

ev@lua

NUEVAS ESTRATEGIAS
DE EVALUACIÓN

EL PAPEL DE LA EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS (ETS) EN LA POLÍTICA FARMACÉUTICA

VERSIÓN ABREVIADA



Antonio Escudero, Luis Lizán, Susana Aceituno, Jaume Ribera
Estudio basado en las aportaciones de un comité de expertos

Con la colaboración de  Outcomes¹⁰

NOVIEMBRE DE 2017

ES-ABBV-170182

PROYECTO PATROCINADO POR


ÍNDICE

1. Introducción	5
2. Objetivos	5
3. Comité de expertos	5
4. Metodología	6
5. Resultados	7
6. Conclusiones	18
Referencias	19
Notas aclaratorias	22

1. Introducción

Con base en la definición de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) propuesta por la European network for Health Technology Assessment (EunetHTA), el fin que persigue la ETS es introducir la racionalidad en la incorporación en el mercado de las innovaciones tecnológicas, aplicando el conocimiento científico al cuidado y la prevención de las enfermedades [1]. En este sentido, la ETS puede actuar como un instrumento facilitador de la toma de decisiones a distintos niveles (macro, meso y micro), proporcionando la información necesaria para un uso eficiente de los recursos disponibles [2]. No obstante, aún existen numerosos factores que impiden su consolidación como herramienta eficaz de apoyo para la toma de decisiones en política farmacéutica. Algunos de los obstáculos a los que se enfrenta la ETS en Europa son la insuficiencia de recursos, los retrasos en la evaluación, el establecimiento inadecuado de prioridades, las insuficientes cooperación y armonización a nivel internacional y la difusión limitada de las conclusiones [3].

La actual Ley 29/2006 de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios especifica que el procedimiento para la financiación pública de un nuevo medicamento en España se debe regir por los criterios de gravedad de la patología, valor terapéutico y social del medicamento, grado de innovación, existencia de alternativas y racionalización del gasto público [4]. Las posteriores modificaciones (RD-Ley 9/2011, RD-Ley 16/2012 y RD Legislativo 1/2015) han ido haciendo hincapié en el uso de análisis coste-efectividad e impacto presupuestario como métodos para la racionalización del

gasto y el posicionamiento respecto a otras alternativas terapéuticas [5-7]. Estas consideraciones, comprensibles en un contexto de crisis económica como el actual, han supuesto que, en los últimos años, se haya dado una progresiva importancia al criterio económico en la toma de decisiones en política farmacéutica. No obstante, el sector se está comenzando a cuestionar cómo esta focalización en costes y resultados a corto plazo puede complementarse con una visión más a largo plazo u otras consideraciones clave, como el impacto social.

2. Objetivos

Los objetivos generales del proyecto han sido:

- Identificar las barreras o limitaciones existentes en el papel actual de la ETS sobre la toma de decisiones en política farmacéutica en España, explorando posibles estrategias de mejora para superarlas.
- Identificar y priorizar los criterios a valorar en la ETS para mejorar la toma de decisiones en política farmacéutica.

3. Comité de expertos

Un comité de expertos multidisciplinar formó parte del proyecto para debatir y llegar a un consenso sobre los aspectos abordados. Este comité estaba integrado por representantes de pacientes, representantes de entidades evaluadoras, representantes de servicios regionales de salud, médicos especialistas, especialistas en farmacia hospitalaria y expertos en economía de la salud (Figura 1).

Figura 1. Comité de expertos

EQUIPO COMÚN	EQUIPO ENFERMEDADES ONCOHEMATOLÓGICAS	EQUIPO ENFERMEDADES INFLAMATORIAS INMUNOMEDIADAS (IMID)
César Hernández Jefe Dpto. Medicamentos Uso Humano. AEMPS	Begoña Barragán Representante de pacientes (AEAL y GEPAC)	Carina Escobar Representante de pacientes (UNIMID)
Pedro Gómez Pajuelo Representante MSSSI	Ruth Vera Médico especialista Oncología (Vicepresidente SEOM)	Javier P. Gisbert Médico especialista Gastroenterología
Miguel Ángel Calleja Presidente de la SEFH	Felipe Casado Médico especialista Hematología	José Luis Andreu Médico especialista Reumatología (Presidente SER)
Ana Ortega Eslava Especialista Farmacia Hospitalaria		
José Félix Lobo Economista de la Salud (Univ. Carlos III)		
Manuel García Goñi Economista de la Salud (Univ. Complutense de Madrid)		
Jon Iñaki Betolaza Director de Farmacia del Gobierno Vasco		

4. Metodología

La metodología empleada para el desarrollo del proyecto ha comprendido cinco fases. Cada una de ellas responde a un objetivo distinto (Figura 2).

Figura 2. Metodología empleada en el proyecto



FASE 1: 1.ª revisión de la literatura

Con el objetivo de analizar la situación actual del papel de la ETS en la toma de decisiones de política farmacéutica en España e identificar posibles limitaciones y estrategias de mejora, se llevó a cabo una revisión de la literatura en bases de datos nacionales e internacionales (Medline/PubMed, Cochrane Library e Índice Bibliográfico Español en Ciencias de la Salud - IBECS), fuentes bibliográficas de literatura gris (Google académico) y las principales páginas web de agencias de evaluación (RedETS, AEETS, ISCIII, AETSA, AVALIA-T, SECS, OSTEBA, IACS, AQUAS, EUnetHTA, NICE, HAS, AIFA, etc.), instituciones de interés y otros organismos oficiales (EMA, ISPOR, etc.).

FASE 2: encuesta a personas clave en evaluación y política farmacéutica

Para contrastar los principales hallazgos obtenidos de la revisión de la literatura, se procedió a la elaboración y difusión de una encuesta a los asistentes de la «2.ª Jornada sobre Evaluación de eficiencia y política sanitaria» organizada por la Universidad Carlos III de Madrid en colaboración con AbbVie y realizada en la sede de la Academia de las Artes y

las Ciencias Cinematográficas de España (Madrid), el día 27 de octubre de 2016.

Esta encuesta, que pretendía indagar acerca de las opiniones de diferentes protagonistas del sistema de salud en nuestro país, se dividió en tres bloques temáticos: 1) Barreras encontradas para que la ETS influya sobre la toma de decisiones en política farmacéutica; 2) Cuestiones controvertidas en evaluaciones económicas; 3) Criterios a considerar y modelos a emplear en la toma de decisiones sobre financiación. En cada uno de los bloques se presentaron una serie de afirmaciones o preguntas relativas a los temas tratados y los encuestados tenían que expresar su grado de acuerdo o desacuerdo con las aseveraciones u opciones presentadas.

FASE 3: 1.ª sesión con el comité de expertos

Los resultados obtenidos en las primeras dos fases del proyecto fueron compartidos con los expertos y se realizó una primera reunión con el objetivo de identificar y priorizar las actuales limitaciones y posibles estrategias para que la ETS influya sobre la toma de decisiones en

política farmacéutica. Para abordar estos temas, se empleó la técnica del grupo nominal (TGN)^a, junto con elementos de la técnica del Metaplan^b y del sistema de valoración de escenarios típico de la técnica RAND/UCLA^c, para la valoración de las propuestas.

En primer lugar, se plantearon las siguientes cuestiones: ¿Cuáles son las principales dificultades, limitaciones y obstáculos que deberían superarse para que la ETS influya en la definición de la política farmacéutica en España? (En adelante, barreras); ¿Qué medidas cree usted que deberían implementarse para superar estas dificultades, limitaciones y obstáculos? (En adelante, estrategias).

Posteriormente, se llevó a cabo una discusión de grupo de carácter semiestructurado, primero con las barreras y a continuación con las estrategias. La discusión seguía la siguiente estructura: generación silenciosa de ideas, exposición de las ideas individuales, aclaración de las ideas expuestas y priorización de las ideas propuestas.

FASE 4: 2.ª revisión de la literatura

Para la identificación de posibles criterios a utilizar en la evaluación de medicamentos, especialmente aquellos destinados a enfermedades inflamatorias inmunomediadas (IMID) y oncohematológicas, se llevó a cabo una segunda revisión de la literatura en bases de datos internacionales (Medline/Pubmed, Cochrane Library) y en fuentes bibliográficas de literatura gris (Google académico). Asimismo, se revisaron los procedimientos de las principales agencias de ETS y se consultaron los estudios e iniciativas de diferentes grupos de trabajo, dirigidos a la estandarización de criterios para la evaluación de medicamentos y/o intervenciones sanitarias tales como EVIDEM (Evidence and Value: Impact on DEcision Making) collaboration, BEACON (Burden/target population, Environment, Affordability/value, Comparator, Outcomes, Number of studies / quality of evidence) framework, EVITA (evaluation of pharmaceutical Innovation with regard to Therapeutic Advantage), ICER (Institute for Clinical and Economic Review) y CER-CI (Comparative Effectiveness Research – Collaborative Initiative).

FASE 5: 2.ª sesión con el comité de expertos

Finalmente, se llevó a cabo una segunda reunión del comité de expertos con el objetivo de alcanzar un consenso acerca de los posibles criterios a emplear en la evaluación de medicamentos y de las acciones concretas a realizar para que la ETS pueda influir sobre la toma de decisiones en política farmacéutica. Para responder a estos objetivos, la reunión se estructuró en las siguientes fases:

i) presentación de los resultados de la primera sesión; ii) identificación y priorización de acciones concretas para implementar las estrategias de mejora previamente propuestas: se solicitó a los participantes que propusieran dos acciones concretas para implementar las estrategias identificadas y, de todas las acciones propuestas por el grupo, que puntuaran (con 3, 2 o 1 puntos) las acciones prioritarias de mayor importancia; iii) presentación de las características del mercado actual de farmacia hospitalaria y de las diferencias entre las áreas de IMID y enfermedades oncohematológicas; iv) propuesta, selección y priorización de criterios para la evaluación de medicamentos en las dos áreas citadas (trabajo en grupo): se revisaron los criterios, y subcriterios, previamente identificados en la revisión de la literatura, y se dividió a los participantes en dos grupos para realizar un trabajo de discusión específica para enfermedades oncohematológicas e IMID, respectivamente. Se solicitó a los participantes que eliminaran, añadieran o modificaran los criterios y subcriterios que consideraran necesarios a partir de los identificados en la literatura, hasta un máximo de diez. Una vez consensuados, se pidió a cada equipo de trabajo que puntuara los criterios y subcriterios elegidos repartiendo 100 puntos, respectivamente, teniendo en cuenta que una mayor puntuación indicaba mayor importancia del criterio o subcriterio. Finalmente, se realizó una puesta en común de los resultados de ambos grupos.

5. Resultados

FASE 1: análisis de la situación actual del papel de la ETS en la toma de decisiones de política farmacéutica en España

Los resultados obtenidos a partir de la revisión de la literatura indican que, pese a la notable actividad evaluadora llevada a cabo en nuestro país, aun no se ha realizado, a día de hoy, un análisis sistemático de la influencia de la ETS en la política farmacéutica en los diferentes niveles de gestión [2]. No obstante, la limitada información encontrada en relación específicamente con las evaluaciones económicas sugiere el poco uso de estas en la toma de decisiones [8].

El análisis de las posibles barreras o limitaciones al origen de este escaso impacto ha permitido determinar que la mayoría de ellas se relaciona con: 1) estructura organizativa y rigidez del sistema sanitario (tensión entre un Gobierno central y una asistencia sanitaria descentralizada, rigidez en la gestión de las partidas presupuestarias y falta de voluntad política); 2) falta de aceptación social de la ETS; 3) ausencia de estandarización y de transparencia del proceso de evaluación (carencia de una metodología y de criterios de priorización explícitos, falta de contextualización,

formato inadecuado de los informes, retraso en la emisión y no difusión de las recomendaciones); 4) escasa formación en economía de la salud [8-17].

En respuesta a las barreras encontradas, se han identificado en la literatura diferentes estrategias para mejorar el impacto de la ETS en la toma de decisiones. En relación con las barreras referentes a la estructura organizativa y a la rigidez del sistema sanitario español, los diferentes autores proponen, por una parte, dotar de un papel institucional a entes como la Red Española de Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Prestaciones del Sistema Nacional de Salud (RedETS), para suplir a la ausencia de un organismo regulador único con función de apoyo a la toma de decisiones [2, 18, 19]. Por otra parte, se sugiere promover la participación de los diferentes actores del sistema, incluyendo los partidos políticos, en el proceso de definición de unos criterios explícitos en los que basar la evaluación y, por ende, la toma de decisiones [18, 20]. Asimismo, se propone dotar de una mayor flexibilidad a los presupuestos, supeditada a la ejecución de actividades calificadas como eficientes [14]. Por otro lado, para promover la aceptación social de la ETS, se recomienda una mayor transparencia, así como la involucración de todos los agentes (industria, políticos, profesionales clínicos, pacientes y ciudadanos) en las distintas fases del proceso de evaluación [8, 9, 12, 18, 19, 21]. Para solventar el problema de las barreras metodológicas encontradas se sugiere, en primer lugar, llevar a cabo una estandarización y unificación de la metodología utilizada para la realización de las ETS y, en segundo lugar, una homogeneización y explicitación de los criterios de priorización y evaluación de las tecnologías [14, 18]. Por lo que concierne al establecimiento de prioridades, algunos autores sugieren la implantación de programas de *"horizon scanning"* con el objetivo de proporcionar asesoramiento sobre el impacto potencial de tecnologías emergentes antes de que lleguen al mercado [21, 22]. Adicionalmente, para favorecer la contextualización de las recomendaciones y su implementación en la práctica clínica habitual, se propone la incorporación en la evaluación de la información procedente de estudios de efectividad comparada (ensayos pragmáticos, registros y estudios observacionales) y adaptar las recomendaciones a las necesidades de los usuarios finales [2, 3, 9, 12]. Por otro lado, se sugiere mejorar el formato (mayor claridad y concisión), el contenido (por ejemplo, con inclusión de información aportada por el paciente) y la difusión (por ejemplo, mediante la publicación en formatos digitales) de los informes de ETS, junto con una mayor explicación de la relevancia de los resultados en la práctica clínica [2, 13, 14, 19]. Finalmente, en relación con la falta de formación sobre economía de la salud, algunos autores sugieren el desarrollo de planes a largo plazo dirigidos a intensificar

la formación en economía de la salud entre los diferentes profesionales, así como mejorar el acceso a este tipo de formación [13, 14].

En este sentido, la evidencia actualmente disponible permite comprobar que algunas de las principales agencias de evaluación de tecnologías en el entorno europeo ya han incorporado en sus procedimientos algunas de las estrategias de mejora identificadas en los estudios de ámbito nacional. En este contexto, el National Institute for Health and Care Excellence (NICE) (Inglaterra y Gales) y el Swedish Council on Health Technology Assessment (SBU) (Suecia) destacan por el nivel de transparencia y estandarización de los diferentes aspectos del proceso de evaluación (criterios de decisión y priorización, plazos a cumplir, metodología para la evaluación de la eficacia y eficiencia [análisis de coste-efectividad], indicadores de salud) [2, 23]. Adicionalmente el NICE define claramente un umbral de coste-efectividad en el que basa la toma de decisiones, aunque mantiene cierta flexibilidad en la evaluación de algunas tecnologías que se fundamenta en criterios explícitos (incertidumbre acerca del ratio coste-efectividad incremental, impacto en la calidad de vida y grado de innovación) [2, 24-27]. Asimismo, para resolver la tensión entre la necesidad de basar las decisiones en unos criterios explícitos y transparentes y la presión por parte de los pacientes para acceder a los nuevos tratamientos, el instituto ha definido unos criterios específicos para la toma de decisión relativa a la financiación de fármacos «para situaciones terminales», lo que permite, en algunas situaciones, extender el umbral normalmente comprendido entre 20.000 y 30.000€/AVAC hasta 40.000-50.000€/AVAC [26, 28, 29]. En este sentido, también destaca la Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (Italia), con la introducción de mecanismos en los que la financiación de algunos fármacos de alto coste (por ejemplo, tratamientos oncológicos innovadores) está supeditada a la estipulación de acuerdos de riesgo compartido (ARC) entre fabricante y pagador [30]. Otras experiencias interesantes provenientes del entorno europeo se relacionan con el desarrollo de iniciativas para facilitar la involucración de los representantes de los diversos grupos (pacientes, médicos, sociedades científicas, fabricantes, pagadores, expertos, etc.) en la ETS [24]. En 2002, por ejemplo, el NICE creó el Citizens Council, para obtener una perspectiva pública acerca de los aspectos claves que guían los procesos del instituto [24]. Asimismo, tanto el Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) (Alemania) y la Haute Autorité de Santé (HAS) (Francia) han implantado programas de encuentros con los representantes de la comunidad científica y de la industria con el objetivo de discutir aspectos técnicos relacionados con la propia labor de las agencias y de impulsar la generación de la evidencia

necesaria para la ETS ya desde la fase de desarrollo clínico de los fármacos [23, 24]. Asimismo, ambos institutos cuentan con la participación de diferentes profesionales de la salud y expertos en sus comités de evaluación [23, 24]. Finalmente, es posible ver cómo diferentes países del entorno europeo han hecho esfuerzos para mejorar la transparencia y difusión de los resultados de la ETS. En este sentido, el NICE representa el mejor ejemplo, ya que toda la información relativa al proceso de evaluación es accesible públicamente y los resultados son difundidos a través de publicaciones, organizaciones internacionales y medios de comunicación social [2, 24].

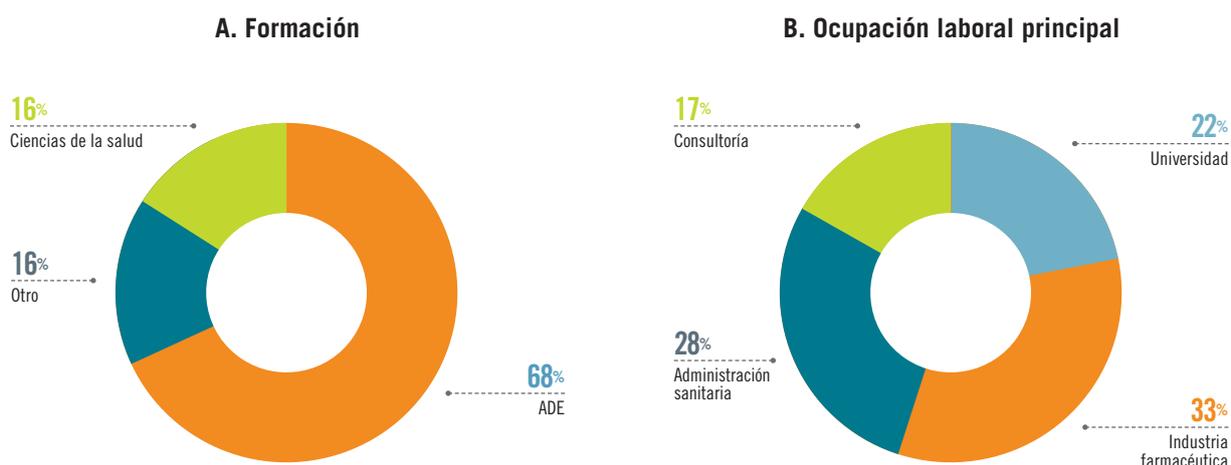
Tras el análisis de la situación nacional y del entorno europeo, se investigó de qué manera sería posible incorporar las estrategias de mejora identificadas en el proceso de evaluación. En este sentido, la literatura nos muestra que en la actualidad se dispone de distintas herramientas, en algunos casos ya empleadas a nivel internacional, que permitirían aportar un valor adicional a la ETS para facilitar la toma de decisiones. Así, por ejemplo, los ensayos pragmáticos, los registros o los estudios observacionales pueden contribuir a resolver el problema de contextualización de la ETS generando evidencia sobre la efectividad en el contexto donde se usa o se usará la nueva tecnología a evaluar [31]. Asimismo, el análisis conjunto, estudiando las preferencias de los individuos respecto de las distintas características de una alternativa terapéutica, permitiría incorporar la perspectiva del paciente y/o los cuidadores en la ETS [32].

En conjunto, el análisis de la situación actual indica que, aunque la importancia de la ETS como herramienta para la asignación eficiente de los recursos en el ámbito sanitario esté ampliamente reconocida y se hayan identificado los aspectos a mejorar y las potenciales medidas a implementar para que la ETS tenga un impacto suficiente en la política farmacéutica en España, falta un largo camino por recorrer, y es necesario empezar a dar pequeños pasos hacia la implantación de un proceso estandarizado, transparente, con criterios y modelos de evaluación definidos y orientados a alcanzar la sostenibilidad del sistema. En concreto, parece necesario avanzar hacia la estandarización del proceso de evaluación, siendo prioritario para ello la definición y homogeneización de los criterios a incorporar en la ETS. Asimismo, se hace necesario identificar y poner en marcha acciones concretas que permitan superar las actuales limitaciones que impiden que la ETS pueda influir de manera sustancial en la definición de la política farmacéutica en España.

FASE 2: encuesta de opinión dirigida a expertos

La encuesta fue cumplimentada por un total de 19 asistentes de la 2.ª Jornada sobre Evaluación de eficiencia y política sanitaria. La mayoría de ellos tenían entre 26 y 35 años; el 69% provenía de las áreas de ciencias de la salud, desarrollando su ocupación laboral principal en la industria farmacéutica, en una universidad o en la Administración sanitaria (Figura 3).

Figura 3. Características sociodemográficas de los participantes: formación y ocupación laboral principal



En relación con las barreras, todos los encuestados estuvieron de acuerdo en que la ETS proporciona un marco ideal para comparar los beneficios y los costes, tanto terapéuticos como sociales, de tratamientos y programas alternativos; no obstante, el 94,44% de ellos consideró que en España no existe una voluntad política clara para que la ETS influya en la toma de decisiones en política farmacéutica. Otros elementos percibidos como una limitación de la influencia de la ETS en la toma de decisiones incluyeron: la estructura descentralizada del sistema sanitario (88,89% de los participantes), la ausencia de un modelo organizativo de las agencias de ETS (87,5%), la falta de definición de una metodología clara y transparente que permita la participación de todos los agentes implicados (82,35%) y el rechazo por parte de los clínicos de los estudios de coste-utilidad y coste-efectividad (72,25%).

En relación con el segundo bloque temático, en el que se exploraron las opiniones de los expertos sobre los aspectos metodológicos de las evaluaciones económicas, se observó que la mayoría de los encuestados (78,57%) consideraba que los análisis económicos deberían nutrirse, principalmente, de datos relativos a la efectividad de los tratamientos evaluados, en lugar de basarse en la eficacia de los mismos. Por lo que concierne al límite de coste-efectividad incremental, la mayoría de los expertos (73,33%) opinaron que si se dispusiera de un umbral explícito en nuestro país, este debería variar en casos específicos (por ejemplo, en tratamientos de/al final de la vida).

En cuanto a los costes a considerar en las evaluaciones económicas, el 66,67% de los participantes consideró que tanto los directos como los derivados de la pérdida de productividad laboral deberían ser incluidos en el análisis. En la misma línea, la mayoría de los expertos mostraron su preferencia por el uso de la perspectiva social (61,54%) frente a la del financiador en las evaluaciones. En los otros aspectos evaluados (tipo de enfoque para la valoración de las pérdidas laborales y de los costes) no fue posible observar una clara preferencia hacia uno de los dos ítems propuestos (proporción inferior al 50%), lo cual indica que aún existe cierta controversia acerca de estos temas.

Por lo que concierne a los criterios a considerar en las decisiones sobre financiación, todos los encuestados consideraron que la prevalencia y la incidencia de la patología deberían ser valoradas en la toma de decisiones. El segundo criterio, en función de la proporción de expertos que lo consideraron relevante, fue la efectividad comparada entre los tratamientos (94,12%), mientras que la seguridad/tolerabilidad comparada, el coste-efectividad incremental, la gravedad de la patología, las necesidades no cubiertas y la adherencia/persistencia fueron consideradas relevantes por el 88,24% de los encuestados.

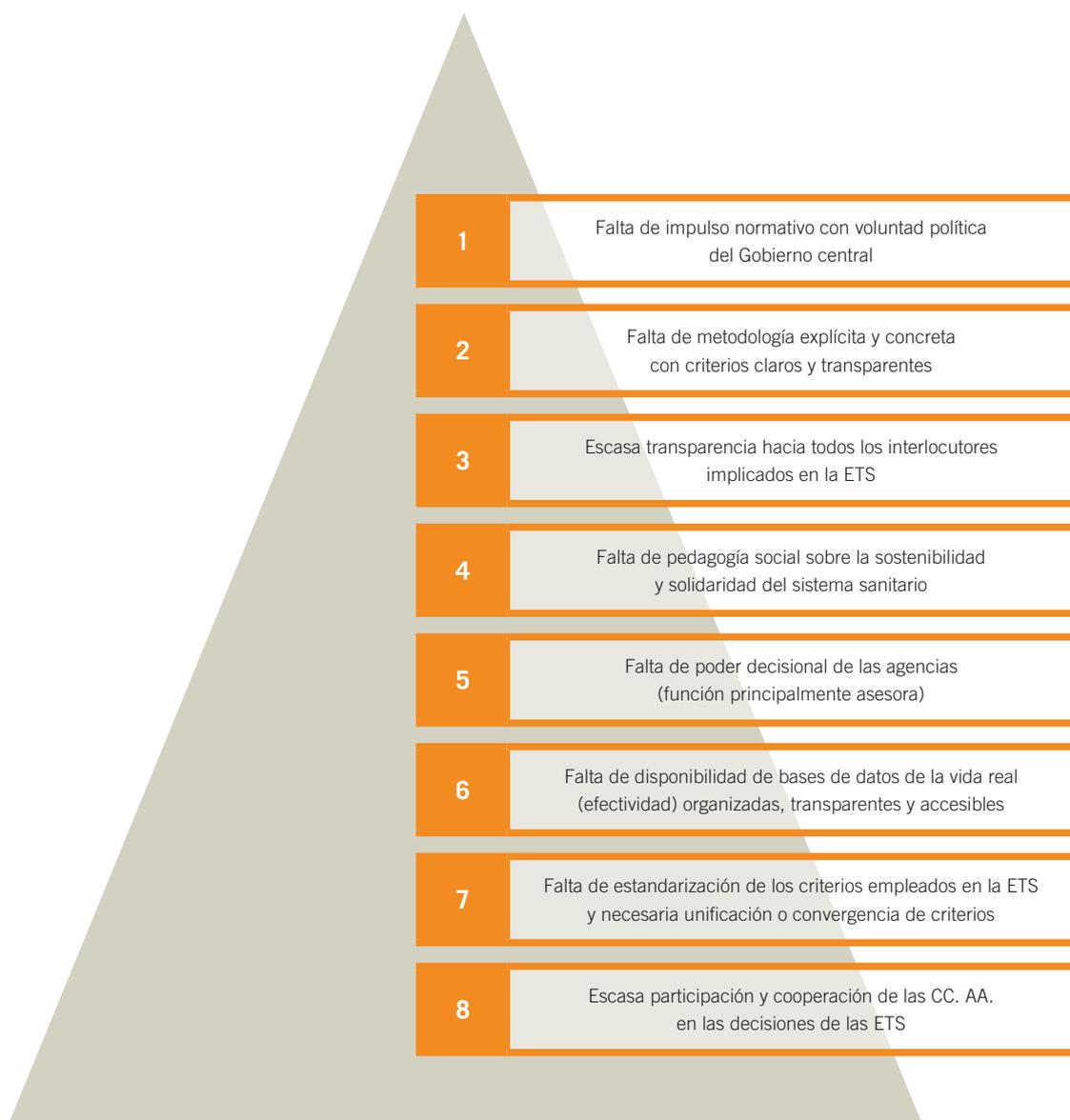
Finalmente, en relación con los posibles modelos a emplear en la toma de decisiones sobre financiación, el total de los expertos coincidió en basar la toma de decisiones en la evaluación de la efectividad relativa de los tratamientos y el impacto presupuestario. El segundo modelo en obtener mayores consensos (93,75%) presentaba similitudes con el modelo de financiación actualmente en vigor y recogido en el RDL 1/2015. Este modelo preveía una toma de decisiones basada en criterios de coste-efectividad claros y transparentes, en la valoración del impacto presupuestario y de la aportación al PIB del fabricante. Finalmente, el 87,5% de los expertos coincidieron en que otro posible modelo a emplear en la toma de decisiones podría basarse en el uso del análisis de decisión multicriterio.

Los resultados obtenidos permitieron constatar que muchas de las barreras identificadas en la literatura para que la ETS influya en la toma de decisiones son percibidas como tales por los expertos y que, pese a que haya un elevado grado de acuerdo acerca de algunos de los aspectos claves de la ETS, sigue existiendo cierto nivel de incertidumbre sobre el tipo de metodología y los criterios a emplear en el proceso de evaluación y toma de decisiones.

FASE 3: 1.ª sesión con el comité de expertos para la identificación y priorización de las limitaciones actuales de la ETS que influyen sobre la toma de decisiones en política farmacéutica

Posteriormente, se llevó a cabo una primera reunión con el comité de expertos con el objetivo de profundizar los temas explorados en las primeras dos etapas del proyecto. En primer lugar, se les pidió que indicaran las posibles limitaciones o barreras que, en su opinión, deberían superarse para que la ETS influya sobre la toma de decisiones. Se identificaron 27 barreras que fueron agrupadas en 6 bloques, según temáticas comunes: I) barreras relacionadas con la realidad normativa y la voluntad política actual; II) barreras relacionadas con la estandarización y transparencia de los procesos y la metodología empleadas en la ETS; III) barreras relacionadas con la involucración de todos los agentes implicados en la ETS; IV) barreras relacionadas con la disponibilidad de datos necesarios para la ETS; V) barreras relacionadas con la cultura evaluativa y el rechazo a la desinversión (cesación de la financiación de intervenciones calificadas como no efectivas u obsoletas); VI) barreras relacionadas con la estructura organizativa del SNS. Tras la valoración (rating) y priorización de las barreras identificadas, 8 fueron consideradas por los expertos las más relevantes (Figura 4).

Figura 4. Principales barreras identificadas por los expertos



A continuación, tras una puesta en común de ideas y posterior discusión/argumentación, los participantes del grupo nominal propusieron 18 estrategias dirigidas a superar las limitaciones previamente identificadas. Estas fueron, a su vez, agrupadas en 5 bloques, dependiendo del tipo de limitación a la que estuvieran dirigidas: I) estrategias relacionadas con la realidad normativa y la voluntad política; II) estrategias relacionadas con la involucración de todos los agentes implicados en la ETS; III) estrategias relacionadas con la disponibilidad de

datos necesarios para la ETS; IV) estrategias relacionadas con la estandarización y transparencia de los procesos y metodología empleados en la ETS; V) estrategias relacionadas con la cultura evaluativa. Posteriormente, las estrategias propuestas fueron valoradas por los expertos en términos de importancia y viabilidad a medio-largo plazo. Los resultados obtenidos permitieron la identificación de las 8 estrategias consideradas más relevantes y más viables, según los expertos (Figura 5).

Figura 5. Estrategias priorizadas según su viabilidad e importancia



FASE 4: identificación de posibles criterios a utilizar en la evaluación de medicamentos

A partir de la información encontrada en los artículos seleccionados [33–53] se identificaron un total de 22 criterios sobre los que basar la toma de decisiones en relación con el precio y la financiación de intervenciones sanitarias. Para facilitar su evaluación, los criterios fueron agrupados en 7 dominios, de acuerdo con su naturaleza: I) necesidad de la intervención, que aborda criterios como la carga de la enfermedad, el tamaño de la población a la que afecta y la disponibilidad de alternativas para la enfermedad considerada; II) resultados en salud, que incluye los criterios de eficacia, seguridad y efectividad comparadas; III) tipo de beneficio aportado, que abarca criterios que evalúan si el tipo de beneficio es terapéutico o preventivo; IV) impacto económico, que considera aquellos criterios que evalúan los costes para el sistema sanitario asociados a la inclusión de la intervención en la cartera de servicios; V) Conocimiento sobre la intervención, que tiene en cuenta la relevancia y validez de la evidencia que apoya el uso de intervención; VI) viabilidad de implementación de la intervención, que agrupa criterios dirigidos a la evaluación de la capacidad del sistema para garantizar un uso apropiado de la intervención, el contexto histórico-cultural y el coste de oportunidad de la adopción de la intervención; VII) Otros, que aglutina criterios como el impacto medioambiental, las indicaciones disponibles, las prioridades de la población y acceso, así como objetivos comunes e intereses específicos. Posteriormente, para cada criterio identificado, se extrajeron de la literatura una serie

de subcriterios aplicables a la valoración de intervenciones dirigidas a diferentes enfermedades.

Finalmente, a partir de los hallazgos de la revisión, se elaboró un listado de potenciales criterios y subcriterios a emplear en las áreas de IMID y enfermedades oncohematológicas. Se incluyeron 14 criterios y 19 subcriterios, que se detallan a continuación y se muestran gráficamente en la Figura 6:

- **Carga de la enfermedad [33-44]:**
 - a. efectos de la enfermedad sobre la esperanza de vida (por ejemplo, pronóstico en el momento del diagnóstico)
 - b. efectos de la enfermedad sobre la morbilidad-funcionalidad y discapacidad (por ejemplo, edad de aparición y severidad de la discapacidad a lo largo de la vida del paciente)
 - c. efectos de la enfermedad sobre la CVRS
- **Necesidades no cubiertas / disponibilidad de alternativas [17,33, 35, 37-41, 43, 48, 49]:**
 - a. necesidades no cubiertas relativas a eficacia (por ejemplo, disponibilidad de tratamientos modificadores de la enfermedad)
- **Eficacia/efectividad comparada [33-35, 37-41, 43, 52]:**
 - a. tipo de resultados (por ejemplo, tasa de respuesta del paciente, impacto en la supervivencia global / supervivencia libre de progresión)

- **Seguridad/tolerabilidad del tratamiento [33, 36-38, 40, 43-48, 51]:**
 - a. efectos adversos (por ejemplo, dolor, cefalea, fatiga, náuseas)
 - b. tolerabilidad (por ejemplo, tasas de abandono del tratamiento)
- **Salud percibida por el paciente / PRO comparados [33-35, 38, 40, 41, 44-52]:**
 - a. mejoras aportadas en la CVRS de los pacientes (por ejemplo, valoración en escalas específicas como el Inflammatory Bowel Disease Questionnaire [IBDQ] o el Functional Assessment of Cancer Therapy - Multiple Myeloma [FACT-MM])
 - b. adherencia/persistencia
- **Beneficios terapéuticos individuales [33-35, 37, 39]:**
 - a. beneficio clínico aportado al paciente (por ejemplo, alivio de los síntomas, incremento en la esperanza de vida)
- **Coste de la intervención [33, 35, 47, 52]:**
 - a. coste de adquisición
- **Costes médicos/sanitarios [33, 47, 48, 50, 52]:**
- **Costes no médicos [35, 36, 39, 49, 54]:**
 - a. impacto sobre productividad
- **Impacto presupuestario [35-37, 39, 41, 45, 52]:**
- **Calidad de la evidencia [33, 34, 36, 38, 39, 44, 45, 49-51]:**
 - a. tipo de evidencia (por ejemplo, nivel de evidencia disponible)
 - b. incertidumbre (por ejemplo, variabilidad entre estudios, medición de resultados a través de variables subrogadas)
- **Contexto histórico/político/cultural [34-38, 40-44, 46]:**
 - a. impacto del tratamiento en la innovación (por ejemplo, contribución a la simplificación del régimen terapéutico, terapias dirigidas a nuevas dianas terapéuticas)
- **Prioridades de la población y acceso [33-35, 39, 41, 42-46, 48, 53]:**
 - a. equidad
- **Indicaciones disponibles [36, 37]:**
 - a. número y tipo de indicaciones aprobadas.

Figura 6. Criterios y subcriterios propuestos para la evaluación de medicamentos destinados a IMID y enfermedades oncohematológicas



FASE 5: 2.ª reunión del comité de expertos para el consenso sobre posibles criterios a utilizar en la evaluación de medicamentos en el área de enfermedades oncohematológicas e IMID

Los participantes propusieron un total de 10 acciones concretas para la implementación de las estrategias de mejora identificadas con el fin de superar las barreras que impiden que la ETS pueda influir sobre la toma de decisión de política farmacéutica en España. De ellas, dos estuvieron relacionadas con la creación de un Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del Sistema Nacional de Salud y la inclusión de esta acción como punto en la orden del día del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud y la presentación de una propuesta no de ley por parte de la oposición en el Congreso de los Diputados. En relación con las estrategias referentes a la involucración de todos los agentes implicados en la ETS, se propuso que las comunidades autónomas (CC. AA.) trabajaran de forma conjunta y coordinada en la evaluación de tecnologías sanitarias y política farmacéutica.

Por lo que concierne a la estrategia relativa a la «creación de bases de datos públicas de costes unitarios y registros de evaluaciones económicas», los expertos sugirieron la posibilidad de distribuir fondos para la creación de registros en aplicación de la disposición adicional sexta del RDL 1/2015 [5], así como la presentación de una propuesta al Congreso para impulsar la creación de un Registro Nacional de Pacientes. Adicionalmente, se propuso la creación de registros nacionales en las diferentes áreas terapéuticas y, en particular, en el área oncológica, junto con la elaboración de un libro blanco y registro que aglutinen las evaluaciones de intervenciones sanitarias. Por otra parte, para favorecer la estandarización y transparencia de los procesos y la metodología empleados en la ETS, se avanzó la propuesta de involucrar, de manera conjunta, las distintas sociedades científicas en la elaboración de estándares y unificación de criterios. Finalmente, en relación con las problemáticas relacionadas con la cultura evaluativa, se sugirió la puesta en marcha de una estrategia de formación y pedagogía de los agentes y grupos sociales. Tras la puesta en común y discusión de las propuestas, se procedió a su priorización. La puntuación de las acciones propuestas de acuerdo a su importancia llevó a la identificación de tres acciones prioritarias a implementar:

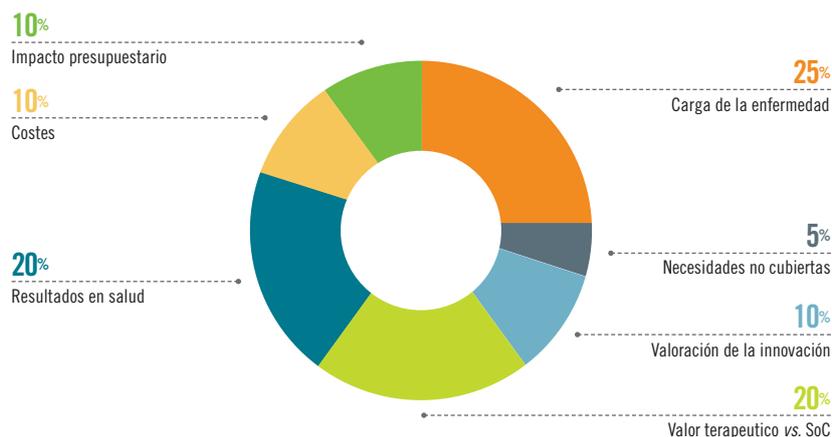
- Creación de registros nacionales para la obtención de resultados en salud compartidos entre CC. AA.
- Trabajar de forma conjunta y coordinada entre CC. AA. en evaluación de tecnologías sanitarias y política farmacéutica.
- Formación y pedagogía de los agentes y grupos sociales.

En el grupo de IMID, se emplearon como punto de partida para el debate los criterios reportados por el Real Decreto Legislativo 1/2015 para la inclusión de medicamentos en la financiación del Sistema Nacional de Salud y se llegó a la identificación de 7 criterios y 17 subcriterios.

El criterio considerado más relevante fue «la carga de la enfermedad» (25% de las puntuaciones), indicando como subcriterios específicos la morbilidad, la cronicidad, la clasificación como enfermedad rara, el impacto social y la incapacidad asociada a la enfermedad. Los dos criterios clasificados como segundos, por orden de importancia (20%),

fueron «el valor terapéutico vs. estándar de tratamiento (SoC)», con la eficacia y seguridad comparada como subcriterios y «los resultados en salud» que incluía la efectividad, la CVRS y la adherencia. Los «costes» el «impacto presupuestario» y la «valoración de la innovación» obtuvieron, cada uno, el 10% de las puntuaciones. Los respectivos subcriterios incluyeron costes directos e indirectos y la innovación terapéutica y tecnológica. Finalmente, la valoración de las «necesidades no cubiertas» obtuvo el 5% de las puntuaciones, siendo las alternativas disponibles y las necesidades políticas los respectivos subcriterios (Figura 7).

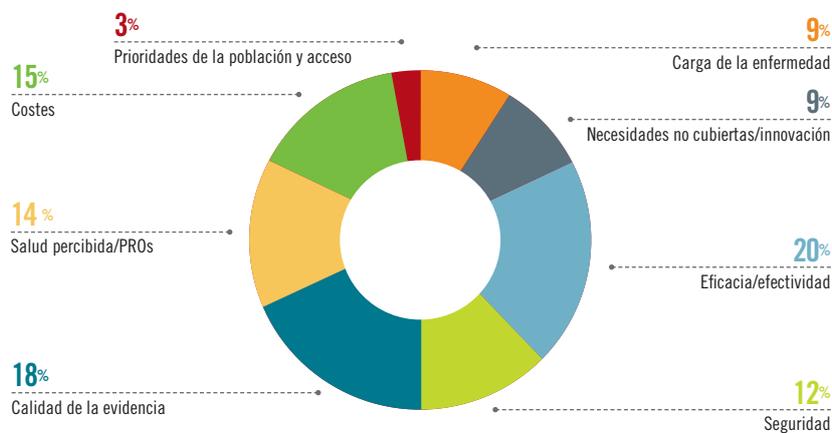
Figura 7. Resultados del grupo de enfermedades inflamatorias inmunomediadas (IMID)



Por otra parte, en el grupo de trabajo relativo a enfermedades oncohematológicas, se realizó una revisión crítica de los criterios previamente identificados en la literatura, llegando a la selección de 9 criterios y 17 subcriterios. Si bien las propuestas avanzadas fueron similares entre los grupos, se observaron algunas diferencias en la clasificación y puntuación de los criterios. En concreto, en el grupo de enfermedades inmunomediadas, los criterios de «eficacia» y «seguridad» comparadas fueron considerados como subcriterios del «valor terapéutico», en el que

también se consideró implícito el criterio de «calidad de la evidencia», que fue, por el contrario, valorado de manera independiente, en el grupo de enfermedades oncohematológicas. Asimismo, en este último grupo se sugirió incluir en la evaluación el criterio de «prioridades de la población y acceso» y su respectivo subcriterio «equidad», mientras que en el grupo de trabajo sobre enfermedades inmunomediadas se consideró que este criterio no sería relevante en la primera fase de evaluación de un tratamiento (Figura 8).

Figura 8. Resultados del grupo de enfermedades oncohematológicas

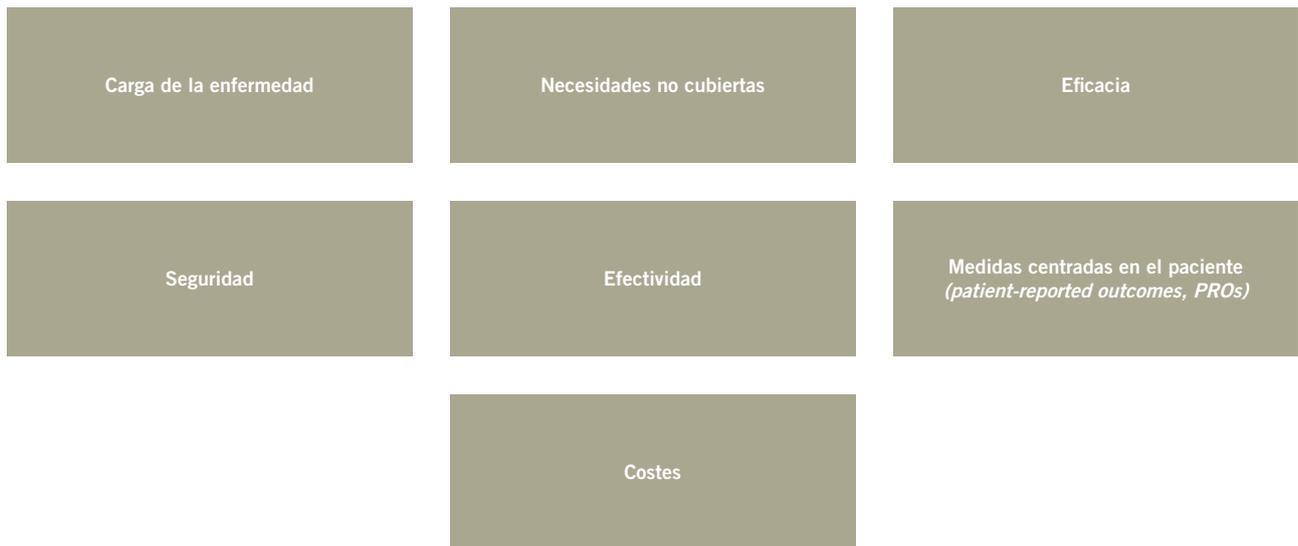


Por lo que concierne a las puntuaciones, la diferencia principal entre los grupos se observó en el criterio de «carga de la enfermedad», con una mayor puntuación en el grupo de enfermedades inflamatorias inmunomediadas (25%) respecto a oncohematología (9%) y en la puntuación otorgada por este último a la «calidad de la evidencia» (18%), no contemplada como criterio en el grupo de IMID. Para el resto de criterios, las puntuaciones fueron

más similares: 15% frente a 9%, para «necesidades no cubiertas» junto a «innovación», 20% frente a 32% para «valor terapéutico» (eficacia y seguridad), 20% frente a 14% para los PROs y 20% frente a 15% para los «costes», respectivamente.

Finalmente, fueron siete los principales criterios consensuados por los expertos (Figura 9).

Figura 9. Principales criterios consensuados por los expertos



6. Conclusiones

Los resultados obtenidos en las diferentes fases del proyecto han permitido identificar las barreras o limitaciones existentes en el papel actual de la ETS sobre la toma de decisiones en política farmacéutica en España, explorando posibles estrategias y acciones de mejora para superarlas.

Las acciones concretas finalmente priorizadas están relacionadas con la formación de todos los agentes implicados, la creación de registros nacionales de resultados en salud y el trabajo conjunto y coordinado de las CC. AA., aspectos donde se deben centrar los esfuerzos y marcar las líneas de actuación futuras para la evaluación de medicamentos en España. En cuanto a los dos primeros, la discusión mantenida durante la sesión muestra la necesidad de sentar las bases a través del establecimiento del tipo de registros que serían necesarios según el objetivo de la evaluación. En cuanto a la colaboración entre CC. AA., pese a que el actual RDL 1/2015, con el fin de garantizar un acceso a la prestación farmacéutica en condiciones de igualdad en todo el Sistema Nacional de Salud, establece que las CC. AA. «no podrán establecer, de forma unilateral, reservas singulares específicas de prescripción, dispensación y financiación de fármacos o productos sanitarios», la realidad es que tras la transferencia de competencias a las CC. AA., estas medidas encuentran su aplicación en un sistema sanitario descentralizado, en el que las CC. AA. son las responsables de asumir el gasto farmacéutico en su territorio. Por lo tanto, pese a la existencia de directrices nacionales, la mayoría de CC. AA. disponen de organismos dedicados a la evaluación de nuevos medicamentos.

Por otra parte, cabe destacar que, pese a que se han detectado barreras como la falta de impulso normativo con voluntad política del Gobierno central, tal como se ha comentado durante las diferentes sesiones de trabajo, el marco normativo ya está creado, a través del RDL 1/2015. En él se describe la figura del Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del Sistema Nacional de Salud, además de establecer los criterios para la financiación pública de un nuevo medicamento en España, como son los de gravedad, duración y secuelas de la patología, necesidades específicas de ciertos colectivos, valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad, racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud, existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento y grado de innovación. Sin embargo, en la práctica no se han adoptado decisiones en esta línea.

En cuanto a este último aspecto, entre las principales barreras destacaban la falta de estandarización y unificación de criterios empleados en la evaluación, así como la falta de una metodología explícita y concreta con criterios claros y transparentes. En este sentido, el proyecto ha permitido identificar y priorizar los criterios a valorar en la evaluación de medicamentos para mejorar la toma de decisiones en política farmacéutica, a través de la reflexión y el debate en dos áreas clave, debido a su crecimiento y volumen en cuanto a opciones terapéuticas disponibles y, por tanto, a actividad evaluadora, como son las enfermedades inflamatorias inmunomediadas y las oncohematológicas. Los resultados del proyecto muestran cómo los criterios consensuados por los dos grupos, de forma general, se centran en la carga de la enfermedad, las necesidades no cubiertas, la eficacia, la efectividad, la seguridad, los resultados comunicados por el paciente (Patient Reported Outcomes – PROs), los costes, el impacto presupuestario y la innovación, con lo que cabe esperar que estos deberían ser los mínimos evaluables en cualquier otro tipo de medicamento. No obstante, se han detectado algunas diferencias en cuanto al peso que dan según el área analizada. En concreto, la carga de la enfermedad se ha considerado más relevante en enfermedades inflamatorias inmunomediadas, debido a la morbilidad asociada, cronicidad, disminución de la capacidad funcional e impacto social de este tipo de patologías; mientras que la evidencia disponible y la calidad de la misma se consideran aspectos fundamentales a la hora de valorar un medicamento para enfermedades oncohematológicas.

En definitiva, la reflexión y el trabajo multidisciplinar del equipo de expertos involucrado en el proyecto han permitido identificar y analizar los aspectos de la evaluación de medicamentos en España donde se deben centrar los esfuerzos y que deben servir de guía para marcar las líneas de actuación futuras.

Referencias

1. Kristensen, F. B., et al. (2009), «European Network for Health Technology Assessment, EUnetHTA: Planning, Development, and Implementation of a Sustainable European Network for Health Technology Assessment», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, vol. 25, sup. 2, n.º 110, pp. 107-116.
2. Rivera, A. J., J. L. García López, y J. del Llano (2013), *La evaluación de las tecnologías sanitarias en cinco países europeos: aprendiendo unos de otros*. Disponible en: http://www.fgcasal.org/publicaciones/Evaluacion_Tecnologias_Sanitarias_en_cinco_Paises_Europeos.pdf. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.
3. Llano, J. del, y C. Campill-Artero (eds.) (2015), *Health Technology Assessment and Health Policy Today: A Multifaceted View of Their Unstable Crossroads*, Springer.
4. Jefatura del Estado (2006), Ley 29/2006, de 26 de julio, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios, *Boletín Oficial del Estado*, n.º 178, de 27 de julio de 2006. Disponible en: <https://www.boe.es/buscar/act.php?id=BOE-A-2006-13554>. Fecha de último acceso: 13 de septiembre de 2016.
5. Jefatura del Estado (2015), 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, *Boletín Oficial del Estado*, n.º 181, de 30 de julio de 2015. Disponible en: https://www.boe.es/diario_boe/txt.php?id=BOE-A-2015-8543. Fecha de último acceso: 13 de septiembre de 2016.
6. Jefatura del Estado (2011), Real Decreto-ley 9/2011, de 19 de agosto, de medidas para la mejora de la calidad y cohesión del sistema nacional de salud, de contribución a la consolidación fiscal, y de elevación del importe máximo de los avales del Estado para 2011, *Boletín Oficial del Estado*, n.º 200, de 20 de agosto de 2011. Disponible en: https://www.boe.es/diario_boe/txt.php?id=BOE-A-2011-14021. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.
7. Jefatura del Estado (2012), Real Decreto-Ley 16/2012, de 20 de abril, de medidas urgentes para garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y mejorar la calidad y seguridad de sus prestaciones, *Boletín Oficial del Estado*, n.º 98, de 24 de abril de 2012. Disponible en: <https://www.boe.es/buscar/act.php?id=BOE-A-2012-5403>. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.
8. Sánchez Martínez, F. I., J. M. Abellán, y J. Martínez Pérez (2008), «¿Cómo se deben establecer y evaluar las prioridades en salud y servicios de salud? Métodos de priorización y disparidades regionales. Informe SESPAS 2008», *Gaceta Sanitaria*, vol. 22, sup. 1, pp. 126-136.
9. Varela-Lema, L., et al. (2011), «Demandas y expectativas de la evaluación de tecnologías sanitarias en Galicia. Análisis cualitativo desde la perspectiva de decisores y clínicos», *Gaceta Sanitaria*, vol. 25, n.º 6, pp. 454-460.
10. Artells, J. J., S. Peiró, y R. Meneu (2014), «Barreras a la introducción de una agencia evaluadora para informar la financiación o la desinversión de prestaciones sanitarias del Sistema Nacional de Salud», *Revista española de salud pública*, vol. 88, n.º 2, pp. 217-231.
11. Corbacho, B., y J. L. Pinto (2012), «Health Economic Decision-Making: A Comparison Between UK and Spain», *British Medical Bulletin*, vol. 103, n.º 1, pp. 5-20.
12. Gagnon, M., y J. M. Pons (2006), «Integration of Health Technology Assessment Recommendations into Organizational and Clinical Practice: A Case Study in Catalonia», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, vol. 22, n.º 2, pp. 169-176.
13. Barbieri, M., y M. Drummond (2003), «Uso de la evaluación de tecnologías sanitarias en la toma de decisiones». En J. L. Pinto, y F. I. Sánchez Martínez, *Métodos para la evaluación económica de nuevas prestaciones*, pp. 238-257. Disponible en: http://www.mspsi.gob.es/estadEstudios/estadisticas/docs/metodos_evaluacion.pdf. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.
14. Oliva, J., et al. (2007), *Impacto de la evaluación económica de tecnologías sanitarias en las decisiones sanitarias: encuesta a decisores*. Disponible en: http://www3.gobiernodecanarias.org/sanidad/scs/content/80cb00ad-1f35-11e0-964e-f5f3323ccc4d/2007_03.pdf. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.

15. Oliva, J., J. Pujig-Junoy, y E. Bernal (2008), «Evaluación económica de medicamentos: experiencias y vías de avance. Una visión complementaria», *Gaceta Sanitaria*, vol. 22, n.º 4, pp. 358-361.
16. Oliva, J., F. Antoñanzas, y O. Rivero-Arias (2008), «Evaluación económica y toma de decisiones en salud. El papel de la evaluación económica en la adopción y la difusión de tecnologías sanitarias. Informe SESPAS 2008», *Gaceta Sanitaria*, vol. 22, sup. 1, pp. 137-142.
17. Abellán, J. M., F. I. Sánchez Martínez, y J. E. Martínez Pérez (2009), «La medición de la calidad de los estudios de evaluación económica: Una propuesta de checklist para la toma de decisiones», *Revista española de salud pública*, vol. 83, n.º 1, pp. 71-84.
18. Puig-Junoy, J., y M. Traperro-Bertrán (2013), «La evaluación económica de medicamentos como factor de sostenibilidad de la sanidad pública». Disponible en: <http://nadaesgratis.es/sergi-jimenez/la-evaluacion-economica-de-medicamentos-como-factor-de-sostenibilidad-de-la-sanidad-publica>. Fecha de último acceso: 10 de octubre de 2016.
19. Velasco, M., et al. (2008), *Health Technology Assessment and Health Policy-Making in Europe. Current Status, Challenges and Potential*. Disponible en: http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0003/90426/E91922.pdf. Fecha de último acceso: 14 de septiembre de 2016.
20. López Bastida, J., et al. (2010), «Propuesta de guía para la evaluación económica aplicada a las tecnologías sanitarias», *Gaceta Sanitaria*, vol. 24, n.º 2, pp. 154-170.
21. Nielsen, C.P., T. M. Funch, y F. B. Kristensen (2011), «Health Technology Assessment: Research Trends and Future Priorities in Europe», *Journal of Health Services Research & Policy*, vol. 16, sup. 2 (julio de 2011), pp. 6-15.
22. Hailey, D. (2006), «Health technology assessment», *Singapore Medical Journal*, vol. 47, n.º 3, pp. 187-193.
23. Wilsdon, T. y A. Serota (2011), *Final Report: A Comparative Analysis of the Role and Impact of Health Technology Assessment*, mayo de 2011. Disponible en: http://phrma-docs.phrma.org/sites/default/files/pdf/hta_final_comparison_report_13_may_2011_stc1.pdf. Fecha de último acceso: 10 de noviembre de 2016.
24. Sorenson, C., y K. Chalkidou (2012), «Reflections on the Evolution of Health Technology Assessment in Europe», *Health Economics, Policy, and Law*, vol. 7, n.º 1, pp. 25-45.
25. Scottish Medicine Consortium (2012), «Modifiers Used in Appraising New Medicines». Disponible en: https://www.scottishmedicines.org.uk/About_SMC/Policy_statements/SMC_Modifiers_used_in_Appraising_New_Medicines. Fecha de último acceso: 10 de octubre de 2016.
26. Corbacho, B., y J. L. Pinto (2012), *Impacto de los criterios para situaciones terminales en la evaluación de fármacos oncológicos*, Cátedra de Economía de la Salud, Universidad Pablo de Olavide, documento de trabajo 2012/2.
27. National Institute for Health and Care Excellence (2008), *Report on NICE Citizens Council Meeting. Departing from the Threshold*. Disponible en: <https://www.nice.org.uk/Media/Default/Get-involved/Citizens-Council/Reports/CCReport11DepartingThreshold.pdf>. Fecha de último acceso: 14 de octubre de 2017.
28. NHS England Cancer Drugs Fund Team (2016), *Appraisal and Funding of Cancer Drugs from July 2016 (including the new Cancer Drugs Fund). A new deal for patients, taxpayers and industry*. Disponible en: <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2013/04/cdf-sop.pdf>. Fecha de último acceso: 14 de octubre de 2016.
29. Lobo, F. (2016), *Análisis y práctica de las políticas de precios y financiación de medicamentos* (1.ª ed.), Springer Healthcare Ibérica, Madrid.
30. Garrison, L. P., et al. (2013), «Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance Based Risk-Sharing Arrangements Task Force», *Value in Health*, vol. 16, n.º 5, pp. 703-719.
31. Garrison, L. P., et al. (2007), «Using Real-World Data for Coverage and Payment Decisions: The ISPOR Real-World Data Task Force Report», *Value in Health*, vol. 10, n.º 5, pp. 326-335.
32. Johnson, F. R., et al. (2013), «Constructing Experimental Designs for Discrete-Choice Experiments: Report of the ISPOR Conjoint Analysis Experimental Design Good Research Practices Task Force», *Value in Health*, vol. 16, n.º 1, pp. 3-13.

33. EVIDEM Collaboration (2011), «EVIDEM 3.0. Decision Criteria. Conceptual Background, Definitions, Design & Instructions». Disponible en: <https://www.evidem.org/docs/2015/EVIDEM-v3-0-Decision-criteria-conceptual-background-definitions-and-instructions-June-2015b.pdf>. Fecha de último acceso: 10 de Mayo de 2017.
34. Tanios, N., et al. (2013), «Which Criteria Are Considered in Healthcare Decisions? Insights from an International Survey of Policy and Clinical Decision Makers», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, vol. 29, n.º 4, pp. 456-465.
35. Guindo, L. A., et al. (2012), «From Efficacy to Equity: Literature Review of Decision Criteria for Resource Allocation and Healthcare Decisionmaking», *Cost Effectiveness and Resource Allocation*, vol. 10, n.º 1, p. 9.
36. Kolasa, K., et al. (2016), «Potential Impact of the Implementation of Multiple-Criteria Decision Analysis (MCDA) on the Polish Pricing and Reimbursement Process of Orphan Drugs», *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 11, n.º 1, p. 23.
37. Zelei, T., et al. (2016), «Systematic Review on the Evaluation Criteria of Orphan Medicines in Central and Eastern European Countries», *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 11, n.º 1, p. 72.
38. Lockhart, C. M., y H. N. Hansen (2016), «Value Assessment of Orphan Drugs and Treatments for Rare Diseases: A Systematic Review», *Value in Health*, vol. 19, n.º 3, p. A79.
39. Iskrov, G., y R. Stefanov (2016), «Criteria for Drug Reimbursement Decision-Making: An Emerging Public Health Challenge in Bulgaria», *Balkan Medical Journal*, vol. 33, n.º 1, pp. 27-35.
40. Sussex, J., et al. (2013), «A Pilot Study of Multicriteria Decision Analysis for Valuing Orphan Medicines», *Value in Health*, vol. 16, n.º 8, pp. 1163-1169.
41. Pearson, S. (2015), «A Framework for Payer Assessment of the Value of New Technologies: A US Approach», OHE Research *seminar briefing* n.º 16. Disponible en: <https://www.ohe.org/publications/framework-payer-assessment-value-new-technologies-us-approach#>. Fecha de último acceso: 10 de mayo de 2017.
42. International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (2017), «Special Task Force on U.S. Value Assessment Frameworks: Overview of Recommendations». Disponible en: <https://webcache.googleusercontent.com/search?q=cache:KwKTde3fWFQJ:https://www.ispor.org/Event/GetReleasedPresentation/1013+&cd=1&hl=es&ct=clnk&gl=es&client=firefox-b-ab>. Fecha de último acceso: 26 de mayo de 2017.
43. Haute Autorité de Santé (2014), «Pricing and Reimbursement of Drugs and HTA Policies in France». Disponible en: https://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2014-03/pricing_reimbursement_of_drugs_and_hta_policies_in_france.pdf. Fecha de último acceso: 10 de octubre de 2016.
44. National Institute for Health and Care Excellence (2013), *Guide to the Methods of Technology Appraisal*, abril de 2013. Disponible en: <https://www.nice.org.uk/process/pmg9/resources/guide-to-the-methods-of-technology-appraisal-2013-pdf-2007975843781>. Fecha de último acceso: 15 de octubre de 2016.
45. Dunlop, W. C., et al. (2016), «BEACON: A Summary Framework to Overcome Potential Reimbursement Hurdles», *PharmacoEconomics*, vol. 34, n.º 10, pp. 1051-1065.
46. Dionne, F., et al. (2015), «Developing a Multi-Criteria Approach for Drug Reimbursement Decision Making: An Initial Step Forward», *Journal of Population Therapeutics and Clinical Pharmacology*, vol. 22, n.º 1, pp. 68-77.
47. Pharmaceutical Benefits Board (2003), «General Guidelines for Economic Evaluations from the Pharmaceutical Benefits Board» (LFNAR 2003: 2). Disponible en: <https://www.tlv.se/Upload/English/Guidelines-for-economic-evaluations-LFNAR-2003-2.pdf>. Fecha de último acceso: 4 de octubre de 2016.
48. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2006), *Guidelines for Economic Evaluation of Health Technologies: Canada* (3.ª ed.).
49. Püntmann, I., et al. (2010), «EVITA: A Tool for the Early Evaluation of Pharmaceutical Innovations with Regard to Therapeutic Advantage», *BMC Clinical Pharmacology*, vol. 10, n.º 1, p. 5.
50. Avalere Health y FasterCures (2016), «Patient-Perspective Value Framework (PPVF). DRAFT Methodology». Disponible en: <http://www.fastercures.org/assets/Uploads/PPVF-Draft-Methodology-Report.pdf>. Fecha de último acceso: 10 de mayo de 2017.

Notas aclaratorias

51. Institute for Quality and Efficiency in Health Care (2015), *General Methods* (versión 4.2). Disponible en: https://www.iqwig.de/download/IQWiG_General_Methods_Version_%204-2_no_longer_valid.pdf. Fecha de último acceso: 10 de octubre de 2016.
52. EUnetHTA (2015), «Methods for Health Economic Evaluations - A Guideline Based on Current Practices in Europe». Disponible en: http://www.eunetha.eu/sites/default/files/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%20May%202015.pdf. Fecha de último acceso: 4 de octubre de 2016.
53. Golan, O., *et al.* (2011), «Health Technology Prioritization: Which Criteria for Prioritizing New Technologies and What are Their Relative Weights?», *Health Policy*, vol. 102, n.º 2-3, pp. 126-135.
54. Horton, J.N. (1980), «Nominal group technique: A Method of group decision making», *Anaesthesia*, 35, pp.811–814.
55. Schnelle E. (1979) «The Metaplan-Method. Communication tools for planning & learning groups». Metaplan series No. 7. Hamburg: Quickborn.
56. Sánchez Pedraza, R. y L.E. Jaramillo González (2009) «Methodology of Qualification and Summary of the Opinions in Formal Consensus», *Revista Colombiana de Psiquiatría*. 38(4),pp.777–786.
57. Wahlster, P., *et al.* (2015), «Balancing Costs and Benefits at Different Stages of Medical Innovation: A Systematic Review of Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA)», *BMC Health Services Research*, vol. 15, p. 262.
58. Angelis, A., y P. Kanavos (2016), «Value-Based Assessment of New Medical Technologies: Towards a Robust Methodological Framework for the Application of Multiple Criteria Decision Analysis in the Context of Health Technology Assessment», *PharmacoEconomics*, vol. 34, n.º 5, pp. 435-446.
59. Marsh K., *et al.* (2014), «Assessing the value of healthcare interventions using multi-criteria decision analysis: A review of the literature». *PharmacoEconomics*. 32(4), pp.345–365.

^a Técnica del grupo nominal: es una técnica creativa empleada para facilitar la generación de ideas y el análisis de problemas con el objetivo de alcanzar un consenso entre los participantes. Se lleva a cabo de una manera estructurada y consta generalmente de cinco fases: generación silenciosa de ideas, exposición de las ideas individuales, aclaración de las ideas expuestas, pausa para reflexión y votación individual, exposición de las votaciones individuales y votación final [56].

^b Técnica del Metaplán: es un método de moderación grupal basado en una tormenta de ideas (brainstorming) estructurada, que permite la contribución equilibrada y activa de todos los participantes y la consecución de los objetivos de la reunión en el tiempo previsto [57].

^c Técnica RAND/UCLA: es un método de consenso que permite combinar la mejor evidencia científica disponible con el juicio de los expertos. Este método suele emplearse para discutir la utilización de un determinado procedimiento médico y prevé el uso de escalas ordinales con nueve niveles para determinar el grado de acuerdo con una determinada recomendación (desde 0: completamente en desacuerdo, hasta 9: completamente de acuerdo) [58].

^d El análisis conjunto representa solo una de un grupo más amplio de técnicas denominadas técnicas de Análisis de Decisión Multicriterio (Multi-criteria Decision Analysis [MCDA]) [57]. Estas técnicas proporcionan un marco estructurado que permite la valoración de cada uno de los aspectos, o criterios que necesitan ser considerados en una decisión, así como la asignación explícita de pesos que reflejan la importancia asignada a cada uno de los criterios [58]. Así, en el contexto de la ETS, la valoración de la preferencia por una alternativa u otra tendrá en cuenta, por un lado, el modo en que cada alternativa satisface cada criterio y, por otro, la importancia que cada criterio tiene en relación con el resto [59].

**A WAY TO LEARN
A MARK TO MAKE
A WORLD TO CHANGE**

Síguenos en

 IESE Business School

 IESE Business School

 iesebs

 iese

Barcelona

Av. Pearson, 21
08034 Barcelona, Spain
(+ 34) 93 253 42 00

Madrid

Camino del Cerro
del Águila, 3
28023 Madrid, Spain
(+34) 91 211 30 00

New York

165 W. 57th Street
New York,
NY 10019-2201 USA
(+1) 646 346 8850

Munich

Maria-Theresia-Straße 15
81675 Munich, Germany
(+49) 89 24 20 97 90

Sao Paulo

Rua Martiniano de
Carvalho, 573
Bela Vista
01321001 Sao Paulo,
Brazil
(+55) 11 3177 8221