ObserveMHe
OBSERVATORIO DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Revisión de artículos

Societal Preferences in Health Technology Assessments for Rare Diseases and Orphan Drugs: A Systematic Literature Review of New Analytic Approaches

Vásquez P, Hall L, Merlo G. Value Health Reg Issues. 2024 Nov;44:101026

https://doi: 10.1016/j.vhri.2024.101026

Dra. Mariló Edo Solsona

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

Dr. José Luis Poveda

Coordinador científico
ObserveMHe

Resumen

El acceso a las terapias para enfermedades raras (EERR) es limitado por la falta de conocimiento de la historia natural, la evidencia clínica limitada, el poco consenso de expertos y la incertidumbre en las estimaciones de coste-efectividad. Todo ello las hace en muchas ocasiones no elegibles para el reembolso público sosteniendo algunos autores que los criterios estándar que se utilizan en las evaluaciones de tecnologías sanitarias no son adecuados en el caso de los medicamentos huérfanos (MMHH). Además, el enfoque actual de delegar el proceso de establecimiento de prioridades exclusivamente a organismos de expertos, excluyendo las perspectivas de otras partes interesadas, especialmente los pacientes, ha resultado en una falta de democracia y una atmósfera incierta. Para abordar esta cuestión, las preferencias sociales deberían integrarse en el proceso de priorización, sin embargo, las evaluaciones de tecnologías sanitarias convencionales solo miden los beneficios de calidad de vida relacionados con la salud y no reflejan esta perspectiva.

En este sentido, los autores del presente artículo realizaron una revisión sistemática de la literatura en la que recopilan las experiencias mundiales de integración de las preferencias sociales en las evaluaciones de tecnologías sanitarias (ETS) para EERR y MMHH mediante la implementación de diferentes metodologías: análisis de decisión multicriterio (MCDA), experimentos de elección discreta (DCEs) y método de compensación entre personas (PTO). Para ello, se propusieron 3 objetivos específicos: 1) reflexionar sobre la importancia de incluir los valores y preferencias sociales en las ETS para MMHH; 2) analizar la confiabilidad de los métodos diseñados para medir los valores y preferencias sociales en materia de MMHH (MCDA, DCEs y PTO); y 3) reflexionar sobre la viabilidad de implementar estos instrumentos como parte de las ETS en el contexto de las EERR.

Fueron 33 los estudios que cumplieron con los criterios de inclusión, la mayoría provenientes de países europeos y Canadá, aunque también se incluyeron algunos de Australia, Colombia, Israel y EEUU. Para evaluar los valores y preferencias de la sociedad, 17 publicaciones abordaron el MCDA, 6 DCEs y 4 el PTO.

El MCDA es una herramienta de toma de decisiones basada en criterios multidimensionales y su impacto o importancia relativa asignada a ellos, que compara tecnologías sanitarias combinando criterios individuales en una valoración global.

Resumen (cont.)

Varios han sido los marcos de criterios propuestos para evaluar MMHH, pero tal vez el marco EVIDEM (Evidence and Value Impact on Decision Making) ha sido el más evaluado, actualizado e implementado en varios entornos de toma de decisiones de vida real en EERR. Al marco original se han ido agregando subcriterios relacionados con el impacto de la enfermedad en la expectativa de vida, la morbilidad, la calidad de vida de los pacientes y cuidadores, los resultados reportados por los pacientes, los costes sociales y la productividad de los pacientes y sus cuidadores. Este marco se probó en el contexto europeo y estadounidense donde se incluyeron ponderaciones de criterios, puntajes de desempeño, impactos cualitativos y percepciones de los pacientes y se calculó la contribución de valor de cada criterio, mostrando que la gravedad de la enfermedad y las necesidades de salud fueron más relevantes en Francia, y la efectividad comparativa y la calidad de la evidencia en España. Además, los pacientes valoraron la salud percibida por el paciente y la calidad de vida por encima de los costes. En el entorno estadounidense los criterios relacionados con el impacto de la enfermedad (gravedad, supervivencia, supervivencia libre de progresión y eventos adversos fatales) y el impacto del nuevo medicamento (efectividad, seguridad y beneficio terapéutico) se clasificaron con mayor peso. Otro estudio reciente en Europa del este remarca que los criterios más relevantes en Rumania, Países Bajos, Rusia y Turquía estaban relacionados con la necesidad de intervención (gravedad de la enfermedad y necesidades de salud no satisfechas), los beneficios de la intervención se priorizaron en Kazajstán y Polonia y las consecuencias económicas de la intervención se consideraron el criterio más relevante solo en Ucrania. Finalmente, la priorización de la rareza de la enfermedad recibió un peso bajo de manera uniforme en todos los entornos.

Por el contrario, los DCEs constituyen una metodología cuantitativa para obtener las preferencias de los participantes, pidiéndoles que elijan entre un conjunto de alternativas presentadas en escenarios hipotéticos en función de sus atributos y niveles asociados. En el caso que nos ocupa se investigó en los 8 estudios explorados si existían preferencias para tratar las EERR sobre las enfermedades comunes. En general, las personas no parecían estar dispuestas a pagar más por año de vida para tratar EERR sobre las comunes, sino que valoraban el acceso igualitario a la salud para todos. Los criterios de preferencia pública fueron la gravedad de la enfermedad, la efectividad, la calidad de vida y la seguridad, pero no la rareza, el estado socioeconómico o los hábitos de vida.

Comentario

Finalmente, el método PTO pide a los encuestados que seleccionen el número de pacientes para los que preferirían que el sistema de salud asignara recursos, eligiendo entre 2 escenarios. La conclusión que se extrae de los 4 artículos incluidos es que la rareza no afectó las preferencias del público general ni de los médicos. En los casos en los que el coste era el mismo la mayoría de los encuestados prefería asignar recursos por igual a EERR y a comunes. Sin embargo, cuando el coste era desigual los encuestados preferían asignar fondos para tratar las enfermedades comunes.

COMENTARIO

Cada vez son más relevantes los diferentes métodos para evaluar las perspectivas, los valores y las preferencias sociales como parte del proceso de establecimiento de prioridades para el tratamiento de las EERR con financiación pública. Existe la preocupación de que los criterios convencionales de evaluación de tecnologías de la salud no sean adecuados para los MMHH, y existe un consenso de expertos sobre la necesidad de incorporar criterios de preferencia social en este proceso. Un hallazgo común de las diferentes publicaciones que revisa este artículo es que los pacientes y los médicos no priorizaron la financiación en función de la rareza de la enfermedad. Las personas están dispuestas a asignar fondos solo si se ha demostrado que el tratamiento es eficaz y mejora la calidad de vida. El público en general no considera que los criterios de beneficio del tratamiento sean los más relevantes para las EERR. Los atributos más cruciales para ellos son la gravedad de la enfermedad, las necesidades de salud no satisfechas y la calidad de vida. En contraste, los expertos clínicos y económicos dan más importancia a la relación coste-efectividad y la calidad de la evidencia. Además, los expertos de las agencias de ETS tienden a preferir su proceso actual de revisión de medicamentos, mostrando, sin embargo, preocupación por la imparcialidad del proceso, particularmente para los MMHH.

Los hallazgos de esta revisión se limitan al uso de 3 instrumentos (MCDA, DCEs y PTO) para medir las preferencias sociales en el proceso de establecimiento de prioridades que proporcionan un enfoque deliberado y trasparente, sin embargo, se han planteado preocupaciones metodológicas con respecto a los métodos de puntuación, los efectos de encuadre y la medición de las preferencias públicas.

Comentario (cont.)

La arbitrariedad y la subjetividad en la selección de criterios, la adaptación de ponderaciones y los modelos de medición de valores podrían introducir sesgos de priorización. Además, el riesgo de simplicidad, sobreponderación, doble contabilización de los criterios de decisión e inconsistencia interna con los ejercicios de clasificación son otras cuestiones relevantes que hay que tener en cuenta. Debido a estas limitaciones, algunos autores consideran que la evidencia disponible sobre MCDA, DCEs y PTO, entre otros, aún no está madura. Además, la mayoría de los métodos piloto revisados en este trabajo y otros se han llevado a cabo en países de altos ingresos con gobiernos democráticos estables, sistemas de salud bien financiados y una fuerte estabilidad económica y social, factores que influyen en los valores y prioridades sociales. Estos países asignan fondos a terapias costosas, investigación e innovación dado que han resuelto problemas de salud primaria. De esta manera, pueden realizar ETS a gran escala. El contexto limitado podría limitar la generalización de los hallazgos y métodos a otros lugares como los países de ingresos bajos y medios que han visto un aumento en la prevalencia de las EERR. Por lo tanto, se necesita más investigación en África, Asia y América Latina, donde la brecha de acceso a la salud es tremendamente más extensa y profunda.

Los expertos, las agencias de salud y los gobiernos que han informado que estos métodos son valiosos y confiables para capturar las perspectivas sociales podrían representar facilitadores para futuras investigaciones y para poner a prueba estos métodos. Estos actores deben liderar el proceso de cambio hacia la incorporación de diferentes perspectivas en instancias deliberativas y democráticas en los procesos de establecimiento de prioridades. Los países y sus instituciones de salud donde se han realizado la mayoría de los estudios tienen experiencia, conocimiento y apoyo económico para implementar este cambio. Sin embargo, será necesario investigar los argumentos en contra de la inclusión de MCDA, DCEs o PTO en la ETS para saber si estos se basan en las limitaciones metodológicas mencionadas de estas herramientas o en la falta de escrutinio público de las decisiones de política sanitaria de las instituciones de salud.

En conclusión, el MCDA, los DCEs y el PTO son métodos útiles, transparentes y confiables para evaluar las preferencias, los valores y las perspectivas sociales como parte de la evaluación de tecnologías de la salud para las EERR.

Comentario (cont.)

- Parece claro que el proceso de priorización debe incluir factores adicionales más allá de los beneficios estimados de calidad de vida relacionados con la salud medidos por años de vida ajustados por calidad, como la gravedad, la productividad laboral, el bienestar subjetivo, la satisfacción con la atención médica o la reducción de la desigualdad en el acceso a la salud. Sin embargo, estos métodos tienen limitaciones metodológicas, que han obstaculizado su uso en las políticas de salud actuales y los procesos de toma de decisiones para las EERR. Las agencias internacionales de ETS que ya han adoptado estas herramientas están bien posicionadas para promover su integración en sus procesos de toma de decisiones. Los estudios cualitativos deberían acompañar estos esfuerzos para adaptar y contextualizar estos métodos de manera adecuada, facilitando en última instancia decisiones más informadas, equitativas y trasparentes con respecto a la asignación de recursos para tratamientos de EERR.