



sescs



ACENIA DE
CONHECIMENTO
EN SAÚDE

avalia-t



PRO EUNESA DE AGENCIAS DE EVALUACIÓN
DE EDUCACIÓN Y PROFESIONES DE SERVICIOS NACIONALES DE SALUD



University of
Sheffield



Osakidetza



RICAPPS
Red de Investigación en Calidad
Asistencial y Promoción de la Salud
y Prevención de la Salud

XLIII

Coste-efectividad del cribado neonatal de la inmunodeficiencia combinada grave (IDCG): colaboración entre agencias y *model sharing*

Lidia García-Pérez, Paula Cantero-Muñoz, James Chilcott, Alice R Bessey, Carmen Guirado-Fuentes, Renata Linertová, Íñigo Gorostiza



Políticas públicas para la salud:
perspectivas desde la economía y la sanidad

26 Junio 2024



Asociación de Economía de la Salud



Contenido de la presentación

1. Introducción a la enfermedad
2. Intrahistoria del trabajo:
 1. Colaboración entre agencias de evaluación de tecnologías sanitarias en España: SESCO y Avalia-t
 2. *Model sharing*: aplicación del modelo de *University of Sheffield*
3. Evaluación económica en España
 1. Métodos
 2. Resultados
4. Conclusiones

Introducción

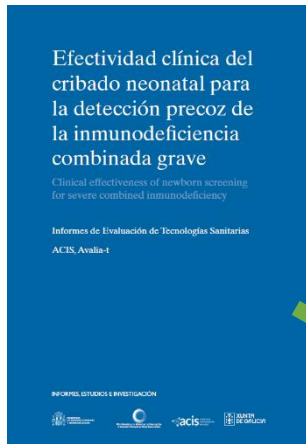
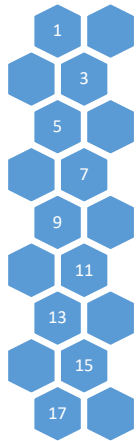
- La **inmunodeficiencia combinada grave (IDCG)** engloba un grupo de enfermedades hereditarias, poco frecuentes, caracterizadas por una profunda disminución de linfocitos T periféricos funcionales → susceptibilidad a infecciones oportunistas por bacterias, hongos, virus y protozoos → infecciones graves, ..., muerte.
- Habitualmente asintomática al nacer; síntomas suelen aparecer en los primeros meses de vida
- Tratamiento: profilaxis antimicrobiana continua, terapia de reemplazamiento de inmunoglobulinas, trasplante alogénico de células progenitoras hematopoyéticas, terapia génica para pacientes con déficit de adenosina desaminasa (ADA).
- Es importante la detección temprana para evitar la exposición a virus y a vacunas de microorganismos vivos atenuados.

→ Cribado neonatal universal



La intrahistoria de la colaboración con Avalia-t y University of Sheffield

Comienzo del trabajo en red de agencias y primeros informes de cribado neonatal



2006

2012

2013

2018

2019

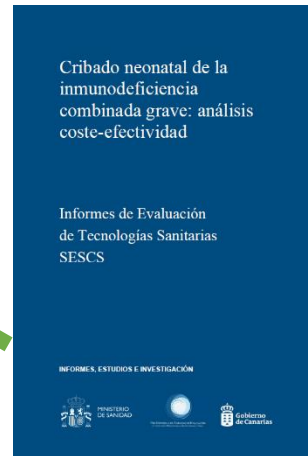
...



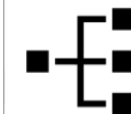
RED ESPAÑOLA DE AGENCIAS DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS Y PRESTACIONES DEL SISTEMA NACIONAL DE SALUD

2012: Se crea oficialmente la Red Española de Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Prestaciones del Sistema Nacional de Salud (RedETS) [Real Decreto-ley 16/2012]

2013: Se regula el funcionamiento de la RedETS [Orden SSI/1833/2013]

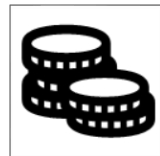


Revisión sistemática de coste-efectividad



Análisis coste-efectividad para España

Análisis de impacto presupuestario



Revisión sistemática

Métodos

- Criterios de selección:
 - Evaluaciones económicas completas
 - Cribar IDCG frente a no cribar
 - Neonatos
- Búsqueda: MEDLINE, EMBASE, WOS hasta febrero de 2019
- Calidad: 10 preguntas de Drummond
- Extracción y síntesis narrativa...

Resultados

- 6 estudios incluidos
- Ratios de 17646 a 28438 €/AVAC, salvo un estudio con ratio > 150000 €/AVAC

Estudio	País	Modelo	Perspectiva del análisis	Horizonte temporal	RCEI original	RCEI en € 2019 (*)
Chan 2011	EE. UU.	Árbol y Markov	Social	70 años	25429 \$/AVG 27907 \$/AVAC	22320 €/AVG 24495 €/AVAC
Health Partners Consulting Group 2014	Nueva Zelanda	Árbol de decisión	Sistema sanitario público	Toda la vida	30409 \$/AVG	14.352 €/AVG
Ding 2016	EE. UU.	Árbol de decisión	Sistema sanitario	5 años y toda la vida	35311 \$/AVG	25587 €/AVG
Institute of Health Economics 2016	Canadá (Alberta)	Markov	Pagador público	80 años	332360 \$/AVG	189907 €/AVG
Chilcott 2017 Bessey 2019	Reino Unido	Árbol de decisión	NHS y Personal Social Services	100 años	18591 £/AVG 17642 £/AVAC	18595 €/AVG 17646 €/AVAC
Van der Ploeg 2019	Países Bajos	Árbol de decisión	Sistema sanitario (social en análisis de sensibilidad)	65 años	33400 €/AVAC	28438 €/AVAC

AVAC: Años de vida ajustados por calidad; AVG: Años de vida ganados; RCEI: Ratio coste-efectividad incremental. *Convertido mediante CCEMG-EPPI-Centre Cost Converter

Revisión sistemática

Estado	País	Modelo	Período del estudio	Horizonte temporal	RCEI original	RCEI en E-2013 en E
Chen 2013	EE. UU.	Arbol y Markov	Social	70 años	25429 \$/AVG \$/AVAC	23320 \$/AVG €/AVAC
Health Partners Consulting 2014	Nueva Zelanda	Arbol				
Ding 2014	EE. UU.	Au				
Costello et al 2015	Canadá (Alberta)	M				
Chilcott et al 2017	Reino Unido	Au				
Bassey et al 2017	Reino Unido	Au				
Ploegh 2015	EE. UU.	Au				
AVAC: Año de vida ajustado por calidad						

Métodos

- Criterios de selección:
 - Evaluaciones económicas completas
 - Cribar (TREC o TREC+KREC) frente a no cribar
 - Neonatos
 - Búsqueda: MEDLINE, EMBASE, WOS hasta febrero de 2019
 - Calidad: 10 preguntas de Drummond
 - Extracción y síntesis narrativa...

Resultados

- 5 estudios incluidos
- Todos compararon cribar en neonatos mediante TREC frente a no cribar.
- Ratio de 1764€ a 2843€ €/AVAC, salvo un estudio con ratio > 150000 €/AVAC

Identificación de una EE por medio de la RSEE

The University of Sheffield
School of Health, Behaviour and Society

Cost-effectiveness of screening for Severe Combined Immunodeficiency (SCID) in the NHS Newborn Blood Spot Screening Programme.

Joe Chilcott, Julia Brown, Ruth Wong, Gerwyn Price-Thomas

University of Sheffield, 0114 2752000

Unit of Health and Related Research (UHRH), The University of Sheffield, Hoped Court

Date: 27 March 2017
Prepared for: UK National Screening Committee, Public Health England



Valoración de la transferibilidad mediante EUNET HTA Adaption Toolkit

- PICO
- Perspectiva
- Epidemiología
- ...

SCHARR SCID newborn screening model

Contents

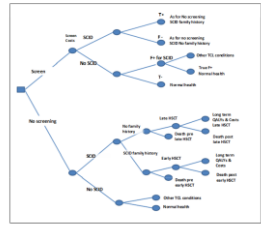
- Inputs
- Key Model Assumptions
- Parameters
- General Results Overview
- Results Tables

Contacto con J Chilcott (U Sheffield)

Valoración de pros y contras de *model sharing*

- Tiempo
- Colaboración
- Documentación
- Software / código
- Autorías, propiedad intelectual
- ...

Figure 1. Screening for SCID decision tree



Sharing (archivo Excel y otros documentos)

Adaptación del modelo a España

Resultado final →

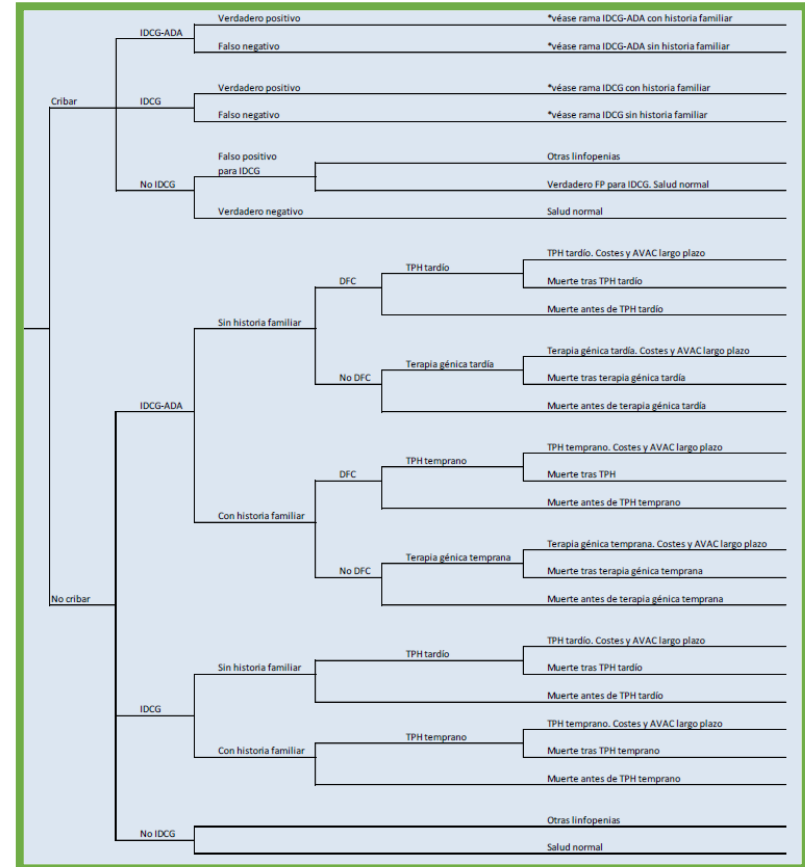
El coste-efectividad del cribado neonatal de las inmunodeficiencia combinada grave (modelo aplicado en España)

Objetivo y Métodos

Objetivo: Evaluar el coste-efectividad de incorporar la IDCG al programa de cribado neonatal en España

Métodos:

- ✓ Alternativas: Cribado (mediante qPCR) frente a No cribado (diagnóstico clínico basado en síntomas)
- ✓ Horizonte temporal: Toda la vida ($d=3\%$)
- ✓ Perspectiva: SNS (costes de cribado, diagnóstico, tratamiento)
- ✓ Efectividad: Años de vida ajustados por calidad (AVAC)
- ✓ Fuentes de información: informe por Avalia-t; programa de cribado de Cataluña; otras
- ✓ Árbol de decisión (cedido por la Universidad de Sheffield)



Resumen de resultados determinísticos

Incidencia de la IDCG	Incremento AVAC	Coste unitario de la prueba de cribado					
		4 €		5 €		6 €	
		Coste incremental (€)	RCEI (€/AVAC)	Coste incremental (€)	RCEI (€/AVAC)	Coste incremental (€)	RCEI (€/AVAC)
1:34.000 (a)	154	2.073.546	13.467	2.446.323	15.888	2.819.100	18.309
1:49.000 (b)	113	2.080.227	18.451	2.453.004	21.757	2.825.781	25.064
1:50.000	111	2.080.551	18.787	2.453.328	22.154	2.826.105	25.520
1:57.000 (c)	99	2.082.379	20.937	2.455.156	24.685	2.827.933	28.433
1:70.000	84	2.084.804	24.674	2.457.581	29.086	2.830.358	33.498
1:100.000	65	2.087.994	32.219	2.460.771	37.971	2.833.548	43.724
1:130.903 (d)	54	2.089.751	38.727	2.462.528	45.635	2.835.305	52.543

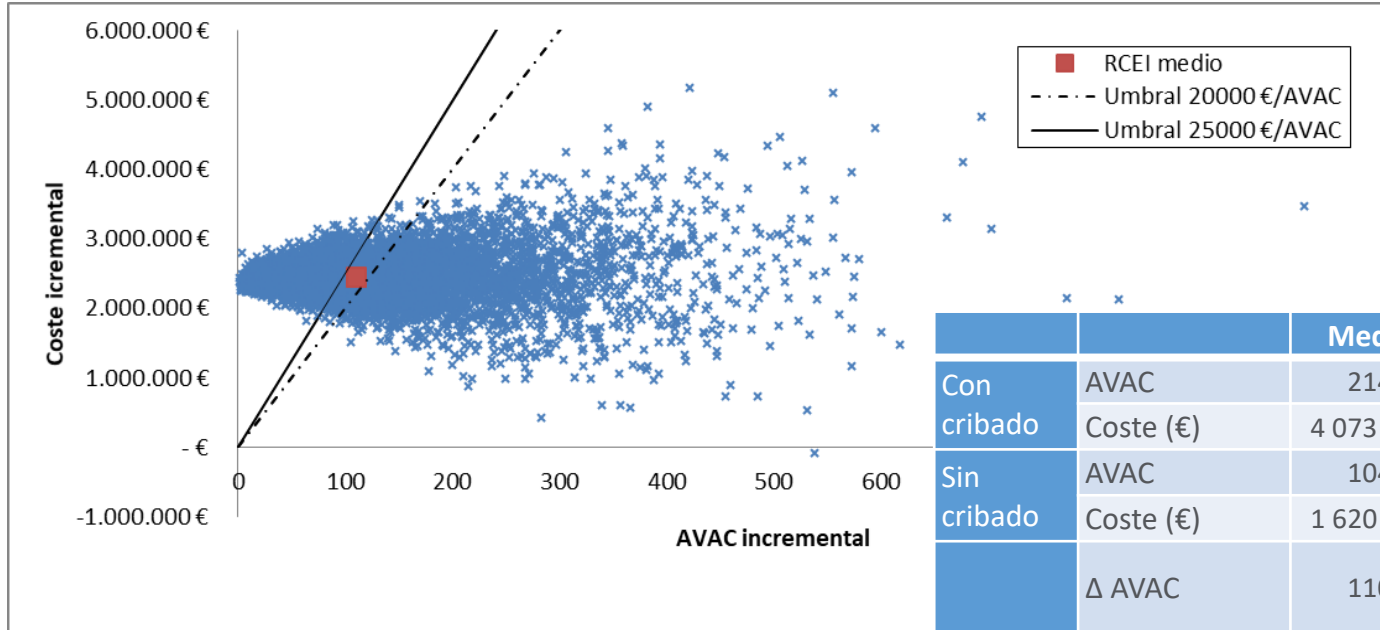
(a) De Felipe et al. 2017 (Sevilla; piloto de cribado); (b) Chilcott et al. 2017 (Reino Unido; supuesto basado en comunicación por experto); (c) Argudo-Ramírez et al. 2019 (Cataluña; estudio retrospectivo); (d) Argudo-Ramírez et al. 2019 (Cataluña; tras dos años de programa de cribado).

Notas:

Euros de 2019

Estimaciones para 372 777 neonatos

Resultados del análisis de sensibilidad probabilístico



		Media	IC 95%	
Con cribado	AVAC	214	17	734
	Coste (€)	4 073 221	2 449 510	8 379 489
Sin cribado	AVAC	104	2	382
	Coste (€)	1 620 186	60 076	5 803 037
Cribado vs No cribado	Δ AVAC	110	12	360
	Δ Coste (€)	2 453 036	1 843 652	3 112 593
	RCEI (€/AVAC)	22 267	6 383	205 796

Suponiendo:

-incidencia = 1:50.000

-coste de la prueba de cribado = 5 €

-población = 372777 neonatos

AVAC: Años de vida ajustados por calidad; IC: Intervalo de confianza; RCEI: Ratio coste-efectividad incremental

Diferencias entre modelos



Modelo original para Reino Unido (Chilcott et al. 2017)

Modelo adaptado para España por RedETS

Caso base	Probabilístico	Determinístico
Perspectiva	National Health Service (NHS) y Personal Social Services (PSS)	Sistema Nacional de Salud
Tasa de descuento	3.5% para costes y beneficios	3% para costes y beneficios
Atención sanitaria / Uso de recursos	-No incluye el estudio de proliferación linfocitaria. -Seguimiento realizado por dos profesionales, un inmunólogo y un pediatra -Consulta nutricional por nutricionista	-Incluye el estudio de proliferación linfocitaria para el diagnóstico. -Seguimiento realizado por un único profesional (Unidad de Inmunodeficiencias) -Consulta nutricional por pediatra

Distintos valores y fuentes para parámetros: epidemiológicos y costes unitarios

Para terminar...

CONCLUSIONES de la evaluación económica del cribado neonatal de la IDCG en España:

- La ratio coste-efectividad incremental está en torno al umbral coste-efectividad de 25000 €/AVAC, pero hay incertidumbre.
- El coste-efectividad depende de dos variables inciertas: la incidencia de la IDCG en España y el coste de la prueba de cribado.

VALORACIÓN de la experiencia:

- Compartir y colaborar es una experiencia positiva, fructífera y enriquecedora.
- Utilizar el conocimiento previo evita duplicidades → Mejor aprovechamiento de los recursos públicos
- **Eficiencia, Credibilidad, Reproducibilidad (Ciencia Abierta)**

Reconocimientos

SESCS: Cristina Valcárcel, Iván Castilla, Juan Manuel Ramos, Laura Vallejo, Pedro Serrano, ...

Infinidad de colaboradores: Expertos, técnicos Ministerio de Sanidad, Secretaría técnica RedETS, Programa de Cribado de Cataluña...

Sociedades científicas, asociaciones de pacientes, industria, ...

Si desean contactar:



lidia.garciaperez@sescs.es



www.sescs.es



@_SESCS_

Muchas gracias, ¿preguntas?