ObserveMHe
OBSERVATORIO DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Revisión de artículos

How Can We Optimize the Value Assessment and Appraisal of Orphan Drugs for Reimbursement Purposes? A Qualitative Interview Study Across European Countries

Blonda A, Denier Y, Huys I, Kawalec P, Simoens S. Front Pharmacol. 2022 Jul 19;13:902150

https://doi:10.3389/fphar.2022.902150

Dra. Mariló Edo Solsona

Farmacéutica especialista, Servicio de Farmacia, Hospital La Fe de Valencia

Dr. José Luis Poveda

Jefe de Servicio de Farmacia, Hospital La Fe de Valencia

Resumen

22 expertos en financiación de medicamentos huérfanos (MH) de 19 países europeos fueron incluidos en una encuesta cualitativa, seguida de entrevistas semiestructuradas en profundidad, con el objetivo de investigar cómo percibían los procesos de evaluación de MH en su país. Se identificaron los atributos positivos, las barreras y los factores externos que impactaban en todos estos procesos, y sobre la base de su experiencia y puntos de vista, brindaron una serie de recomendaciones específicas y prácticas para los tomadores de decisiones sobre cómo mejorar los procesos actuales de evaluación y financiación de MH, que se exponen a continuación.

- **Mejorar la disponibilidad de datos** favoreciendo el acceso a datos agregados y buscando la colaboración internacional para la validación de cuestionarios de calidad de vida (EQ-5D) y la definición de AVACs.

- **Fomentar la capacitación de los profesionales** sanitarios sobre materia farmacoeconómica.

- **Optimizar la estructura del marco de evaluación** optando por un proceso deliberativo trasparente, tal y como proporciona la metodología de Análisis de Decisión Multicriterio (ADMC), ponderando los criterios en consenso por un grupo multidisciplinar que reconozca un cierto grado de flexibilidad para permitir la mejora continua del marco.

- **Aumentar la transparencia** comunicando los criterios de reembolso, incluyendo los argumentos planteados durante la evaluación y aprendiendo a decir que no cuando la evidencia no es suficiente.

- **Minimizar el riesgo de sesgo** mejorando los procesos de participación de los pacientes (con y sin enfermedad) en las evaluaciones e involucrando a un comité ético que supervise dicha participación, excluyendo a las partes interesadas de subprocesos específicos de la evaluación siempre que se identifique un conflicto de intereses.

- **Tener en cuenta el coste de oportunidad** adoptando el principio de equidad en la evaluación y financiación de MH versus los medicamentos no huérfanos.

Resumen (cont.)

- **Mejorar la colaboración entre las partes** interesadas durante todo el proceso incluso en etapas tempranas con la EMA y estimular un mayor desarrollo de asociaciones internacionales de negociación conjunta como la Iniciativa Beneluxa o FINOSE.

- **Equilibrar el poder de negociación** mejorando la colaboración internacional entre las diferentes agencias de evaluación y definiendo, tanto un precio máximo internacional para MH, como los criterios nacionales de reembolso (y las ponderaciones, en su caso).

- **Incorporar acuerdos de riesgo compartido** (ARC) proporcionando una infraestructura tecnológica y humana para su seguimiento y establecer pautas claras para la interrupción del tratamiento cuando el MH no alcance los objetivos especificados.

De todas ellas, los autores establecieron las 5 "buenas prácticas" prioritarias a la hora de establecer un marco para la evaluación de MH y recogieron el grado de implementación de estas en los diferentes países participantes.

1) **Trasparencia en múltiples niveles**. Los criterios de reembolso estuvieron disponibles públicamente en la mayoría de los países. Sin embargo, los informes que se publicaron solo incluyeron el resumen de la decisión, sin figurar la discusión que tuvo lugar durante la evaluación.

2) **Participación de los pacientes**. Los participantes de la mitad países indicaron que involucraban a los pacientes a través del comité de evaluación o mediante la organización de audiencias de pacientes. En el resto, los pacientes o no participaron o se escucharon ocasionalmente a través de opiniones médicas. En cualquier caso, no hubo indicios de que la evidencia aportada por los pacientes estuviera estandarizada en ninguno de los países.

Resumen (cont.)

3) **Estructura clara para la toma de decisiones** con espacio para la flexibilidad. Casi la mitad de los países carecían de un marco claro para la toma de decisiones. Varios implementaron una lista de verificación y una minoría adoptó un método de tarjeta de puntuación en el que los criterios se sopesaban a través de la puntuación. No está claro en qué medida estos marcos permiten la mejora continua.

4) **Mecanismos para minimizar el sesgo**. En general, los países contaron con pocos mecanismos para garantizar que se minimizase el sesgo. Se compartieron "buenas prácticas" puntuales como: la discusión y registro interno de los intentos externos de ejercer presión sobre los miembros del comité o la exclusión de las partes interesadas de un subproceso en caso de conflicto de intereses.

5) **Consideración explícita del coste de oportunidad**, en general muy poco considerado en todos los países participantes.

Comentario

A través de la experiencia de los participantes, este estudio ha subrayado la importancia de la trasparencia y la confianza durante el proceso de evaluación y financiación de MH. Es por todos conocido el elevado coste de estos tratamientos y las incertidumbres que existen respecto a la efectividad de estos. Manejar tales incertidumbres mediante el uso de ARC que se conviertan en una parte integral del proceso de financiación y exijan una reevaluación periódica de los MH bajo acuerdo, puede brindar trasparencia en los precios y los resultados de la reevaluación, y parece la opción ganadora.

Por otra parte, tanto los determinantes contextuales identificados (influencia del sesgo y mala consideración del coste de oportunidad) que afectan directamente al proceso de financiación, como los atributos positivos y las barreras, que se relacionan principalmente con los métodos que guían la evaluación de MH, resaltan la necesidad de un marcho claro para la evaluación y la toma de decisiones, dejando al mismo tiempo, espacio para la mejora continua. En este sentido el marco ADMC se podría postular como la solución para explicitar los determinantes contextuales y estructurar la metodología de la evaluación incluyendo argumentos éticos, dando voz a las múltiples partes interesadas, todo ello con la trasparencia y responsabilidad necesarias para mejorar el proceso en su conjunto.

Por todo ello, varios son los autores que han postulado en la bibliografía la importancia de alinear el proceso de evaluación y financiación de MH a los cuatro principios de “Responsabilidad por la razonabilidad” (A4R): 1) transparencia en todos los niveles del proceso de financiación, 2) flexibilidad que permita la mejora continua del marco de acuerdo con los nuevos conocimientos, 3) inclusión de criterios y argumentos que sean pertinentes, razonables, basados en datos confiables y respaldados por todos los actores involucrados en el proceso y 4) ejecución del proceso y seguimiento de los resultados (ARC) a través de medidas reguladoras, políticas y económicas.

Comentario (cont.)

En conclusión, los tomadores de decisiones disponen en este artículo de una guía para mejorar la eficiencia del proceso de financiación de MH. Se trataría de limitar el impacto de los determinantes contextuales y seguir las recomendaciones explicadas alienando así el proceso a los principios A4R para aumentar la responsabilidad y legitimidad de la evaluación y financiación de MH.