ObserveMHe
OBSERVATORIO DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Revisión de artículos

HTA criteria adopted in different models of public healthcare systems for orphan drugs: A scoping review

Felippini A, Biglia LV, Lima TM, Aguiar PM. Health Policy. 2024 May 6;144:105080

https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2024.105080

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

El acceso a medicamentos huérfanos (MMHH) para enfermedades raras (EERR) es un proceso complejo influenciado por factores como los incentivos políticos para la investigación, la aprobación regulatoria, la disponibilidad del mercado, los resultados de la evaluación de tecnologías sanitarias (ETS) y los procesos de reembolso (públicos o privados). Sin embargo, en países con atención médica universal, ese acceso puede ser particularmente difícil debido a la creciente presión sobre los presupuestos de salud de los gobiernos. La compra de costosos MMHH a menudo requiere recortes presupuestarios en otras áreas para garantizar la sostenibilidad financiera.

En este contexto, es esencial identificar y hacer explícitos criterios justos, consistentes y equitativos para el reembolso de MMHH. En los sistemas públicos de salud, los procesos de toma de decisiones para la incorporación de tecnología suelen ser llevados a cabo por agencias de ETS. Si bien los procesos convencionales de evaluación son importantes para mejorar la eficiencia y eficacia de la atención sanitaria, a menudo se consideran insuficientes para abordar las necesidades específicas de los pacientes con EERR. Por lo tanto, existe la necesidad de criterios diferenciados para los MMHH que tengan como objetivo equilibrar el valor agregado del tratamiento considerando la incertidumbre de la evidencia clínica y la mayor relación coste-efectividad incremental en comparación con los umbrales tradicionales de disposición a pagar.

Con este objetivo, los autores del artículo quisieron mapear y resumir los criterios específicos adoptados por las agencias de ETS en 19 países con diferentes modelos de sistemas de salud públicos evaluando las recomendaciones de reembolso emitidas para MMHH. Para ello clasificaron los 19 países en tres modelos de sistemas de salud públicos: modelo NHS (Sistema Nacional de Salud) o Beveridge, modelo NHI (Seguro Nacional de Salud) y modelo SHI (Seguro Social de Salud) o Bismarck.

1. **El modelo NHS**, presente en Brasil, Inglaterra, Finlandia, Irlanda, Italia, Escocia, España, Suecia y Gales, mostraba como criterios de evaluación más valorados: las necesidades insatisfechas, las aprobaciones condicionales, la naturaleza de la enfermedad, el impacto en los aspectos organizativos y la innovación.

Resumen (cont.)

En Inglaterra, además del proceso estándar de ETS, los MMHH que cumplen ciertos criterios pueden someterse a una evaluación a través del programa de Tecnología Altamente Especializada.

Este programa emplea un marco de evaluación único que considera la necesidad insatisfecha, la naturaleza de la condición (rareza y gravedad), el impacto de la enfermedad en la calidad de vida de los cuidadores, otros beneficios más allá de la salud, la innovación y el impacto en los aspectos organizativos del NHS. Se suelen ofrecer aprobaciones condicionales para mitigar los altos valores de ICER (ratio de coste eficacia incremental), así como un umbral de impacto presupuestario anual de £ 20 millones antes de reevaluar el medicamento y renegociar los precios.

En Italia, los MMHH pueden inscribirse en un proceso de ETS acelerado, incluso antes de la autorización de comercialización. Este proceso cuenta con un fondo de reembolso único, da preferencia a tecnologías innovadoras y puede permitir aprobaciones condicionales, siempre que el fabricante aporte nuevos datos de rentabilidad o beneficios adicionales para la reevaluación acordada.

En cuanto a Finlandia, utiliza un programa de red de seguridad como vía diferenciada para evaluar los MMHH. Los programas de red de seguridad se refieren a canales en los que los pacientes, los médicos o la industria pueden solicitar la reevaluación de los medicamentos que no fueron aprobados por la vía habitual.

2. **El modelo NHI**, presente en Australia, Canadá y Corea del sur, puso más énfasis en las necesidades no cubiertas y en los análisis económicos condicionales, es decir, la exención de presentar ciertos tipos de análisis económicos durante la evaluación por parte de la agencia HTA si se cumplían algunos atributos. Sin embargo, los tres países emplean un proceso de ETS no diferenciado para MMHH.

3. **Finalmente, el modelo SHI**, presente en Argentina, Francia, Alemania, Holanda, Polonia, Rusia y Suiza, dio más importancia a los procesos acelerados y al impacto presupuestario. En otras palabras, los países que siguen el modelo de Bismarck tienden a priorizar la evaluación de MMHH o aquellos que cumplen criterios considerados importantes, al tiempo que imponen un límite de costes.

Resumen (cont.)

En Francia, todos los medicamentos se evalúan únicamente en función del beneficio terapéutico, calculado para ofrecer tres niveles de reembolso y cinco niveles de mejora terapéutica en comparación con las alternativas. Esta evaluación guía la tasa de cobertura y las negociaciones de precios, y se puede acelerar la evaluación de los MMHH si se clasifican como medicamentos con un alto grado de innovación. Durante el proceso de ETS, no existe un umbral ICER y no se requieren análisis económicos si el impacto presupuestario se mantiene por debajo de 20 millones de euros al año.

En Alemania, los medicamentos no huérfanos son evaluados por la agencia IQWiG, sin embargo, los MMHH se transmiten al G-BA para una evaluación acelerada. Durante el proceso de ETS para cualquier medicamento, no se requieren análisis económicos si el impacto presupuestario anual se mantiene por debajo de 50 millones de euros. En caso contrario, se emplea un análisis de coste-beneficio. Después del primer año de reembolso, los precios se renegocian sobre la base de un análisis económico completo y datos de efectividad del mundo real.

En Holanda, se da preferencia a los medicamentos que evalúan necesidades insatisfechas y condiciones que amenazan la vida, transfiriéndolos a una lista acelerada para su evaluación. Todos los medicamentos con autorización de comercialización están exentos de ETS siempre que el coste anual por paciente sea inferior a 25.000 euros o el impacto presupuestario anual total no supere los 2,5 millones de euros. Si se superan estos umbrales, durante el proceso de ETS, no se requieren análisis económicos si el impacto presupuestario se mantiene por debajo de 50 millones de euros/año, o por debajo de 10 millones de euros/paciente/año, o en caso de necesidad insatisfecha.

Comentario

Los autores de esta revisión examinaron 29 estudios que abordaron los criterios adoptados por las agencias de ETS en 19 países con sistemas de salud públicos para realizar sus recomendaciones de reembolso al evaluar los MMHH. Aunque hubiera sido lógico pensar que los criterios económicos iban los más prevalentes en las discusiones y en los procesos de evaluación, los datos encontrados no respaldan tal suposición. Si bien existe gran interés por parte de los sistemas sanitarios en los costes, el predominio de los términos de necesidad insatisfecha y naturaleza de la enfermedad, en los tres modelos, sugiere un mayor enfoque en contextualizar las condiciones de vida de los pacientes con EERR y el deber del sistema sanitario de atenderlos.

La mayoría de los países estudiados (Inglaterra, Finlandia, Francia, Alemania, Irlanda, Italia, Países Bajos, España y Suiza), independientemente del modelo de atención sanitaria, implementan programas de red de seguridad con criterios diferenciados para MMHH para la reevaluación. A menudo, los cambios que se requieren se refieren a análisis económicos o requisitos de evidencia, lo que indica que los costes y la certeza de la efectividad son las principales barreras para lograr la aprobación por parte de las agencias de ETS. Esta evaluación diferenciada se produce bien tras el rechazo por parte de la agencia, como ocurre en los programas de red de seguridad o bien antes, mediante un proceso acelerado. Entre los nueve países que siguen el modelo NHS, sólo Italia utiliza un proceso acelerado con fondos únicos para MMHH. En cambio, de los siete países con el modelo SHI, cuatro (Francia, Alemania, Países Bajos y Suiza) adoptan este criterio. Además, los sistemas SHI también tienden a considerar el impacto presupuestario. Es decir, si el coste anual del reembolso de medicamentos para el sistema no alcanza un cierto valor, su evaluación por la agencia de ETS no requiere de análisis económicos, o incluso existe una exención total de ser evaluado al principio, como ocurre en Holanda. Estos criterios se alinean con el valor que el modelo SHI otorga a los derechos individuales, para garantizar tanto el acceso a los medicamentos, como si es posible, a múltiples opciones de medicamentos. Por el contrario, los sistemas NHS priorizan la eficiencia como pagador y proveedor único, fortaleciendo los vínculos entre el gobierno, el sistema de salud y su personal. Con tal proximidad, el sistema hereda el poder adquisitivo del Estado, así como su necesidad de gastar los fondos públicos de manera eficiente.

Comentario (cont.)

Por lo tanto, los criterios económicos se muestran de manera más marcada como aprobaciones condicionales, negociaciones de precios y contratos de riesgo compartido. Además de las consideraciones hechas a la innovación, el impacto en la calidad de vida de los cuidadores y el impacto en los aspectos organizativos, todos los criterios predominantes del NHS indican una visión más general del bienestar del país a largo plazo otorgado por la implementación del modelo Beveridge.

Me parece interesante destacar que, aunque no fue excesivamente prevalente en ninguno de los modelos, la participación de los pacientes estuvo presente en todos ellos. Especial reconocimiento a la iniciativa del Reino Unido de implementar esta participación con un programa adecuado, formularios de presentación y un lugar designado en el proceso de evaluación, en lugar de solicitudes esporádicas de los fabricantes de MMHH o del comité de evaluación de ETS. La participación de los pacientes es inmensamente importante para ayudar a identificar mejoras clave en la calidad de vida y otros beneficios adicionales durante la evaluación.

En resumen, dado que el debate sobre la sostenibilidad de los sistemas de salud públicos está ganando fuerza en los últimos tiempos, comprender los criterios de las ETS para EERR adoptados en diferentes contextos de salud pública, es crucial para el debate y puede contribuir al desarrollo de políticas basadas en evidencia más equitativas y efectivas que aborden los desafíos del acceso a MMHH. Además, tras haber reconocido un hilo común entre los diversos modelos de atención médica pública, parece conveniente que cada país adapte el método de evaluación para el reembolso de MMHH a sus características específicas, considerando sus valores culturales únicos, sus prioridades en salud y la estructura de su sistema sanitario. La flexibilidad en los criterios de evaluación puede permitir a los países adaptar sus enfoques para satisfacer sus necesidades específicas, al tiempo que garantiza una toma de decisiones sólida y basada en evidencia.