microgestión y la mesogestión sanitaria en España, y se reunió el 11 de diciembre de 2008. Las características de los integrantes de ambos grupos fueron la experiencia en el tema objeto de estudio y su relevancia académica y/o política (ver anexo 1).

Cada participante en cualquiera de los 2 grupos recibió, con la debida antelación, el documento de síntesis *De la utilidad terapéutica de los medicamentos a la valoración de su efecto incremental en la salud*, elaborado por Jaume Puig a partir de escritos de Pedro Gómez y Jaime Espín. Más allá de la acogida muy favorable de este documento por parte de los panelistas, éste sirvió para centrar los distintos conceptos, preguntas y respuestas que surgieron durante las discusiones.

Cada reunión duró más de 3 h y, a partir de la grabación de éstas, se realizó su transcripción³⁷. Esta técnica permite anotar información importante y citas textuales en los casos en que la transcripción de las reuniones queda desincentivada por su excesiva duración (se estima que la *ratio* de tiempo necesario para transcribir entrevistas es de 5:1). Estas notas se cotejaron con las que tomó el equipo investigador durante la celebración de las reuniones. Posteriormente, se analizó el grado de consenso y disenso sobre los diferentes temas tratados, y se comprobó que esta interacción grupal genera comentarios más críticos que otras técnicas, como la entrevista individual.

Resultados

El discurso de los expertos reunidos acerca del valor actual de la utilidad terapéutica, así como su implantación en un futuro potencial como criterio en los procesos de autorización y financiación pública de las tecnologías sanitarias en el Sistema Nacional de Salud español, incluye aspectos tanto normativos como técnicos, así como las características que podrían tomarse de otras experiencias internacionales y las peculiaridades que es necesario considerar antes de cualquier acción.

Utilidad terapéutica como valor relativo

En ninguna de las reuniones se alcanzó una definición consensuada y precisa de lo que se entiende por *utilidad terapéutica*: “Todo producto químico que mejora la salud, la calidad de vida, los síntomas, la adherencia, reduce los efectos adversos...”; “Todo medicamento que aporta alguna de estas ventajas es útil terapéuticamente: algunos sólo mejoran la farmacocinética”. Ni siquiera se puede afirmar que sea un valor intrínseco al tratamiento: “Utilidad no es la misma para todos (...) Existen factores que intervienen en esa utilidad y ayudan al paciente a percibirla mejor (como, por ejemplo, el menor precio)”.

Los participantes sí tenían claro que la relación entre utilidad y eficacia debía partir de una medida real de eficacia en práctica clínica (efectividad). Los datos procedentes de ensayos clínicos o comparaciones respecto a placebo no permiten alcanzar conclusiones en términos de utilidad terapéutica. Hay grupos de pacientes, como pueden ser los que acuden a cualquier consulta de atención primaria, que difieren en buena manera de las características de los pacientes incluidos en los ensayos clínicos. Esto no implica que estos ensayos no sean necesarios para evaluar las innovaciones terapéuticas en la fase de preautorización, sino que sus resultados no se trasladan a la práctica médica. En este sentido, repetidas veces aparece la idea de permitir una ventana de 3-5 años después de la comercialización del tratamiento para evaluar su efectividad en pacientes no escogidos. No resulta congruente que “en esa ventana en la que aún se desconoce la efectividad, se estén tomando decisiones”.

Un concepto frecuente en las discusiones fue el de *utilidad social* (“lo que percibe el paciente que le aporta la nueva terapia”). Pero este valor social está también sujeto a factores políticos y de otra índole: “La utilidad es un valor social variable”. Incluso esta definición puede variar según la especialidad médica (“en oncología, el valor terapéutico es lo que diga mi oncólogo”). Una voz pide que al discutir acerca de la utilidad terapéutica no se olvide la utilidad social y la utilidad políti-

ANEXO II. Guía empleada en los grupos de discusión

Preguntas planteadas al primer grupo de discusión (nivel macrogestión)

1. ¿Qué se entiende por utilidad terapéutica?
2. ¿Cómo debería medirse?
3. ¿Quién debe valorarla?
4. ¿Para qué fines debería emplearse la valoración de la utilidad terapéutica?
5. ¿Cuáles pueden ser las consecuencias de la aplicación de la utilidad terapéutica en la financiación pública de medicamentos?
6. ¿Para qué sirve?
7. ¿Debe haber una metodología estándar a nivel europeo para medir la utilidad terapéutica o debe tener cada Estado miembro sus propios criterios?

Preguntas planteadas al segundo grupo de discusión (niveles de mesogestión y microgestión)

1. ¿Debe aplicarse el concepto de utilidad terapéutica para otras decisiones que vayan más allá de la financiación pública de medicamentos?
2. ¿Qué elementos deben incluirse en el concepto de utilidad terapéutica?
3. ¿Para quién es útil el desarrollo de este concepto en la práctica?
4. ¿Debe integrarse la evaluación económica en la valoración de la utilidad terapéutica o deben mantenerse ambos conceptos separados?
5. ¿Cómo se podría establecer un sistema transparente que permitiera valorar la utilidad terapéutica de los medicamentos?
6. ¿En qué momento habría que proceder a la valoración de la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento?
7. ¿Cree que la utilidad terapéutica se relaciona con los umbrales de coste máximo por años de vida ajustados por calidad?

ca: “Actualmente disponemos de recursos terapéuticos suficientes para tratar bien las enfermedades actuales, y están financiados públicamente. Si aparecen nuevos tratamientos que no aportan nada, o todos los comités se equivocan o la industria pretende obtener valor a partir de algo que no lo aporta (...). A pesar de existir consenso acerca del tratamiento de muchas enfermedades, la industria aporta innovaciones incrementales: todo lo nuevo debe ser evaluado con criterios exhaustivos. Autorizar no supone un problema, pero sí financiar”. A este respecto, los panelistas coinciden en que no se puede confundir el proceso de autorización de una innovación con su financiación pública, si bien en la actualidad “se financia casi todo lo que se autoriza”.

En este sentido, se formula una pregunta acerca de esta elevada correlación entre las decisiones de los procesos de autorización y financiación por parte del sistema público: “¿Todo lo eficaz es útil?”. ¿Basta con demostrar que una tecnología sanitaria cumple con los requisitos de seguridad, calidad y eficacia para considerarla útil para la población general o para un determinado grupo de pacientes? Responder esta pregunta implica *revisitar* la sentencia de Archie Cochrane, “todo tratamiento efectivo debe ser gratis”⁴⁴. Desafortunadamente, en la actualidad no todo lo que es efectivo y se financia públicamente podrá ser abordado con cargo a presupuestos públicos. Es por ello que, y con cierto sesgo utilitarista, es necesario encontrar alguna fórmula que permita emplear las intervenciones efectivas de manera que los recursos económicos de que dispone el sistema sanitario público sirvan para optimizar el estado de salud de la población⁴⁵.

También se aportó una visión más exhaustiva de la *utilidad terapéutica*, que considera que una innovación debe evaluarse según los criterios de maximización de la efectividad, de minimización de los riesgos y los efectos adversos, si se tiene en consideración la decisión del paciente y, por último, contribuye al control del gasto sanitario.

Si se trata de evaluar la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento, habrá que tener siempre en cuenta que la prestación farmacéutica es muy valorada por la población, que acepta muy mal cualquier desigualdad autónoma en materia de financiación pública, y, por lo tanto, los poderes públicos siempre tendrán que plantearse qué es lo que aporta al paciente el nuevo medicamento objeto de evaluación (“la prestación farmacéutica es de las más valoradas por los pacientes en el sistema sanitario público; sin embargo, hay dudas acerca de lo que aporta”).

No obstante, sí hubo consenso en estimar que el concepto de utilidad terapéutica es una categoría relativa, por cuanto la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento viene a suponer su valor diferencial respecto a la terapéutica farmacológica y no farmacológica utilizada hasta el momento en una indicación clínica determinada.

Hay unanimidad en considerar que el concepto de utilidad terapéutica se correlaciona directamente con el de innovación, aunque dejando claro que nuevo medicamento no quiere decir necesariamente medicamento innovador, y que no todo medicamento innovador aporta utilidad terapéutica.

Su medición: potencial de la historia clínica electrónica y las tecnologías de información y comunicaciones

Los panelistas mostraron sus dudas acerca de la posibilidad de que, a partir de ensayos clínicos (“limitado tamaño muestral, pacientes de riesgo bajo”) con pacientes seleccionados según sus características, puedan extraerse conclusiones en términos de utilidad terapéutica. Los ensayos clínicos están sujetos a una serie de problemas, como su escasa aplicabilidad en procesos clínicos complejos, su corta duración, y el estar realizados en pacientes colaboradores y sin comorbilidad, todo lo cual redundaría en una aplicabilidad clínica limitada^{46,47}.

Esta percepción no parte sólo de las diferencias entre los pacientes estudiados y los reales en la práctica terapéutica, sino también de hechos como que, en los ensayos, los nuevos tratamientos se suelen analizar “uno contra uno”, mientras que en la realidad se suelen emplear combinados con otros tratamientos. El problema es que no se posee, y ni siquiera se plantea, el papel terapéutico de la innovación englobado en una visión transversal del proceso asistencial que incluya tanto la atención primaria como la hospitalaria y la sociosanitaria en clave de *disease management*.

Asimismo, es frecuente emplear variables intermedias de resultados en salud (“faltan variables duras”). Recordemos que el uso de variables intermedias o subrogadas como medida de resultado está justificado sólo cuando el efecto de una intervención en un resultado clínicamente importante requiere un tiempo de seguimiento muy prolongado y un número elevado de pacientes. Además, la utilización de estas variables intermedias comporta varias limitaciones: para que puedan considerarse adecuadas deben presentar una asociación fuerte, fundamentada en diferentes estudios independientes, con el resultado clínicamente relevante. Asimismo, deben existir evidencias a partir de ensayos clínicos aleatorizados bien diseñados de que la mejora en el resultado intermedio conduce a una mejora en el resultado clínicamente relevante⁴⁸.

Otra limitación es la interpretación difícil y la comparación reducida de un *ratio* coste-efectividad basado en variables intermedias (“¿Qué pasa por un cambio de 3 puntos de glucosa? ¿Cuánto es razonable que cueste ese cambio?”). Algunos participantes indican que observan una utilización mayor de variables finales en la investigación clínica.

Así, podemos concluir que, en opinión de los expertos consultados, parece sumamente complicado poder comparar y observar la utilidad terapéutica marginal de un nuevo medicamento en relación con otros medicamentos utilizados en el tratamiento en indicaciones clínicas similares.

Un motivo esgrimido para la medición de los resultados a partir de variables intermedias son los deficientes sistemas de información sanitaria. Para ser implantado, cualquier mecanismo de evaluación requiere de fuentes de información apropiadas que reduzcan la incertidumbre. Esta carencia⁴⁹ se agravó tras la descentralización administrativa del sistema sanitario público y dio lugar a iniciativas que recopilaban y analizaban esta información dispersa⁵⁰. Cualquier evaluación de una tecnología, programa o sistema sanitario requiere de sistemas de información que permitan medir su rendimiento. De este modo, esta carencia técnica podría limitar de facto cualquier intento de implantación de un criterio de evaluación de la innovación (como la *utilidad terapéutica*) en nuestro sistema sanitario.

Diversos panelistas muestran su convencimiento de que en los próximos años la generalización de la utilización de historias clínicas electrónicas permitirá controlar mejor la utilización en la práctica clínica de nuevos medicamentos, lo que sin duda simplificará y favorecerá la realización de estudios que evalúen la utilidad terapéutica de los medicamentos (“este sistema se basa en la disciplina del prescriptor y ya contamos con una experiencia piloto: se podrá medir el grado de cumplimiento de la indicación. Es necesario depurar el sistema, pero en un plazo de 3 años se podrá tener información y resultados importantes”). Esta visión no es unánime, y algún participante mostró su escepticismo acerca de un avance tan rápido de la historia clínica electrónica, que podría demorarse más de una década.

Otra opinión considera que si bien “los sistemas informáticos jugarán a favor del sistema, la herramienta más impopular, pero útil, es el visado: es el uso más ajustado a la indicación autorizada. El poder reflejar la indicación en la prescripción electrónica tendrá el mismo efecto que el visado”.

Evolución de la indicación, financiación selectiva y *me-toos*

El tema del uso ajustado a la indicación lleva a discutir acerca del fenómeno de evolución de la indicación⁵¹, empleado originariamente para los fármacos biotecnológicos. Esta circunstancia tiene implicaciones importantes, ya que la indicación inicial de la innovación se suele centrar en un grupo reducido de pacientes, tanto por su escaso impacto presupuestario, como porque éstos presentarán mejores resultados de eficacia. Una vez

introducido el fármaco en el mercado, puede avanzar hacia grupos mayores de pacientes mediante la aprobación de indicaciones adicionales o mediante el fomento de una observancia más relajada de las condiciones impuestas para su prescripción. Entonces puede suceder que el impacto presupuestario asociado al fármaco multiplique al estimado inicialmente por las autoridades, o que su extensión a otros grupos de pacientes se traduzca en ganancias cada vez mejores en resultados en salud.

Hay consenso sobre la necesidad de evaluar la eficiencia del producto para cada una de las indicaciones. Estas consideraciones son consistentes, por ejemplo, con la práctica del NICE de evaluar cada nueva tecnología para cada una de las posibles indicaciones y cada subgrupo de pacientes.

Un argumento empleado es que, con la extensión de las indicaciones, “la utilidad decrece de forma significativa al llegar a poblaciones de riesgo bajo”. De este modo, la efectividad marginal es distinta según la indicación. Incluso es necesario reconsiderar el coste del comparador empleado, ya que en la fijación de su precio no se emplearon criterios de utilidad terapéutica. Es decir, “se trataría de una comparación sesgada, ya que el diferencial de precio para la innovación no refleja la utilidad incremental, sino el efecto de las estructuras administrativas”.

Estas consideraciones de precio conducen a otra reflexión: ¿Cómo evaluar los *me-too*? Se trata precisamente de los fármacos que no aportan ningún valor terapéutico respecto a las opciones ya disponibles. Sin embargo, no se alcanza un consenso acerca de este punto, porque algún participante valora las propiedades de los distintos excipientes y los respectivos perfiles de seguridad de cada fármaco: “Cada medicamento, en sí mismo, puede considerarse un tesoro”. “Discrepo: eso no ocurre con los *me-too*.” “Hay reacciones adversas a algunas presentaciones de un principio activo, pero no a otras: 2 fármacos no son idénticos”.

Fármacos frente a otras tecnologías sanitarias

Vuelve a presentarse la dicotomía entre fármacos y otras tecnologías sanitarias, y en este caso parece que se pueden extraer enseñanzas de la evaluación de los dispositivos médicos: “La evaluación de tecnologías sanitarias no farmacéuticas realiza análisis de seguridad y eficacia, y evalúa tanto la efectividad como la eficiencia. Existe la posibilidad de una introducción tutelada y controlada en un primer centro hospitalario, de modo que hasta que no se demuestre la eficiencia, no se extiende su uso a otros centros. Esto para mí supone una diferencia abismal respecto a las decisiones que se toman acerca de los fármacos.”

Esta dicotomía también tiene una vertiente normativa, ya que “para los dispositivos médicos, la decisión queda en el ámbito autonómico: existe un precio libre y no intervenido”. Por otra parte, lo habitual es que la introducción de un nuevo dispositivo suponga la sustitución del empleado hasta entonces. Vincular esta realidad con la comentada recientemente de los *me-toos* lleva a reflexiones como “el nuevo fármaco debería bajar el precio del grupo, como ocurre con los dispositivos”. La ausencia de un precio libre para los tratamientos farmacológicos, junto con prácticas como el reconocimiento del precio del país donde se financió inicialmente o la asimilación con el fármaco innovador que obtuvo un precio que reconocía el mismo perfil, llevan a que se acumulen alternativas terapéuticas con un mismo coste para el sistema sanitario. Hay panelistas que encuentran más atractiva cierta libertad en los precios o que el fármaco *me-too* no tenga necesariamente el mismo grado de financiación pública que el medicamento innovador que le precedió.

Papel de las agencias: ¿evaluadoras y/o decisoras?

Parece que hay consenso en que se debe desligar la aprobación técnica de un nuevo medicamento de su financiación pública, debido a que esta última no se basa exclusivamente en decisiones técnicas, sino que las decisiones políticas pesan tanto o más que las primeras. En efecto, un mismo órgano que evaluara y financiara se encontraría con un conflicto de intereses. Pero la separación de estas funciones en distintas agencias contribuye a la actual multiplicidad de agencias (p. ej., regionales de evaluación de tecnologías sanitarias). Por ello, sería deseable la separación a nivel funcional (evaluación frente a financiación), pero también un avance en la integración (o al menos coordinación) a nivel territorial.

Un punto en el que parece haber un acuerdo prácticamente total entre todos los expertos consultados es que, desde un punto de vista regulatorio, el ente que lleve a cabo una evaluación técnica de eficacia, seguridad y calidad no debería determinar si el nuevo medicamento en cuestión es útil o no desde un punto de vista terapéutico, porque la evaluación económica debe mantenerse desligada de la evaluación clínica y farmacológica. En la práctica, ello supondría desligar completamente la evaluación clínica y farmacológica a realizar por la AEMPS de la evaluación farmacoeconómica, cuya responsabilidad recaería en principio en la Dirección General de Farmacia, que debería fijar el precio del nuevo medicamento y su financiación por el Sistema Nacional de Salud.

Los panelistas consideran que ni la AEMPS, ni la Dirección General de Farmacia tienen recursos humanos suficientes para llevar a cabo todas sus tareas enco-

mendadas, y que es fundamental el concurso de expertos externos independientes. En consejerías como la del País Vasco, “el financiador no evalúa: son funciones separadas”. Sin embargo, esto genera un problema, como es la falta de economías de escala ante la multiplicidad de organismos evaluadores de tecnologías sanitarias, por lo que se aboga por un órgano nacional o una coordinación entre evaluadores regionales. Siempre hay un momento para reflexionar acerca de cómo lo hacen en Inglaterra y Gales, donde el precio es libre y el NICE sólo evalúa. Según indica un participante, su repercusión se debe al explícito apoyo público con que contó desde su creación.

Ministerio de Sanidad, Ministerio de Economía y Ministerio de Innovación y Ciencia

La reciente situación del Instituto de Salud Carlos III y su vinculación al Ministerio de Innovación y Ciencia tuvieron su presencia en las reuniones. Algún panelista plantea si, en el contexto de la antes citada división de funciones de evaluación, no debería de incluirse un órgano de asesoramiento como el Instituto de Salud Carlos III, dependiente ahora del Ministerio de Innovación y Ciencia.

También se planteó el papel del Ministerio de Economía en la toma de decisiones acerca de innovaciones terapéuticas: “Primero se registra la innovación en los países con mayor nivel de precios o donde tienes la casa matriz”. “Esto ya sucedía en la década de los ochenta.” “Todo acaba como un sistema de reconocimiento mutuo.”

El peso que se otorga a consideraciones como el nivel de empleo del fabricante en el país en el que se negocia el precio contrasta con las peticiones de basar el sistema en la utilidad terapéutica, e incluso con la legislación vigente. Si bien tanto la Ley del Medicamento (25/1990, de 20 de diciembre) como la Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios (29/2006, de 26 de julio) citan la “utilidad terapéutica y social del medicamento” como un criterio general, objetivo y publicado para la financiación pública, en la práctica la consideración de la utilidad terapéutica en la negociación ha sido muy limitada.

De este modo, se percibe la necesidad de una aplicación transparente y estandarizada de los criterios listados:

- Gravedad, duración y secuelas de las distintas enfermedades.
- Necesidades de ciertos colectivos.
- Utilidad terapéutica y social del medicamento.
- Limitación del gasto público destinado a la prestación farmacéutica (en la Ley de 2006 se sustituye “limitación” por “racionalización”).

- Existencia de medicamentos ya disponibles y otras alternativas mejores o iguales para las mismas afecciones a precio menor o coste de tratamiento inferior (en la ley de 2006 dice solamente “Existencia de medicamentos u otras alternativas para las mismas afecciones”).
- El grado de innovación del medicamento (criterio introducido en la Ley de 2006).

Por tanto, se puede concluir que, en España, el peso político es mucho más importante que el peso técnico a la hora de evaluar y financiar nuevos medicamentos.

Contratos de riesgo compartido

Hemos visto que las innovaciones farmacológicas llevan asociado un importante grado de incertidumbre acerca de su impacto presupuestario, su efectividad y la relación coste-efectividad. Un objetivo de la política farmacéutica es corresponsabilizar a la industria en la sostenibilidad del gasto y en los resultados en salud⁵². Frente a los mecanismos clásicos (decisiones de inclusión o exclusión de la financiación pública de las innovaciones farmacológicas), en la actualidad se dispone de herramientas más eficientes para racionalizar el gasto que la mera introducción de visados.

Una propuesta que contó con apoyos en ambas reuniones fueron los acuerdos de riesgo compartido (*cost-sharing*) para el seguimiento del primer período de uso de una innovación y, a partir de esta evaluación de su efectividad, volver a acordar las condiciones de financiación por parte del sistema público. La experiencia del NICE británico, con un tratamiento para el mieloma múltiple, ha tenido mucha repercusión: mientras unos panelistas consideran apropiada esta solución de autorizar en “dos vueltas” (“la primera si se cumplen los requisitos de seguridad, eficacia y calidad, y la segunda después de 3-5 años de evaluación de la utilidad terapéutica en la práctica real”), otros lo encuentran “complicado de implantar.” En cualquier caso, esta experiencia no sólo tiene interés por el nuevo procedimiento, sino también, como recalca un participante, porque se trata de una innovación verdadera, que evita fracturas en los pacientes.

Esta solución responde a las demandas de una toma de decisiones basada más en evidencias de efectividad, y a un deseo de pasar de datos procedentes de ensayos clínicos a otros extraídos de la práctica clínica. Otra bondad de este sistema es que podrá informar en mejor medida a los ejercicios de evaluación económica, al proporcionar evidencia acerca de tanto el consumo de recursos real, como de la efectividad.

Los contratos de riesgo compartido presentan oportunidades para ambas partes: el financiador traslada la innovación a los pacientes sin exponerse al crecimiento descontrolado de los costes, como consecuencia de la

extensión de las indicaciones más allá de las definidas en el contrato. El productor evita quedar excluido de la financiación pública y puede planificar sus previsiones de comercialización, costes y beneficios. Ambas partes pueden colaborar en la estimación de la efectividad real del producto en condiciones concretas de aplicación mediante el diseño de contratos rigurosos no limitados a las muestras habituales en los ensayos clínicos⁵³.

Papel de la evaluación económica

Los panelistas estiman fundamental evaluar el *ratio* coste/efectividad incremental, no sólo a la hora de estudiar un nuevo medicamento, sino también en la reevaluación de los ya existentes en la práctica clínica. Esta noción incremental coincide con sus indicaciones previas de que la utilidad terapéutica es un concepto relativo, que parte de la comparación respecto a la práctica habitual. No obstante, consideran que hoy por hoy la disquisición es un tanto teórica y su puesta en práctica, extremadamente difícil. Persisten las dudas acerca de algunos de los supuestos que subyacen a conceptos como los AVAC y sus implicaciones éticas.

Los panelistas estiman que la introducción de costes máximos por AVAC puede provocar retrasos en la toma de decisiones en relación con la financiación pública de nuevos medicamentos, y que puede resultar muy comprometido, políticamente hablando, llegar a consensos sobre costes máximos por AVAC. Surgen soluciones intermedias que indican tomar el umbral por AVAC como el precio máximo financiado públicamente, de modo que el paciente pueda asumir el resto del coste si desea emplear el nuevo tratamiento. Esta solución técnica o teórica es difícilmente implantable en España, ya que “estamos acostumbrados a que la prestación farmacéutica sea gratuita”.

Hay un escepticismo generalizado en relación con los estudios de farmacoeconomía realizados y/o patrocinados por la industria farmacéutica, pero al tiempo se reconoce la extrema dificultad para llevar a cabo este tipo de estudios por parte de expertos independientes sufragados con fondos públicos (la supuesta independencia de los poderes públicos podría ser el tema de otro debate).

Esta reticencia acerca de los criterios y los métodos empleados en los ejercicios de evaluación económica promovidos por la industria farmacéutica es paralela a la citada anteriormente acerca de los resultados de los ensayos clínicos. No se trata sólo de que los estudios farmacoeconómicos se nutran de la cuestionada información obtenida en ensayos clínicos, sino también de los supuestos que añade y lo costoso que resulta revisar de forma exhaustiva los modelos para la evaluación económica. Se proponen modelos de colaboración como los observados en otros países: que la agencia encargue

un estudio de evaluación económica y lo compare con el que le facilita el fabricante (“no se puede encargar la evaluación al fabricante”), o que exista colaboración internacional dada la adaptación de un modelo para distintos países (“en la industria, la matriz facilita el modelo y las filiales nacionales lo adaptan”).

En cualquier caso, se sigue percibiendo la evaluación económica como una “asignatura conceptual pendiente” del sistema y sus profesionales. Si bien se ha producido un avance considerable en los últimos años, es un campo que depende mucho del voluntarismo de profesionales interesados. Por último, también se apunta que el proceso de evaluación de la nueva tecnología retrasaría enormemente la decisión de la financiación o no de la innovación.

Necesidad de transparencia

Los expertos reunidos no acaban de ver la aplicación práctica de lo que sustenta la utilidad terapéutica de un nuevo medicamento en relación con su financiación. En general, se considera que el sistema español de autorización y fijación de precios es opaco y que no parece racional el modo de fijar precios en España, por lo que se considera clave alinear los intereses públicos con los de la industria farmacéutica en la búsqueda de soluciones a los medicamentos que realmente añadan valor (como en los citados acuerdos de riesgo compartido).

Hay una unanimidad razonable en considerar que el Ministerio de Sanidad y Consumo no está siguiendo una línea transparente de actuación en materia de evaluación y financiación de nuevos medicamentos. Anteriormente se mencionaron el peso de factores políticos en las decisiones, así como las consideraciones macroeconómicas en la negociación de la financiación pública para una innovación terapéutica.

Si los mecanismos de decisión fueran transparentes y de dominio público –de tal modo que cualquier empresa o institución implicada pueda conocerlos y reproducirlos–, se eliminaría cierta incertidumbre regulatoria que lastra la inversión y la iniciativa innovadora. En consecuencia, este requisito de transparencia constituiría una de las bases de un sistema idóneo de evaluación de la utilidad terapéutica y garantizaría unas reglas de actuación para todos los agentes del sistema sanitario.

Se recomiendan grados de transparencia mayores en los procesos de evaluación y toma de decisiones acerca de la financiación pública. Pero también se reconoce que es necesario cierto margen de confianza en los criterios y decisiones de la Administración. Si no es posible eliminar la arbitrariedad o la influencia decisiva de elementos no técnicos, al menos que se reduzca de modo que no se sigan produciendo situaciones incoherentes.

Oportunidad de una agencia de ámbito europeo

Recientemente, se propuso la posibilidad que se creara una agencia de evaluación de tecnologías sanitarias de ámbito europeo, y se citaba de modo tentativo la denominación EURICE (European Institute of Clinical Excellence)⁵³. La principal virtud de este organismo sería que se beneficiaría de la existencia de obvias economías de escala de la evaluación en el ámbito europeo, en lugar de los procedimientos habituales a escala nacional. Además, lograría una independencia mayor respecto a los fabricantes de tecnologías. Esta idea para la implantación de la *cuarta barrera* en el ámbito continental tuvo cierta acogida, si bien los autores que la propusieron ya exponían que: “Queda fuera del alcance de la Unión Europea tratar de armonizar las regulaciones de precios de forma que internalizarán el bienestar de los actores implicados: existe poco espacio de maniobra para que la Comisión Europea interfiera en las políticas de precios de los países miembros en virtud de 2 principios consagrados en la Unión Europea: subsidiariedad (el poder ha de ejercerse por la administración competente más próxima al ciudadano) y libre circulación de bienes, que posibilita el comercio paralelo, siendo éste decreciente dada la convergencia de precios entre países de la Unión Europea”.

En cualquier caso, la propuesta era que los informes de esta agencia europea pudieran “orientar las decisiones sobre precios de los financiadores públicos. Incluso cabe contemplar una negociación europea sobre precios aplicable, de entrada, a los países cuyos niveles de renta e instituciones sanitarias sean más parecidos; nada impediría su extensión posterior a otros países de la Unión Europea en la medida que se fuera convergiendo en instituciones, políticas, renta y precios relativos”.

Al ser consultados al respecto de esta posibilidad, los participantes coinciden en mostrar una opinión contraria a que un órgano europeo pueda asumir responsabilidades normativas: hay unanimidad en estimar que una agencia europea de evaluación de tecnologías sanitarias que tuviese entre sus responsabilidades la evaluación terapéutica de nuevos medicamentos no es viable, ya que los países miembros tienen sus singularidades políticas y organizativas y, sin duda, quieren preservar su cuota de autonomía en relación con la financiación pública de medicamentos.

Desde un punto de vista técnico, no se rechaza una propuesta similar, ya que “el 80% de los informes del NICE te valen, el resto puede hacerse localmente”. Esta posibilidad de trasladar las evaluaciones entre distintas poblaciones europeas se ve apoyada por el hecho que, por ejemplo, la industria farmacéutica emplea un mismo modelo para apoyar sus negociaciones en distintos países, con ajustes para reflejar las peculiaridades epidemiológica, normativa y de práctica clínica.

Diferencias entre grupos de discusión

Los apartados anteriores de este análisis han mostrado los principales argumentos y puntos de consenso en los 2 grupos focales celebrados. A continuación, presentamos un resumen de las características propias del discurso de cada uno: el primero, entre académicos, analíticos y gestores en el ámbito de macrogestión; el segundo, formado por mesogestores y microgestores (farmacólogos clínicos, farmacéuticos y médicos).

Así, la principal característica que diferencia a los participantes del primer grupo es la relevancia que otorgan a los factores políticos en su argumentación. Éstos son el motivo de que su definición de *utilidad terapéutica* tienda hacia una *utilidad social y/o utilidad política*, que incluye más consideraciones que una *utilidad* basada únicamente en consideraciones de efectividad e innovación incrementales.

Este rasgo también va asociado con cierta defensa de los recursos terapéuticos actuales como *status quo*, una situación alcanzada tras mucho trabajo y que se complica, sobre todo en términos de coste, con cada nueva decisión de autorización y financiación pública de una tecnología (especialmente si no tiene un marcado carácter innovador).

El discurso de los participantes en el primer grupo de discusión sitúa a los pacientes como principal *objetivo* y beneficiarios de las decisiones de inclusión/financiación, proceso en el que la negociación con la industria proveedora de innovaciones aparece como un instrumento para alcanzar este fin.

Estas consideraciones no pueden llevarnos a concluir que los macrogestores obvian los factores técnicos en la toma de decisiones, sino que son conscientes y admiten que el proceso no puede abstraerse de estos factores políticos. Incluso en un momento de la discusión se reclama que el afán de transparencia en los procesos de toma de decisiones no puede acabar con cierto reducto de discrecionalidad necesario para la gestión a este nivel.

Por su parte, el discurso de los participantes en el segundo grupo de discusión tiene en menor consideración estos factores políticos y discute con más profundidad los aspectos técnicos relativos a la *utilidad terapéutica*. Esta diferencia entre grupos es tenue, por cuanto en ambos se discutió acerca de aspectos como la brecha entre eficacia y efectividad, la aplicabilidad de los resultados obtenidos en un ensayo clínico, variables intermedias frente a variables finales, la separación necesaria entre las decisiones de autorización de comercialización y las de financiación pública, o los potenciales sesgos en los estudios de evaluación económica de tecnologías sanitarias.

Sin embargo, en este grupo se percibe una cercanía mayor con la realidad de los profesionales sanitarios, tanto como vínculo principal con los pacientes, como

por su responsabilidad en la utilización de las nuevas tecnologías. Y de este análisis surge la discusión acerca de la viabilidad y las ventajas de una historia clínica electrónica única y compartida, así como de su comparación con los actuales visados de inspección.

Otros temas en los que los participantes de este segundo grupo debatieron hasta llegar a un nivel de detalle técnico fueron: la multiplicidad de agencias evaluadoras de tecnologías sanitarias y los contratos de riesgo compartido como solución para la adopción de innovaciones hasta que se disponga de información acerca de su efectividad. Ambos grupos trataron los requisitos de evidencia para la toma de decisiones en el ámbito sanitario, y sus actuales limitaciones, pero fue en el segundo grupo donde se abordó este tema con un nivel de detalle mayor, e incluso se facilitaron referencias bibliográficas para sustentar las distintas posturas.

Estas diferencias pueden entenderse como atribuibles al distinto perfil de los profesionales convocados a cada uno de los grupos, y en ningún caso supuso que cada reunión tratara temas distintos. En realidad, se trata de una diferencia de matices y del distinto peso que ambos grupos dieron a los factores técnicos y políticos en su análisis. Estas diferencias se plasman principalmente en la definición de *utilidad terapéutica*, que por su difícil concreción se presta a esta variabilidad. En consecuencia, las conclusiones que se presentan a continuación recogen lo aportado en ambos grupos y son perfectamente válidas para sintetizar lo expresado en ellos.

Conclusiones

1. Hay unanimidad en que la definición consensuada de utilidad terapéutica debe estar asociada a 2 vertientes: la efectividad (en lugar de datos de eficacia) y la marginalidad (por cuanto es una variable relativa, procedente de la comparación de una innovación con la práctica habitual en el presente).
2. Es deseable un mayor peso del criterio de utilidad terapéutica en los procesos de financiación pública.
3. Hay consenso en la necesidad de separar los procesos de autorización de comercialización y los de financiación pública: no toda innovación autorizada debe contar con financiación pública.
4. Debe avanzarse en la transparencia de los procesos de financiación pública de las innovaciones terapéuticas. Resulta improbable eliminar los factores sociales y políticos, y se reconoce cierto margen de actuación necesario para la Administración.
5. Es necesario desplazar el momento en el que se evalúa la utilidad terapéutica para cumplir con el requisito de emplear datos de efectividad: una evaluación antes de la introducción en la práctica clínica presenta sesgos inherentes al diseño de los ensayos clínicos.

6. En este sentido, propuestas como los acuerdos de riesgo compartido permiten conjugar tanto el hecho que los pacientes dispongan a la mayor brevedad de una innovación disruptiva, como que su aportación (evaluada después de 3-5 años en el mercado) determine el grado de financiación pública.
7. El potencial de la historia clínica electrónica puede ser otra herramienta para evaluar en los próximos años la efectividad y el grado de ajuste a la indicación de las innovaciones financiadas.
8. A la luz del criterio de utilidad terapéutica, fenómenos como el sistema de reconocimiento mutuo, los procesos de evolución de la indicación y que los *me-toos* no permitan una reducción del precio del grupo farmacológico, son aspectos a considerar en los procesos de financiación pública de las innovaciones.
9. Es cuestionable la participación de los distintos organismos públicos en los citados procesos. Los criterios económicos pesan más que los especificados tanto en la Ley 25/1990, de 20 de diciembre, del Medicamento, como en la Ley 29/2006, de 26 de julio, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios.
10. Es posible tomar enseñanzas de los métodos empleados para la evaluación de los dispositivos médicos, que consideran una ventana temporal para evaluar su efectividad y conllevan, en mayor medida que los fármacos, una sustitución (en lugar de acumulación) de tecnologías.
11. Es oportuna la separación entre los entes que evalúan y los que deciden acerca de la financiación. No parece tan sensata la multiplicidad de agencias evaluadoras de ámbito regional: es deseable un grado de coordinación mayor que permita economías de escala.
12. Resultaría más conveniente la participación de una agencia evaluadora de ámbito europeo de los aspectos técnicos para la financiación pública, además de la aplicación de la normativa vigente.
13. La evaluación económica, como herramienta para la toma de decisiones, resulta útil en la medición de la utilidad terapéutica, si se ciñe a la característica de partir de datos de efectividad. Persisten las dudas acerca de algunos de sus supuestos e implicaciones éticas, así como de quién financia estos trabajos. La implantación de un umbral económico por unidad de resultado en salud sigue siendo de difícil viabilidad cultural y social en nuestro contexto.
14. Finalmente, del estudio se desprende la necesidad de avanzar en el desarrollo del concepto de utilidad terapéutica en España. Los panelistas de los 2 grupos se aproximan con diversas perspectivas, no siempre coincidentes, a que a fecha de hoy no nos orientan lo suficiente en la búsqueda de la eficiencia de los recursos públicos de forma transparente y consensuada.

¿Cómo avanzamos?

1. Los resultados de este estudio, además de su valor intrínseco, pueden servir como punto de partida para futuros análisis.
2. Para que la financiación pública de nuevos medicamentos no sea una decisión casi automática en muchos de los países de nuestro entorno, se requiere de agencias de evaluación cualificadas y transparentes. Estas agencias podrían clasificar los nuevos medicamentos, de manera que los compradores de la atención sanitaria de programas públicos tuvieran conocimiento del impacto en la salud de los fármacos nuevos, estableciendo precios que reflejen la utilidad terapéutica. Con ello, se envían señales correctas que reflejen el esfuerzo investigador y la eficiencia dinámica, y se facilita la eficiencia asignativa en la práctica de salud de cada país.
3. En España, los organismos involucrados deberían ponerse de acuerdo en la definición del concepto de utilidad terapéutica, su medida y su aplicación práctica.
4. Sería positivo que el futuro modelo español incrementara su transparencia en los procesos de financiación pública, a la vez que asegurara la sostenibilidad y la perdurabilidad del sistema sanitario público.
5. La valoración de la utilidad terapéutica de las innovaciones y su financiación pública repercutirá en la mejora de la competitividad en Europa y España. La optimización de los procesos de innovación, cada vez más caros y difíciles, precisa que avancemos de forma irreversible en la aplicación de la directiva de transparencia en las decisiones de fijación de precios y reembolso, en la creación de redes virtuales de coordinación de la investigación básica y aplicada, en el acortamiento de los procesos de autorización, en más incentivos para la investigación, en el fortalecimiento de la competencia de medicamentos no intervenidos y en una mejor información a los profesionales y ciudadanos. Todo ello nos llevaría a un escenario donde todos los actores se verían reconocidos de manera justa.

Referencias bibliográficas

1. Associates CR. Innovation in the pharmaceutical sector. A study undertaken for the European Commission. 8th November 2004. Disponible en: http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/pharmacos/docs/doc2004/nov/eu_pharma_innovation_25-11-04.pdf
2. Evaluación de nuevos medicamentos en España. Boletín Terapéutico Andaluz. 2007;23.
3. Jönsson B, Staginnus U, Wilking N. Acceso a fármacos para el cáncer y el rol de la economía de la salud. Rev Esp Econ Salud. 6;175-83.
4. Espín J, Rovira J. Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe. En: A study funded by DG Enterprise and Industry of the European Commission, EASP Final Report, June 2007.

5. Disponible en: http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_en.htm
6. Disponible en: http://ec.europa.eu/enterprise/phabiocom/comp_pf_mtng_20070626.htm
7. Detsky AS, Laupacis A. Relevance of cost-effectiveness analysis to clinicians and policy makers. *JAMA*. 2007;298:221-4.
8. Rawlins MD, Culyer AJ. Nacional Institute for Clinical Excellence and its value judgements. *BMJ*. 2004;329:224-7.
9. Espín Balbino J. La utilidad terapéutica de los medicamentos. Madrid: Fundación Gaspar de Casal, mimeo; 2008.
10. Gómez Pajuelo P. La utilidad terapéutica: definición, conveniencia de su uso, y su relación con la financiación pública. Madrid: Fundación Gaspar de Casal, mimeo; 2008.
11. Soto Álvarez J. Valor terapéutico añadido de los medicamentos: ¿qué es, cómo se evalúa y cual debería ser su papel en política farmacéutica? *An Med Interna*. 2005;22:39-42.
12. Peiró S. ¿Se puede confiar en los resultados de la investigación clínica? *Humanitas*. 2006;5.
13. Smith R. Medical journals are an extension of the marketing arm of pharmaceutical companies. *PLoS Medicine*. 2005;2:100-2.
14. Peiró S, Sanfélix G, Ridao M, Cervera P. La evaluación económica de medicamentos. ¿Ciencia o marketing farmacéutico? *Farm At Primaria*. 2006;4:28-30.
15. Gaspar MD, et al. Impacto y grado de innovación terapéutica de los nuevos fármacos autorizados en España, VII Congreso de la SEFIG, Salamanca.
16. Ahlqvist-Rastad J, Bardelay D, Beermann B, Mignot G. Judging the therapeutic value of drugs: A comparison between the *revue Prescrire* and Information fran Läkemedelsverket, the bulletin of the Swedish Medical Products Agency. *Int J Risk Safety Med*. 2004;16:83-90.
17. Del Llano J, Pinto JL, Abellán JM. Eficiencia y medicamentos: revisión de las Guías de Evaluación Económica. La Cuarta Garantía. Madrid: Sanofi Aventis; 2008.
18. Tierney M, Manns B, with the Members of the Canadian Expert Drug Advisory Committee. Optimizing the use of prescription drugs in Canada through the Common Drug Review. *CMAJ*. 2008;178:432-5.
19. Drummond M. Time for a change in drug licensing requirements? *Eur J Health Econ*. 2002;3:137-8.
20. Maynard A. Towards a Euro-NICE? *Eurohealth*. 2001;7:26.
21. Antoñanzas F, Rodríguez-Ibeas R, Juárez C, Hutter F, Lorente R, Pinillos M. Transferability indices for health economic evaluations: methods and applications. *Health Econ*. 2008;18: 629-43.
22. Cohen JP, Stolk E, Niezen M. Role of budget impact in drug reimbursement decisions. *J Health Polit Policy Law*. 2008;33: 225-47.
23. Pinto JL, Abellán JM. Farmacoeconomía: el gran reto de la sanidad Pública. *Humanitas*. 2008;32:1-13.
24. Sacristán JA, Dilla T, Antoñanzas F, Pinto JL. Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance. *Gac Sanit*. 2008;22:354-7.
25. Oliva J, Puig-Junoy J, Bernal Q. Evaluación económica de medicamentos experiencias y vías de avance. Una visión complementaria. *Gac Sanit*. 2008;22:358-61.
26. Sheldon TA, Cullum N, Dawson D, Lankshear A, Lawson K, Watt I, et al. What's the evidence that NICE guidance has been implemented? Results from a national evaluation using time series analysis, audit of patients' notes, and interviews. *BMJ*. 2004;329: 999.
27. Hanney S, Buxton M, Green C, Coulson D, Raftery J. An assessment of the impact of the NHS Health Technology Assessment Programme. *Health Technol Assess*. 2007;11:1-200.
28. Magem, et al. Evaluaciones económicas como instrumento de soporte a la gestión de la prestación farmacéutica. XXVIII Jornadas de Economía de la Salud, Salamanca.
29. Dhalla I, Laupacis A. Moving from opacity to transparency in pharmaceutical policy. *CMAJ*. 2008;178:428-31.
30. Asociación de Economía de la Salud (AES). Posición de la Asociación de Economía de la salud en relación a la necesidad de un mayor uso de la evaluación económica en las decisiones que afectan la financiación pública de las prestaciones y tecnologías en el Sistema Nacional de Salud, 2008. Disponible en: www.aes.es
31. Pearson SD, Rawlins MD. Quality, innovation, and value for money, NICE and the British National Health Service. *JAMA*. 2005;294:2618-22.
32. Williams A. What could be NICER than NICE? OHE Annual Lecture. London: The Office of Health Economics; 2004.
33. Puig-Junoy J. La financiación y la regulación del precio de los medicamentos en el Sistema Nacional de Salud: cambios y continuidad. *Gac Sanit*. 2007;21:1-4.
34. López-Bastida J, Oliva J, Antoñanzas F, García-Altés A, Gisbert R, Mar J, et al. Una propuesta de guía para la evaluación económica aplicada a las tecnologías sanitarias: ¿ha llegado el momento? *Econ Salud*. 2008;21:1-2.
35. Sacristán JA, Oliva J, Del Llano J, Prieto L, Pinto JL. ¿Qué es una tecnología sanitaria eficiente en España? *Gac Sanit*. 2002;16:334-43.
36. Pérez C. Sobre la metodología cualitativa. *Rev Esp Salud Pública*. 2002;76:373-80.
37. Hancock B. Trent Focus for Research and Development in Primary Health Care. An Introduction to Qualitative Research. Trent Focus Group. 2002.
38. Bilbao I, March JC, Prieto MA. Diez aportaciones del empleo de la metodología cualitativa en una auditoría de comunicación interna en Atención Primaria. *Rev Esp Salud Pública*. 2002;76:483-92.
39. Garay A, Íñiguez Rueda L, Martínez González M, Muñoz Justicia J, Pallarés Parejo S, Vázquez Sixto F. Evaluación cualitativa del sistema de recogida de sangre en Cataluña. *Rev Esp Salud Pública*. 2002;76:437-50.
40. Mercado FJ. La atención médica a la enfermedad crónica: reflexiones sobre los procedimientos metodológicos de un estudio cualitativo. *Rev Esp Salud Pública*. 2002;76:461-71.
41. Morgan DL. The focus groups guidebook. Focus group kit 1. Thousand Oaks: Sage; 1998.
42. Callejo J. Observación, entrevista y grupo de discusión: el silencio de tres prácticas de investigación. *Rev Esp Salud Pública*. 2002;76:409-22.
43. Carlini-Cotrim B. Potencialidades da técnica qualitativa grupo focal em investigações sobre abuso de substancias. *Saude Publica*. 1996;30:283-93.
44. Cochrane AL. Efectividad y eficiencia. Reflexiones al azar sobre los servicios sanitarios. Centro Cochrane Iberoamericano y Fundación SIS, 2000.
45. Ortún V, director. Gestión Clínica y Sanitaria. De la práctica diaria a la academia, ida y vuelta. Barcelona: Masson; 2003.
46. Zarin DA, Young JL, West JC. Challenges to evidence-based medicine: A comparison of patients and treatments in randomized controlled trials with patients and treatments in a practice research network. *Soc Psychiatry Psychiatr Epidemiol*. 2005;40:27-35.
47. Peralta V. Ensayos clínicos, industria farmacéutica y práctica clínica. *Anales Sis San Navarra*. 2005;28:7-16.
48. Climente M, Porta B, Yuste D. De la evidencia científica a la práctica clínica. En: Jiménez NV, Borrás C, Climente M, Merino M, editores. Calidad farmacoterapéutica. Valencia: Universitat de València; 2006.
49. Sánchez-Bayle M, Palomo L. Informe sobre la situación de salud y de los servicios sanitarios de la Comunidades Autónomas. *Rev Adm Sanit*. 2007;5:147-73
50. Del Llano J, Hidalgo A, Pérez-Camarero S. Sistema de información sanitaria en España (SISAN). Madrid: Fundación Gaspar Casal/ Fundación SANITAS y Fundación Lilly-Editec; 2004.
51. Van Rijkom J, Leuffens H, Crommelin D, Rutten F, Broekmans A. Assessment of biotechnology drugs: what are the issues? *Health Policy*. 1999;47:255-74.
52. Puig J, Meneu R. Aplicación de los contratos de riesgo compartido a la financiación de nuevos medicamentos. *Gestión Clínica y Sanitaria*. 2004;7:88-93.
53. Ortún V, Puig-Junoy J, Callejón M. Innovación en medicamentos, precios y salud. En: López-Valcárcel B, editor. Difusión de nuevas tecnologías sanitarias y políticas públicas. Barcelona: Masson; 2005. p. 173-93.