

Criterios para la toma de decisiones sobre financiación de medicamentos en España: ¿cómo los medimos y qué relevancia tiene cada uno?

XIX TALLER DE EVALUACIÓN ECONÓMICA EEconAES, Madrid, 10 de Marzo de 2023

Juan Carlos Rejón Parrilla, Investigador Senior, AETSA

Agenda

Presentación

- ❖ Introducción
- ❖ Métodos
- ❖ Encuesta y resultados
- ❖ Preguntas (Q&A)

Introducción

- ❖ En España los **criterios** para decidir si un medicamento entra en el paquete básico financiado por el Sistema Nacional de Salud (SNS) fueron **establecidos** en 2006, en un texto legislativo que fue experimentando modificaciones hasta su versión actual, que data de 2015¹.
- ❖ Sin embargo, esos 6 criterios no están **ni definidos ni está detallado se da ninguna noción sobre cómo medirlos**.
- ❖ En un trabajo reciente estudiamos **cómo se define, evalúa y premia la innovación** en el ámbito de la Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETSs)², pero sigue sin haber un consenso amplio sobre la manera óptima de medirla.

Fuentes: 1. Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios. BOE 2015;177:62935-3030; 2. Rejon-Parrilla et al. (2022).

Métodos

- ❖ **Un encuesta** focalizada en España y una revisión internacional de publicaciones claves.
- ❖ La **revisión internacional de publicaciones claves** irá dirigida a identificar prácticas en otros países en éste ámbito.
- ❖ La **encuesta de ámbito nacional**, ha sido distribuida a una muestra de 1040 expertos, compuesta por miembros de la Asociación española de Economía de la Salud (AES), de la Red española de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (RedETS), de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), farmacéuticos del grupo GÉNESIS, técnicos, de Farmaindustria, del capítulo español de ISPOR y técnicos y asesores del Ministerio de Sanidad.
- ❖ Hemos hecho una **revisión muy dirigida** de la literatura, para identificar instrumentos de medida de los diferentes criterios que guían las decisiones de financiación de medicamentos en España.

Encuesta (1)

Estructura: 6 preguntas – uno por criterio de financiación de medicamentos

Objetivo: obtener una visión del nivel de consenso entre la comunidad de expertos sobre los instrumentos ideales para medir cada uno de los criterios enumerados en la ley¹ para guiar decisiones de financiación de medicamentos en España. Esto es:

- 1) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados;
- 2) Necesidades específicas de ciertos colectivos;
- 3) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad;
- 4) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud;
- 5) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento;
- 6) Grado de innovación del medicamento.

Encuesta (2) - Muestra

Tipo de institución de los encuestados:

Agencia de evaluación de tecnologías sanitarias: 25.27%; **Entidad gubernamental** (ya sea de un gobierno regional o del gobierno nacional): 16.48%; **Institución académica** o de investigación: 14.29%; **Industria**: 13.19%; Otro/a (**farmacia hospitalaria**): 10.99%; **Consultora**: 7.69%

Experiencia profesional:

1-3 años: 4.4%; **3-5 años**: 9.89%; **5-8 años**: 6.59%; **8 años o más**: 79.12%

Perfil:

Personal **técnico**, profesor o investigador: 49.45%; **Director**, coordinador o responsable de área, unidad, departamento o equivalente: 47.25%; Personal de **gestión** o similar: 1.1%; **Otro/a**: 2.2%

1) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados

- El Acute Physiology And Chronic Health Evaluation (APACHE) II^{3,4} combinado con una medida temporal de duración: **20.88%**
- Los ‘años de vida ajustados por discapacidad’ (AVAD, o DALY por sus siglas en inglés)⁵: **43.96%**
- El Año de Vida Ajustado por Calidad (AVAC)⁶: **67.03%**
- Marcadores clínicos de gravedad y secuelas, o un número de unidades de medida clínica de eficacia específica a la patología que tenga significado clínico, añadiéndoles una medida temporal de duración: **67.03%**
- Otro – por favor pon sólo el instrumento de medida de gravedad, duración y secuelas de una enfermedad que te parezca más apropiado (sólo uno) (Texto libre): **2.2%**

2) Necesidades específicas de ciertos colectivos

Existen grupos poblacionales que, debido a sus características o a las de la enfermedad con la que viven, son tenidos en cuenta de manera específica dentro de las decisiones de financiación de medicamentos en España. De los grupos poblacionales que listamos abajo, marca todos los que creas que merecen consideración especial en dichas decisiones en España:

- Poblaciones con una afección para la que no existe una alternativa terapéutica eficaz: **90.11%**
- Los medicamentos huérfanos⁷, siguiendo la definición de la EMA: **70.33%**
- La población pediátrica⁸: **46.15%**
- Pacientes enfrentándose al final de sus vidas: **35.16%**
- Otro – por favor pon sólo el grupo poblacional que te parezca más apropiado tener en cuenta (sólo uno) (Texto libre): **5.49%**

3) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad (1)

El **valor terapéutico** de un medicamento y su **coste-efectividad** se puede medir de diversas maneras, y el **valor social** del mismo tiene maneras de medirse diferentes.

Valor terapéutico (marca todos los que consideres relevantes)

- a) El Año de Vida Ajustado por Calidad (AVAC)⁶: **79.12%**
- b) El impacto de la nueva estrategia en los biomarcadores clínicos específicos a la patología que se está tratando o alguna otra medida clínica de eficacia específica a la patología: **48.32%**
- c) Una medida de beneficio real de la nueva terapia basada en una combinación de criterios clínicos combinados en un índice al estilo del sistema francés⁹: **48.35%**
- d) Otro: **0%**

3) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad (2)

Coste-efectividad (marca todas las opciones que te parezcan relevantes)

- a) La ratio de Coste-Utilidad Incremental (RCUI, o ICUR por sus siglas en inglés) usando medidas de utilidad como el AVAC/QALY como medida de efectividad: **76.92%**
- b) La ratio de Coste-Efectividad Incremental (RCEI, o ICER por sus siglas en inglés) usando medidas de efectividad clínica (una/s variable/s concreta/s de medida clínica de eficacia específica a la patología, que tenga significado clínico): **65.93%**
- c) Otro: **4.4%**

3) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad (3)

Para poder apoyar decisiones de financiación de medicamentos en una ratio de coste-efectividad y/o de coste-utilidad, es necesario tener una referencia (**umbral**) que defina lo que se considera un uso eficiente de recursos en el sistema:

- ¿Creéis que hace falta un umbral de coste-utilidad en España? Si: **92.31%** / No: **7.69%**
- Si creéis que hace falta un umbral, marcad la opción que os parezca más apropiada:
 - Un umbral explícito (modelo NICE): **76.92%**
 - Un umbral implícito (modelo sueco): **15.38%**
 - ¿Creéis que debe haber diferentes umbrales para diferentes grupos poblacionales / situaciones especiales? Si: **81.32%** / No: **18.68%**

3) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad (3)

Para medir el **valor social** de los medicamentos, ¿cuál/es de los siguientes parámetros crees que son relevantes?:

- Mejoras en la calidad de vida de familiares y cuidadores: **80.22%**
- Los pacientes (y sus cuidadores informales) además de beneficiarse de una mejora en salud a causa del uso del medicamento, en ocasiones pueden volver a trabajar antes o en condiciones más favorables a su productividad que sin la nueva terapia: **95.6%**
- Aportaciones de la industria farmacéutica a la economía nacional (empleo, etc.)¹⁰: **27.47%**
- Otro: **4.39%**

4) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud

Impacto presupuestario = medida estándar para reflejar el impacto que la incorporación de una nueva tecnología tiene en el presupuesto de un sistema sanitario (existen guías metodológicas que lo describen¹¹). Marca sólo la casilla que a tu juicio sea más adecuada para medirlo (si no crees que ninguna lo sea, marca 'otro/os' y expón cómo crees que se debería hacer):

- El impacto presupuestario solo tiene que tener en cuenta los gastos en la terapia farmacéutica nueva y actual en un horizonte temporal de 3 a 5 años: **3.3%**
- El impacto presupuestario debe tener en cuenta todos los costes sanitarios (administración de la terapia, efectos adversos, etc.) en un horizonte temporal de 3 a 5 años: **85.71%**
- Otro (Texto libre): **9.89%**

5) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento

La idea con éste criterio es estudiar si existen varias opciones que se puedan considerar equivalentes para una indicación dada y, en casi afirmativo, habiendo dos o más nunca se paga más por la nueva que por la ya existente. Si conoce otra manera más apropiada de medir esto, propóngala más abajo:

- Concepto de alternativa terapéutica equivalente: **64.84%**
- Grupos ATC4: **12.09%**
- Grupos ATC5: **37.36%**
- Otro (Texto libre): **8.79%**

6) Grado de innovación del medicamento

El grado de innovación lo definimos basándonos en las dimensiones de valor que componen el concepto identificadas en una investigación previa². Esto es: salto cualitativo en su indicación ('step-change'), conveniencia ('convenience'), robustez de la evidencia ('strength of evidence base') teniendo en cuenta el grado de incertidumbre asociado a la evidencia (entre otros factores), impacto en futura I+D ('impact on future R&D').

¿Cómo crees que debería medirse el grado de innovación financiación de medicamentos en España?

- Con un instrumento tipo 'checklist': **53.85%**
- Como parte de un Análisis de Decisiones Multicriterio (MCDA por sus siglas en inglés) como, por ejemplo, o el 'innovómetro' propuesto por Zaragoza-García & Cuéllar (2017)¹³ o el Advance Value Framework desarrollado y publicado por Angelis & Kanavos (2017)¹²: **35.16%**
- Otro (Texto libre): **9.89%**

Ponderación de criterios

Los encuestados indicaron el peso (de 0 a 100) que creen que debería tener cada criterio en las decisiones de financiación de medicamentos en España teniendo en cuenta que la suma de todos los pesos debe dar un total de 100 – reportamos las medias de todas las respuestas para cada criterio:

- a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados: **21.54**
- b) Necesidades específicas de ciertos colectivos: **13.46**
- c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad: **27.08**
- d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud: **16.04**
- e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento: **15.21**
- f) Grado de innovación del medicamento: **10.5**

Idoneidad de los criterios listados en la ley

¿Cree que **los criterios** listados en la ley para apoyar la toma de decisiones sobre financiación de medicamentos en España **son los adecuados**?

Si: 44.44%

No: 55.56%

¿Cree que **habría que añadir algún criterio** a los listados en la ley para apoyar la toma de decisiones sobre financiación de medicamentos en España de manera idónea?

Si: 76.67%

No: 23.33%

¿Cree que **habría que añadir la perspectiva de los pacientes** como un criterio adicional a los listados en la ley para apoyar la toma de decisiones sobre financiación de medicamentos en España de manera idónea?

Si: 74.44%

No: 25.56%

Discusión y mensajes principales (1)

- ❖ Más de la mitad de los encuestados creen que **es necesario visitar los criterios** que se tienen en cuenta en España para apoyar las decisiones de reembolso de medicamentos.
- ❖ A pesar de que los resultados de ésta encuesta no dan todas las claves para publicar instrumentos de medida o definir más claramente cada uno de los criterios, **la opinión de los expertos puede** arrojar algo de luz para, en un futuro, **orientar el desarrollo de un marco metodológico más detallado**
- ❖ La **transparencia** debería ser una cualidad **esencial** que caracterizase tanto los procesos de toma de decisiones sobre reembolso de nuevos medicamentos en España, como los **procesos a través de los cuales se definen las metodologías** que apoyan dichas decisiones.

Discusión y mensajes principales (2)

	0% – 25%	26% - 50%	51% - 75%	76% - 100%
Gravedad	APACHE	DALY	QALY; Marcadores clínicos	/
Colectivos	/	Población pediátrica; End of life	Enfermedad rara	Unmet need
Racionalización	Gasto farmacéutico 3-5 años	/	/	Coste sanitario 3-5 años
Alternativa	ATC4	ATC5	Alternativa terapéutica equivalente	/
Grado de innovación	/	MCDA	Checklist	/

Discusión y mensajes principales (3)

	0% – 25%	26% - 50%	51% - 75%	76% - 100%
Valor terapéutico	/	Variables clínicas; Índice francés (beneficio clínico – SMR)	/	QALY
Coste efectividad	/	/	RCEI	RCUI
Umbral (si/no)	No	/	/	Sí
Umbral (expl/impl)	Implícito	/	/	Explícito
Umbral (situaciones especiales)	No	/	/	Sí

www.aetsa.org

¡MUCHAS GRACIAS!

¿Alguna pregunta?

Referencias

1. Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios. BOE 2015;177:62935-3030.
2. Rejon-Parrilla, J.C., Espin, J. & Epstein, D. How innovation can be defined, evaluated and rewarded in health technology assessment. *Health Econ Rev* 12, 1 (2022). <https://doi.org/10.1186/s13561-021-00342-y>
3. Knaus, W. A., Draper, E. A., Wagner, D. P., & Zimmerman, J. E. (1985). APACHE II: a severity of disease classification system. *Critical care medicine*, 13(10), 818-829.
4. Wagner, D. P., & Draper, E. A. (1984). Acute physiology and chronic health evaluation (APACHE II) and Medicare reimbursement. *Health care financing review*, 1984(Suppl), 91.
5. Murray, C. J., & Acharya, A. K. (1997). Understanding DALYs. *Journal of health economics*, 16(6), 703-730.
6. Whitehead, S. J., & Ali, S. (2010). Health outcomes in economic evaluation: the QALY and utilities. *British medical bulletin*, 96(1), 5-21.
7. Spadoni C. (2018). Pediatric Drug Development: Challenges and Opportunities. *Current therapeutic research, clinical and experimental*, 90, 119–122. <https://doi.org/10.1016/j.curtheres.2018.12.001>
8. Linley, W. G., & Hughes, D. A. (2013). Societal views on NICE, cancer drugs fund and value-based pricing criteria for prioritising medicines: A cross-sectional survey of 4118 adults in Great Britain. *Health economics*, 22(8), 948-964.
9. Haute Autorité de Santé. Pricing & Reimbursement of drugs and HTA policies in France. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2014. Available from: https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2014-03/pricing_reimbursement_of_drugs_and_hta_policies_in_france.pdf
10. Weber (2021). El valor del medicamento desde una perspectiva social 2021. Madrid, España: Fundación Weber.
11. Puig-Junoy, J., Oliva-Moreno, J., Trapero-Bertrán, M., Abellán-Perpiñán, J. M., & Brosa-Riestra, M. (2014). Guía y recomendaciones para la realización y presentación de evaluaciones económicas y análisis de impacto presupuestario de medicamentos en el ámbito del CatSalut. Barcelona: Servei Català de la Salut (CatSalut).
12. Angelis, A., & Kanavos, P. (2017). Multiple criteria decision analysis (MCDA) for evaluating new medicines in health technology assessment and beyond: the advance value framework. *Social Science & Medicine*, 188, 137-156.
13. Zaragoza-García F, Cuéllar-Rodríguez S. (2017). Valoración de la innovación terapéutica: importancia y medida. In: *Innovación y regulación en biomedicina: obligados a entenderse* (ed. Del Llano Señarís JE). Fundación Gaspar Casal; ISBN: 978-84-697-2531-3; pp 237-72.