

## **PAPEL DE L'AGÈNCIA D'AVALUACIÓ DE TECNOLOGIA MÈDICA EN RELACIÓ A LA UTILIZACIÓ COSTE-EFECTIVO DE LOS MEDICAMENTOS**

### **INTRODUCCIÓ**

*Tomar decisiones en medicina no es tarea fácil. Como decisor, el médico se desenvuelve, con mayor o menor dificultad, entre distintos elementos como son la evidencia científica, las incertidumbres, los recursos disponibles y los valores tanto propios como de los pacientes y sus familiares. El resultado de sus decisiones estará determinado por el peso relativo de cada uno de estos elementos. La prescripción de medicamentos es una de las acciones resultantes de este complejo proceso de toma de decisiones clínicas relativas al manejo de pacientes.*

*La evaluación de las tecnologías médicas (ETM) se ha definido en diversas ocasiones (1) y consiste en la aplicación de una serie de procesos sistemáticos de análisis con el fin de sintetizar, integrar o producir evidencia científica en relación a la eficacia, seguridad, precisión, efectividad, adecuación o eficiencia de las tecnologías médicas (TM). También permite analizar las implicaciones legales, organizativas o éticas de la introducción, adopción, difusión y uso de TM, tanto nuevas como de uso común. El término TM debe entenderse en un sentido amplio, implicando tanto a equipos como fármacos y procedimientos médicos y quirúrgicos. El objetivo del proceso de evaluación no es otro que informar los diversos tipos de decisiones que se producen a nivel macro, meso o micro de un sistema sanitario (ver tabla 1) y por todo ello se puede considerar también útil en la prescripción de medicamentos.*

*El proceso de evaluación no sigue siempre un único camino, y en esto radica también su riqueza. Las distintas vías que puede seguir, tanto desde el punto de vista estratégico como metodológico, van a depender de la naturaleza de la pregunta que activa el proceso; de su origen, ya que éste determinará la perspectiva del análisis; de la misión, formación y experiencia del grupo evaluador; del tipo de tecnología a evaluar (preventiva, diagnóstico o terapéutica); de la condición clínica y, por último y absolutamente crucial, de la evidencia científica disponible en el momento de realizar la evaluación (1, 2).*

*Los análisis coste-efectividad (ACE) son uno de los diferentes métodos disponibles para informar decisiones y por lo tanto potencialmente utilizables en el proceso de ETM. Los ACE, como el resto de técnicas de análisis económico, son en esencia análisis comparativos y su objetivo es medir, valorar y comparar los costes y las consecuencias de distintas alternativas terapéuticas dirigidas a una misma condición clínica, desde una perspectiva y horizonte temporal predefinidos. Es, pues, imprescindible para llevar a cabo este tipo de análisis identificar las diferentes alternativas terapéuticas a comparar, determinar cuáles son los costes relevantes para la comparación, así como analizar la existencia de evidencia científica acerca de su efectividad.*

**Tabla 1**

Posibilidades
Macro. Política Sanitaria Análisis de necesidades Decisiones de cobertura Distribución y asignación recursos Soporte a la compra de servicios Soporte al diseño de sistemas pago
Meso. Centros Sanitarios Definiciones de estándares de uso Gestión de las inversiones en tecnología Formación
Micro. Clínica Soporte en la elaboración de guías de práctica clínica basadas en la evidencia Promoción del uso adecuado de TM Formación

A. Granados. Posibilidades de la utilización de los ETM en distintos niveles de atención sanitaria.

## LA UTILIZACIÓN COSTE-EFECTIVA DE MEDICAMENTOS

*La prescripción eficiente de fármacos es un constante reto. Para llevar a cabo decisiones de prescripción coste-efectivas se pueden describir diversas dificultades o limitaciones, la mayoría de las cuales están vinculadas a la ausencia de información veraz y relevante para un contexto sanitario específico; especialmente acerca de la efectividad entendida como el efecto de un fármaco obtenido fuera del marco de un ensayo clínico, controlado y aleatorizado (ECA). No obstante, cuando existe evidencia los problemas se vinculan a una escasa utilización de ésta en la toma de decisiones, por motivos diversos que han sido descritos previa y ampliamente (3).*

*Decidir en base a la eficiencia sobre la mejor opción entre alternativas consiste en seleccionar la menos costosa cuando las alternativas tienen la misma efectividad o aquella opción farmacológica capaz de producir la mayor efectividad a igual coste. Para ello resultará imprescindible, para una misma condición clínica, conocer la igual o distinta efectividad de las alternativas entre las que escoger. Recordemos, en este punto, la frecuente distancia que existe entre la eficacia de un fármaco demostrada en poblaciones seleccionadas en el marco de un ECA y su efectividad en la práctica clínica cotidiana (4). La efectividad al igual que los costes son contexto-dependientes. Parafraseando a Michael Drummond: los análisis de costes no «viajan bien» porque el tipo de costes a medir, valorar y comparar depende de un contexto político, económico y sanitario en particular (5). La efectividad de un fármaco depende a su vez de diversos factores relacionados con el contexto sanitario específico: nos referimos a la adecuación de la indicación, al momento del proceso nosológico en que se prescribe el fármaco, a las características clínicas del paciente; esto es, a la presencia de comorbidades, a la dosis prescrita y al cumplimiento de la prescripción por parte del paciente.*

*En relación a la eficacia y la efectividad de los medicamentos cabe mencionar una limitación adicional, el exceso de uso por parte de los investigadores de indicadores intermedios de resultado en lugar de indicadores finales. Este hecho añade confusión a las decisiones clínicas de prescripción. Frecuentemente, se utilizan indicadores de efectos subrogados que suelen ser marcadores biológicos pobremente validados y que a menudo no han demostrado ser un paso intermedio en el camino causal hacia el resultado o efecto final. La literatura es abundante a este respecto (6).*

## ¿BUENAS PRESCRIPCIONES O PRESCRIPCIONES COSTE-EFECTIVAS?

*Las características de una buena prescripción fueron descritas por Parish en 1973 (7) como aquella que es apropiada, segura, efectiva y económica. Más recientemente, Barber (8) propone cuatro objetivos aparentemente más realistas que cualquier prescriptor debería tratar de lograr; esto es, maximizar la*

efectividad, minimizar los riesgos y los costes, y respetar el principio de autonomía de los pacientes. Sin embargo, no resulta difícil identificar la facilidad con que estos cuatro objetivos pueden entrar en conflicto entre sí, más aún si ante la falta de información objetiva se tiende a asumir el valor de estas variables. Es decir, cómo maximizar la efectividad si no se conocen sus determinantes, cómo minimizar riesgos y costes si éstos son desconocidos por el prescriptor y/o sólo los conoce parcialmente, cómo respetar la autonomía del paciente si no se conocen sus preferencias. La creciente visibilidad de la necesidad de información objetiva que ayude a mejorar las decisiones sobre el manejo de los pacientes es uno de los fundamentos de la aparición de nuevos paradigmas en sanidad. La cultura de la evaluación es uno de ellos. Las agencias de evaluación tienen el potencial de poder canalizar esta necesidad de información de una manera imparcial, sistemática, estructurada y verosímil.

## EL PAPEL DE LAS AGENCIAS EN EL USO COSTE-EFECTIVO DE MEDICAMENTOS

La potencialidad de las agencias de evaluación de TM en la génesis, síntesis o integración de información relativa a los costes y las consecuencias de diversas TM, incluidos los medicamentos, se ha puesto de relieve en diversas ocasiones. La agencia catalana ofrece diversos ejemplos (ver tabla 2).

Tabla 2

### DE LA TEORÍA A LA PRÁCTICA

<p><i>Pregunta</i> ¿Cuál es la estrategia de indicación de los contrastes radiológicos de baja osmolaridad más eficiente?</p>	<p><i>Resultado</i> — Un solo estudio fase III — Parece eficaz y segura para reducir el número de agudizaciones respiratorias en pacientes con FQ — No se conoce su coste-eficacia en relación a otras alternativas terapéuticas Año de edición 1994</p>
<p><i>Método</i> — Revisión sistemática y síntesis de evidencia — Análisis de costes</p>	
<p><i>Resultado</i> — Abundante literatura de calidad — La indicación selectiva a pacientes de alto riesgo Año de edición 1993</p>	<p><i>Pregunta</i> ¿Cuál es la calidad metodológica de los ECA incluidos en el registro fase III de un determinado fármaco?</p>
<p><i>Impacto</i> — Irregular</p>	<p><i>Método</i> — Evaluación de la calidad de la evidencia. Escalas Jadad y Chalmers</p>
<p><i>Pregunta</i> ¿Es la calcitonina eficaz para preservar masa ósea? ¿Y para prevenir fracturas?</p>	<p><i>Resultado</i> — La calidad de los estudios es elevada desde 1990 Año de edición 1997</p>
<p><i>Método</i> — Revisión sistemática y síntesis de evidencia</p>	<p><i>Pregunta</i> ¿Son los trombolíticos sistemáticos (TS) eficaces y seguros para el infarto cerebral agudo? ¿Qué elementos podrían influir en su eficacia o efectividad?</p>
<p><i>Resultado</i> — Abundante literatura de calidad heterogénea — Es eficaz a corto plazo para preservar masa ósea — No está confirmada su eficacia para prevenir fracturas Años de edición 1995 y 1997</p>	<p><i>Método</i> — Revisión sistemática — Técnicas metaanalíticas</p>
<p><i>Impacto</i> — Irregular</p>	<p><i>Resultado</i> — 14 ECA — Aumenta el riesgo de mortalidad — Si sobreviven, el riesgo de discapacidad es menor o nulo — El retraso asistencial determinaría su efectividad Año de edición 1996</p>
<p><i>Pregunta</i> ¿Es la domasa recombinante eficaz y segura para tratar pacientes con fibrosis quística (FQ)?</p>	
<p><i>Método</i> — Revisión sistemática — Técnicas metaanalíticas</p>	

*Sin embargo, la misión y composición del equipo evaluador de las distintas organizaciones, agencias o grupos dedicados a la ETM en el mundo no es la misma. Estos grupos han de ser fieles a su mandato y/o a sus clientes, debiendo servir a las necesidades del entorno sanitario específico en el que operan. Así pues, si bien el rigor y la transparencia metodológica suelen ser el denominador común y son sin duda un requisito indispensable para ser aceptado por la comunidad evaluadora internacional, el producto de la evaluación no tiene por qué ser homogéneo entre las distintas organizaciones dedicadas a la ETM.*

### **¿Por qué producen las agencias españolas tan pocos estudios coste-efectividad?**

*Las decisiones en sanidad son cada vez más difíciles y complejas; el tipo y las características de las incertidumbres a las que las agencias deben dar respuesta no son siempre las mismas. Aunque pueda resultar obvio mencionarlo, el método de análisis debe estar al servicio del problema a resolver. El método de análisis se debe seleccionar después de considerar en profundidad cuál es el problema que plantea un determinado decisor y si aquél se puede traducir a una pregunta de investigación. Por lo tanto, no siempre es coste-efectivo realizar estudios coste-efectividad para informar según qué tipo de decisiones, principalmente si el problema del decisor es el desconocido del efecto final de un medicamento en la salud o calidad de vida de los pacientes, o identificar los factores que determinan una efectividad concreta.*

*La existencia de evidencia no implica, sin embargo, que de forma lineal ésta vaya a ser utilizada por los decisores; así el impacto del proceso de evaluación en la toma de decisiones es variable. El caso de la evaluación de contrastes radiológicos de baja osmolaridad (9) es un ejemplo paradigmático. En el mencionado estudio se puso de relieve que una estrategia de indicación selectiva era más coste-efectiva que su utilización universal. En Cataluña, dicha evaluación tuvo un impacto irregular. Quizá una estrategia de diseminación de los resultados más activa por parte de la agencia catalana o la utilización de incentivos específicos por parte de los gestores hubieran logrado un mayor impacto y hubiera permitido redistribuir recursos para la sanidad. Algo similar se hubiera podido producir con la calcitonina (10) y, sin embargo, seguimos gastando 15.000 millones de pesetas cada año.*

### **COMENTARIOS FINALES**

*La limitación más frecuente para el uso eficiente de medicamentos o para el buen uso de éstos reside en la ausencia de evidencia científica sobre la relación coste-efectividad de las diferentes alternativas disponibles.*

*La mayoría de los estudios coste-efectividad disponibles en la literatura podrían beneficiarse de una mayor transparencia y reproductibilidad, y es cada vez más manifiesta la necesidad de producir evidencia localmente sobre efectividad y costes con indicadores adecuados. Las diversas iniciativas de estandarización y armonización de métodos de evaluación económica (11) aplicada a la sanidad, nos ofrecerán, sin duda, una base más sólida sobre la que construir nuestros análisis coste-efectividad, contribuyendo a mejorar los atributos mencionados de transparencia, reproductibilidad y comparabilidad. Seguirá faltando, no obstante, llenar los vacíos de conocimiento relativos a la efectividad de muchos medicamentos.*

*Cuando existe evidencia se necesita la dedicación de esfuerzos y recursos para hacerla llegar de la forma más efectiva y creíble a los prescriptores así como incentivar su uso de forma específica.*

*La implantación de la cultura de la evaluación toma su tiempo. El futuro de los sistemas sanitarios, así como su buena salud, pasa por la implementación de la evaluación como una herramienta cada vez menos discutible para informar decisiones. La Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica continuará sintetizando, integrando y diseminando información, y promoviendo la producción local de evidencia científica sobre la efectividad y los costes de tecnologías nuevas y en uso entre las que incluimos los medicamentos. Se contribuirá así a su adecuada utilización, ya que el proceso de evaluación identifica por sí mismo lagunas de conocimiento que pueden traducirse en necesidades de investigación en relación a la efectividad de fármacos y sus determinantes, así como identificar la necesidad de estudios coste-efectividad.*

*Sólo conociendo los elementos locales que condicionan una determinada efectividad se podrán diseñar las estrategias de intervención que permitan acortar la distancia entre la eficacia y la efectividad de*

*muchos medicamentos. Sólo conociendo la efectividad de los medicamentos y utilizando los métodos adecuadamente, se podrán realizar estudios coste-efectividad. Sólo produciendo y utilizando la información adecuada, se podrán identificar los medicamentos que son más idóneos para tratar condiciones clínicas específicas.*

**A. GRANADO, P. GALLO**  
**Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica**

## **BIBLIOGRAFÍA**

1. Granados A, Borràs JM. Technology assessment in Catalonia: integrating economic appraisal. *Soc Sci Med* 1994;38:1643-6.
2. Jovell AJ, Navarro-Rubio MD. La evaluación de la evidencia científica. *Med Clin (Barc)* 1995;105:740-3.
3. Granados A, Jonsson E, Banta HD, Bero L, Bonair A, et al. EUR-ASSESS project subgroup report on dissemination and impact. *Int J Technol Asses Health Care* 1997;13:220-86.
4. Granados A, Escarrabill J, Borràs JM, Sánchez V, Jovell AJ. Utilización apropiada y efectividad: la oxigenoterapia crónica domiciliaria en Cataluña. *Med Clin (Barc)* 1996;105:251-3.
5. Drummond MF, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*. Oxford University Press, 1987.
6. Pons JMV. Marcadors o resultats intermedis en la mesura de l'efecte de les intervencions mèdiques. *Informatiu AATM* 1997;11:11-2.
7. Parish PA. Drug prescribing-the concern of all. *Journal of the Royal Society for Health* 1973;4:213-7.
8. Barber N. What constitutes good prescribing? *BMJ* 1995;310:923-5.
9. Sampietro-Colom L, Granados A. Evaluación de los contrastes iónicos de baja osmolaridad. Barcelona. Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica (SCS, Dep. S i SS. Generalitat de Catalunya). Novembre 1993 (IN93011).
10. Sampietro-Colom L, Granados A, Rico R, Asua J. Revisión de la evidencia sobre reducción de la pérdida de masa ósea y fracturas por Terapia Hormonal Sustitutiva y Calcitonina. Proyecto INAHTA sobre la Efectividad de la Medida de Densidad Ósea y de los tratamientos asociados en la prevención de fracturas. Documento base 3. Barcelona. Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica (SCS, Dep. de Sanitat y SS. Generalitat de Catalunya) y Servicio de Evaluación de Tecnologías Sanitarias/Osteba (Dep. de Sanidad, Gobierno Vasco). Setembre 1996 (en prensa).
11. Rovira J. Standardizing economic appraisal of health technology in the European Community. *Soc Sci Med* 1994;38:1675-8.