



**Universitat
Pompeu Fabra**
Barcelona



Colección Health Policy Papers

2021 – 17

**FARMACOECONOMÍA Y EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS:
¿QUO VADIS?**

Guillem López Casasnovas

Catedrático de Economía de la UPF

Director del Centro de Investigación en Economía y Salud (CRES-UPF)



La Colección Policy Papers, engloba una serie de artículos, en Economía de la Salud y Política Sanitaria, realizados y seleccionados por investigadores del Centro de Investigación en Economía y Salud de la Universitat Pompeu Fabra (CRES-UPF), al amparo del apoyo incondicionado por convenio con Novartis.

"This is an Open Access article distributed under the terms of the Creative Commons Attribution License 4.0 International, which permits unrestricted use, distribution and reproduction in any medium provided that the original work is properly attributed"



<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>

Barcelona, octubre 2021

FARMACOECONOMÍA Y EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS: ¿QUO VADIS?

Guillem López Casasnovas, Catedrático de Economía de la UPF y director del Centro de Investigación en Economía y Salud (CRES-UPF).

Resumen

Pretendo en este texto realizar un paseo aleatorio sobre diferentes temas de actualidad de la Farmacoeconomía y la evaluación de los medicamentos con el propósito de destacar algunos nudos gordianos y falsas vías para su abordaje. El texto se beneficia de diversas presentaciones y diálogos con diferentes participantes del VI Encuentro en Farmacoeconomía realizado el Setiembre del 2021 a los que referiré de manera no sistemática-, aunque los errores de interpretación son sólo míos.

Introducción

En la próxima década, el papel de las terapias avanzadas será mucho más destacado que el hoy observado como incipiente, entre la esperanza y las dudas de cómo los sistemas de salud los van a poder encajar. Pacientes con tumores sólidos, cáncer hematológico, problemas metabólicos, neurológicos, cardiovasculares se asomarán por la ventana de los nuevos tratamientos.

Ya hoy disponemos de diferentes terapias, desarrolladas por diversas empresas, aprobadas o pendientes de aprobación por parte de la Comisión Europea, y a la espera de evaluación de precio y condiciones de financiación en España. Ello resulta coetáneo con un gasto farmacéutico hospitalario en España que no ha dejado de aumentar durante los últimos años, aumentando des de 5.151 millones de euros en 2014 hasta los 7.870 millones de euros en 2020 (Datos del Ministerio de Hacienda, 2020) al impulso de ‘lo que no está prohibido está permitido’, a diferencia de la farmacia ambulatoria en la que si no está permitido es que no se puede prescribir. En el punto de despegue encontramos medicamentos para la atrofia muscular espinal, linfoma manto, el mieloma múltiple, linfomas, leucodistrofia metacromática y la adreno cerebral, con terapias génicas y Car-ts en líneas de salida.

Como aterrizar todo en las decisiones de precio y financiación no va a resultar tarea fácil. En principio el Sistema Nacional de Salud (SNS) sigue las indicaciones especificadas en el 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. En el texto, se determina que los criterios de financiamiento serán selectivos y no indiscriminados, basándose en factores como: la gravedad, duración y secuelas de las patologías para las que el medicamento resulte indicado; las necesidades específicas de ciertos colectivos; el valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad; la racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica y el impacto

presupuestario de dicha inversión, la existencia de alternativas terapéuticas a menor coste o el grado de innovación del medicamento.

Del dicho al hecho hay, sin embargo, como veremos, un buen trecho. La estrategia del SNS español de abordaje, en principio, se basa en una diversidad de pasos: (i) Informes de posicionamiento terapéutico. Posicionamiento en base a criterios clínicos y económicos (ii) Restricción de la población. Selección de los pacientes que más puedan beneficiarse del tratamiento. Indicaciones criterios de inicio, seguimiento y discontinuación de los tratamientos en protocolo fármaco-clínico de obligado cumplimiento en todo el SNS. (iii) Acuerdos de pagos por resultados. Registro de datos (VALTERMED). Implica un Comité de Seguimiento en cada CCAA para la determinación del cumplimiento individual de las condiciones de pago. La información se trasladará a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia con objeto de determinar la necesidad de revisión de precio (SEGUIMED) (iv) Acuerdos financieros, tipo techo máximo de gasto (incertidumbre en la población a tratar); coste máximo de tratamiento (incertidumbre en la duración del tratamiento o número de viales); pago fraccionado (no vinculado a resultados) y acuerdos precio/volumen y (v) Medidas para el seguimiento y control del gasto, con registro de información para controlar que las ventas no exceden el volumen establecido (si excedieran, revisión de PVL; para ello, las compañías deben registrarse en la aplicación y comunicar periódicamente las ventas realizadas del medicamento al SNS).

El Encaje. The business side

Todo el proceso anterior, tanto de innovación terapéutica como de evaluación, incide en un sector de elevada complejidad. La del medicamento es una industria cada vez más fragmentada en la que las categorías hoy frecuentemente se definen de manera mucho más concreta que las tradicionales, de áreas terapéuticas y de enfermedades. El modelo comercial estándar de los productos farmacéuticos se continúa basando en el precio unitario, una definición restrictiva del producto (pastilla o botella) y técnicas de promoción que llevan muchos años sin renovarse. Las empresas farmacéuticas por lo demás aún operan en un entorno de márgenes elevados, y con ello a menudo concentran demasiados esfuerzos en defender sus posiciones en vez de hacer las cosas de manera diferente.

Hoy en día, la industria se enfrenta a un particular dilema: los líderes que cambien demasiado pronto corren el riesgo de perder flujos de cash atractivos de los modelos comerciales establecidos, y aquellos que se muevan demasiado tarde corren el riesgo de ser adelantados por competidores emergentes.

Los nuevos métodos de pago, basados en resultados, llevan la relación entre el comprador i el proveedor a la práctica de la gestión clínica y sanitaria. Además, este tipo de pagos requiere una relación estrecha entre las empresas farmacéuticas y los pacientes, ya que es necesaria una estrategia clara por parte de los pagadores, consumidores y conocimiento experto por de la industria.

El contexto español

En España, el gasto global en medicamentos no es un problema de nivel de gasto per cápita. Lo es su composición y falta de inserción en la cadena de valor de la salud. A nivel hospitalario, sí que hay mayores dudas sobre la sostenibilidad de los factores que impulsan su crecimiento. Además, la ausencia de un algoritmo para hacer frente a los nuevos desafíos de la globalidad a nivel macro (evaluación) y micro desde la gestión clínica (alineación de incentivos) dificulta la solvencia, así como el crecimiento estratégico a medio y largo plazo.

Reconocido lo anterior, la Administración española tiene que haber aprendido aquello de que si no se hace política farmacéutica otros 'te la harán'. En España hemos tenido medidas diversas para abordar la sostenibilidad financiera del sector, con intervenciones tan burdas como las reglas de gasto. Y ello pese a conocer que los precios y las cantidades tienen diferentes dinámicas de evolución y que inciden de modo distinto en la innovación. En general puede que sea necesario repensar el papel de la descentralización de las decisiones que afectan al sector, potenciando la flexibilidad, para pasar –por ejemplo- del *assessment* al *appraisal*, de la eficiencia productiva a la asignativa, para el buen funcionamiento de la industria del medicamento.

Así pues, se abre en general el siguiente debate: ¿Es adecuado el modelo de una evaluación única y cerrada de la innovación? ¿En la pauta actual tiene futuro? Para algunos es necesario abrir la puerta para que el evaluador apruebe innovaciones reembolsables sólo parcialmente por el financiador, ya desde estrategias de riesgo compartido o de descentralización de las decisiones (esto es, aceptar implícitamente fórmulas de contribuciones parciales y/o complementarias), territoriales (bajo responsabilización fiscal de la jurisdicción decisora), personales (copago), o de simple financiación privada adicional para tratamientos de prescripción pública. Todo ello podría ayudar a 'descomprimir' la presión actual por el 'in' o 'out' de financiación y reembolso. Para ganar la confianza del financiador, también cabrían acuerdos "joint-venture" para compartir, por ejemplo, riesgo financiero sobre los deslizamientos presupuestarios, con el pago de un fármaco según resultados (*pay for performance*) u otras modalidades de devolución, vista la evidencia "ex post" de la efectividad práctica y la aceptación social de las innovaciones. Es en este terreno de experimentación donde la descentralización territorial y funcional pueden tener su papel más relevante para mejorar la flexibilidad del sistema.

Del dicho al hecho: una aproximación des de la Economía de la Salud.

Si tenemos en cuenta la perspectiva económica, cabe destacar que este es un sector que no solo se ha de contemplar desde lo que cuesta sino también desde el valor que aporta a la salud y por su contribución al desarrollo social. Además, es importante considerar aspectos de oportunidad para la transformación económica como los que pueden hoy permitir los fondos *Next Generation EU*, con un alcance de interés compartido entre la industria, la economía en general y la salud. Este es pues un momento clave, en el que se cuenta también con el compromiso del Ministerio, al menos de palabra, en favor de la cuarta valla, tal como establece el documento España 2030. Desde la flexibilidad que nos proporciona el *know how* de múltiples agentes

contribuyendo en red, surge la doble exigencia de mejora de la gobernanza institucional y mayor músculo financiero. En todo caso, se hace necesario determinar cuáles son las tareas que cada agente debe llevar a cabo en la labor compartida de evaluación en innovación farmacéutica y de la política sanitaria en general: quién hace qué y cómo.

La propuesta de algunos es clara y diáfana a favor de una Autoridad (obligatoriedad en su estatuto) e Independiente en su labor (autónoma dentro de su esfera competencial). Esta Autoridad (*Hispanice* atrevidamente la llamamos) se encargaría de clarificar quién llama a la evaluación y con qué finalidad. Sus indicaciones podrían tener los siguientes alcances: recomendación de optimización, recomendación limitada, recomendación para investigación solo y no recomendación. Además, podrían ser mandatorios en tres meses, de tipo prudencial... Haz o explica por qué no haces. Otra de sus labores sería la de decidir cuándo debe aparecer el precio en la ecuación: durante el proceso (en la esfera del *Patient access*) o ex post (sólo para elaborar guías e impacto presupuestario). En esta agencia participarían tanto personas de la industria como profesionales, pacientes... con su impronta de trabajo en red.

Utilaje actual

Actualmente, nuestro sistema sanitario (SNS) confronta el problema (nuevos fármacos, nuevas terapias, secuenciación asistencial), en primera entrada, con los IPTs (Informes de Posicionamiento Terapéutico). Estos comportan unos criterios de uso y seguimiento, que pretenden dar a conocer el medicamento para promover su uso racional e interpretar diferencias por si han o no de ser consideradas desigualdades en el SNS. En la práctica, suelen hacerse casi exclusivamente con la información generada por los estudios de autorización y, por tanto, en ausencia de parte de la información relevante para establecer el valor terapéutico añadido y con las dificultades para establecer la efectividad comparativa en la vida real. La evaluación económica se lleva a cabo, se dice, ‘tras la decisión de precio y la financiación’, por lo que es una evaluación económica para ‘comparativa y análisis de impacto presupuestario’. En este método no tiene una participación significativa la industria respecto a la metodología conocida y validada, ni cuenta con procesos abiertos de revisión (Véase Ortega et al, 2016, en procedimiento adaptado de RAND –UCLA).

Por otra parte, el SNS cuenta con REvalMED (Red Española de Evaluación de Medicamentos en el SNS). Pero, ¿debe esta evaluación referirse solamente al precio y reembolso o también a su implementación de prácticas clínicas? Si tan solo es el precio y reembolso, la Ley ya dice qué se ha de considerar. Si tuviese que contemplar un cambio en las prácticas clínicas es dudoso que el sistema actual, tal como hoy opera, lo consiga, dada su limitada influencia sobre las comisiones fármaco-terapéuticas. Así, en una encuesta a ochenta hospitales, sólo el 6% decían en 2020 establecer el mismo posicionamiento que el IPT señalaba, siendo la base principal de este los trabajos de Génesis (informes, se dice, con ‘estudio propio incluido de minimización de costes’, evaluación económica simple, con costes asociados de cálculo sencillo, que incorporan una revisión de procedimientos...).

No puede ser ésta una solución satisfactoria y estable. El contraste del procedimiento 'debido' para una 'causa justa' (la priorización en un sistema sanitario público) con lo observado fuerza por tanto a una revisión a fondo de la situación.

Jerarquización de la decisión: Secuencia

Salvador Peiró divide la jerarquía de las decisiones a tomar en cuatro estadios derivados de los siguientes campos de análisis:

1) Utilidad terapéutica:

Plasma el enfoque riesgo-beneficio. A través de una evaluación de la eficacia (y a veces de la efectividad) y seguridad de los medicamentos a través (pero no sólo y no siempre) de Ensayos aleatorios controlados RTC en fase III o II-III. Pero no solo mide la eficacia y/o la efectividad: también hace una valoración de la seguridad y tolerabilidad (reacciones adversas, interacciones, efectos secundarios). Por lo tanto, evalúa si existe un balance aceptable entre los beneficios y riesgos de los medicamentos en las condiciones clínicas (indicaciones) y grupos de pacientes para los que el titular de la patente ha solicitado autorización. Para hacerlo, lleva a cabo una selección: de centros sanitarios (de excelencia para el desarrollo de los ensayos: lo que puede incidir en su efectividad en el mundo real?) y de pacientes (composición demográfica, con características poblacionales peculiares), del comparador (respecto de un placebo, considerando alternativas de tratamiento –ya sea la más efectiva actualmente disponible o la más habitual-, así como decidir si llevar a cabo un seguimiento exhaustivo o no de su adherencia.

Añade Peiró al respecto que hay que tener también en cuenta el riesgo del uso abusivo de los *surrogate endpoints* en los RTC de autorización (en oncología: un 80% de los estudios que apoyan aprobaciones regulatorias), para evitar la pérdida de continuidad de los RTC hacia *endpoints* de beneficio clínico relevantes. Además, no suelen incorporar una parte importante de los beneficios (CVRS, costes evitados, ...) ni los costes. Todo esto conlleva que aparezcan sesgos en el reporte de resultados y sesgos de publicación, entre otros.

2) Efectividad comparativa y valor terapéutico añadido (posicionamiento terapéutico)

En la línea de lo descrito más arriba.

3) Relación coste-efectividad incremental

Según S. Peiró, sólo 1 de los 13 fármacos oncológicos aprobados en 2012 por la FDA (Food and Drugs Administration (USA)) producía unas ganancias en supervivencia global superiores a 2 meses (en la indicación aprobada).

Esta relación coste-efectividad incremental rebasa la perspectiva de la utilidad terapéutica y la del valor terapéutico añadido para pivotar sobre la relación entre el valor terapéutico añadido y el coste añadido (los costes de oportunidad). La aportación de valor puede darse en ambos lados de la ratio o tan sólo en uno de ellos: la ausencia de un valor añadido importante no implica ausencia de valor social si el nuevo medicamento o tecnología (a partir de un precio más bajo) presenta una mejor relación coste-efectividad incremental que las alternativas disponibles.

En los sistemas que estimulan la innovación mediante patentes, la condición de eficiencia puede aproximarse (mientras la patente este vigente) si el coste de la nueva tecnología es inferior a su utilidad marginal desde la perspectiva social (umbral de “disponibilidad social a pagar”). Típicamente, se comparan los resultados del análisis Coste/Efectividad con un valor umbral de coste máximo por QALY (Año de Vida Ajustado por Calidad) que aproximaría la disponibilidad social a pagar por un QALY adicional. Así pues, este método proporciona una orientación contundente a la innovación: innovar en valor terapéutico (no en precios innovadores para el mismo valor terapéutico).

4) Impacto presupuestario

Analizar el medicamento desde esta perspectiva sólo tendría sentido cuando se ha demostrado su utilidad terapéutica, el valor terapéutico añadido y una relación coste-efectividad incremental positiva. Esto se debe a que no se trata de responder a la pregunta de si “podemos” financiar un medicamento coste-efectivo sino a la de si “debemos” financiarlo en lugar de hacer otras cosas (usos alternativos de los recursos y priorización). Se debe atender pues a los costes de oportunidad del financiador: ¿qué tecnologías deben financiarse (entre las que son coste-efectivas) para producir el máximo beneficio social? En este sentido una evaluación europea va a chocar siempre en la distinta posibilidad de encajar dicho impacto presupuestario a partir de la disponibilidad de recursos de cada uno de los países.

Por último, cabe preguntarse qué papel deben jugar los acuerdos de riesgo compartido. Estos suponen una transferencia parcial a la industria de los riesgos asociados a la incertidumbre sobre el impacto clínico y presupuestario. Los “*managed entry schemes*” limitan la exposición del financiador asociando descuentos a determinados riesgos, bien financieros (acuerdos precio-volumen, *caps*), bien clínicos (*coverage with evidence development, patient access schemes, risk-sharing agreements/schemes, conditional reimbursement, payment by results/performance*). Las tipologías más frecuentes de este tipo de acuerdos, siguiendo a lo comentado por Peiró (ob cit) son: acuerdos precio-volumen (40%), fórmulas con generación de evidencia (29%), y programas de acceso restringido (13%).

Entre sus beneficios, estos acuerdos enfocan la utilización inicial en las subpoblaciones con mayor beneficio potencial, minimizan el uso *off-label*, generan evidencia adicional en condiciones reales, reducen costes promocionales y ofrecen un marco predecible de ventas. Mas dudas surgen en su implementación práctica, más compleja, debido entre otras razones a sus requerimientos informativos, de confidencialidad, el rol desincentivador para las inversiones de alto riesgo, el traslado de parte de los costes de desarrollo (investigación clínica) desde la industria al sistema de salud... Además, es importante destacar el marcado incremento de los costes de información, lo que supone ventajas e inconvenientes.

Debate. Temas abiertos no confrontados:

Desde el análisis del coste efectividad incremental comentado, un conjunto de ‘modificadores’ pueden interactuar, de modo explícito, modulando el alcance de los ratios anteriores. A continuación, se exponen una serie de temas que deberían afrontarse y resolverse, acordando un criterio a seguir, para poder avanzar a mejor ritmo hacia los objetivos marcados.

Primeramente, habría que aclarar el papel de los modificares. ¿Se basan estos en un concepto preciso de equidad social? ¿Es intercambiable su peso con el uso de tecnologías innovadoras? Siendo todo ello referido a la perspectiva social parece inevitable su sometimiento a un análisis final de sensibilidad.

Además, deberían ajustarse determinados parámetros: así la tasa de descuento (hoy entre el 0 y el 5%), o los límites de lo aceptable en la RWE (Real World Evidence), el significado de la ‘contextualización’ de la evaluación según la disponibilidad de datos, así como las valoraciones de impacto presupuestario ante supuestos de distintas elasticidades de respuesta y de la gestión endógena de riesgos incurridos en el proceso de evaluación.

Por otro lado, es controvertido si los QALY, como medida de años de vida ganados ajustados por calidad, deben o no ser considerados todos iguales sea cual sea el momento en que se originen, y en su caso, con qué tasas de descuento. Así mismo, cuando los precios no son costes unitarios efectivos a nivel de proveedores, es importante considerar el grado de vinculación de éstos para el conjunto del SNS. Finalmente, el tratamiento de la incertidumbre en escalados y proyecciones debe ser aclarado. Aquí debe jugar un papel más importante la RWE y la contextualización, pese a las dificultades antes mencionadas.

Adaptaciones para la nueva evaluación: del NICE al ICER y camino de vuelta. Tal como lo veo.

1. La recomendación debe ser prudencial más que mandataria: Haz o explica por qué no lo haces.
2. Nuevo papel de la descentralización: del *assessment* objetivable y centralizado, al *appraisal* de aplicación al caso concreto y mayormente *outcomes based*.
3. Aceptación del coste de oportunidad *intra* silo, a presupuesto cerrado *inter* silos. Por ello, los *Modificadores* han de afectar al conjunto del gasto y no sólo a unos QALYs individuales.
4. Considerar como base de evaluación un meta-análisis y sobre su resultado realizar un ajuste-país, o la aceptación con datos sintéticos de la *Real World Evidence*, equivale a una menor involucración de proveedores y destinatarios, y prescindir de sesiones públicas ‘ciudadanas’ multicriterio.
5. Sumisión obligatoria a cambio de precios- tasas substanciales.
6. Análisis incremental, con aceptación de comparativa *pairwise* si no existe alternativa.
7. Hay que explicitar el procedimiento utilizado, para que pueda ser validado y abierto a los proveedores para ganar en credibilidad.
8. Mantenerse fuera de la perspectiva social –*unrelated health care costs*- (considerando sólo sistema sanitario) no debería interferir en la evaluación; sólo a modo de

acompañamiento de resultados conviene incorporar el impacto en productividad, generación de renta y de ingresos fiscales, primas educativas, costes de criminalidad evitados, beneficios por discapacidad y pensiones de seguridad social, etc...

9. Consideración explícita en los QALYs, tanto de *equal valued life years* como de QALY *shortfalls* (por ejemplo, ante una ausencia de tratamiento, tanto en términos absolutos como proporcionales) o en terminales (en el *end-of-life care*).
10. Diferenciación explícita de tecnologías innovadoras (*fast track*, con externalidades...), y de las que disminuyan las desigualdades en salud, tanto por tipos como por fuentes.
11. Sin atención expresa a *thresholds* anunciados 'ex ante', ni por el lado de la demanda (gasto) ni de la oferta en sus costes de oportunidad, ni en valores medios ni marginales.

Conclusiones:

Como conclusión principal, se podría decir que estamos delante de un proceso abierto, en el que nos queda aún mucho camino por recorrer. Otras conclusiones que quisiera destacar son las siguientes:

- Institucionalizar la evaluación debe de ser el objetivo.
- Trabajar en red no es igual a consolidar intereses de redes existentes.
- Hace falta una tarea sistemática y no aleatoria o casual; profesional, no seccionada.
- Conviene resistir la tentación de 'ir tirando' en precario que pueda devenir coartada para mantener el statu quo y aparcar una mayor institucionalización y sistemática.
- Autonomía en métodos y en financiación pautada debería ser garantizada.
- Conseguir la estabilidad competencial deseable.
- Poner tierra por en medio entre el regulador, evaluador y financiador, y entre analistas y prescriptores, conviene a todos: 'La mujer del César' no sólo lo ha de ser sino también parecer.

Ventana 1. ¿Qué ha sucedido en UK? England’s NICE. *Eppur si muove.*

- Cambios en el sistema sanitario: El sistema sanitario está cambiando. Los productos cada vez son más complicados de evaluar debido a innovaciones como:
 - La medicina personalizada.
 - Las tecnologías digitales de salud.
 - Terapia celular.
- Hay más demanda de productos para que sean puestos a disposición antes, a veces aún con menos evidencias disponibles que en medicamentos anteriores. Esto significa más demanda para la orientación y el asesoramiento del que podemos producir.
- El gobierno y la Asociación Británica de la Industria Farmacéutica (ABPI) acordaron el esquema voluntario de precios y acceso a los medicamentos de marca en diciembre de 2018. Compromete a NICE a la revisión de sus métodos de evaluación de tecnologías y tecnologías altamente especializadas, incluyendo el proceso de orientación de productos para tecnologías altamente especializadas.
- Aprovechamos esta oportunidad para ampliar este ejercicio para incluir los métodos y procesos del Programa de Evaluación de Tecnologías Médicas y el Programa de Evaluación de Diagnósticos, así como alinearlos cuando corresponda.

Fuente: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/changes-to-health-technology-evaluation>

NICE METHODS REVIEW 2020-21

Tema:	También conocido como:
Modificadores	Valorar los beneficios de las tecnologías sanitarias: gravedad
Problemas específicos de tecnología	Valorar los beneficios de las tecnologías sanitarias: tecnologías altamente especializadas Tecnologías, condiciones y evaluaciones desafiantes
Fuentes y síntesis de evidencia	Comprender y mejorar la base de pruebas
Problemas específicos de tecnología	Valorar los beneficios de las tecnologías sanitarias: incertidumbre
Toma de decisiones	Toma de decisiones estructurada
HRQoL	Health-Related Quality of Life
Igualdad	Valorar los beneficios de las tecnologías sanitarias: desigualdades en salud
Costes en HTA	Alinear métodos entre programas
Minimización de costes	Alinear métodos entre programas
Descuentos	Valorar los beneficios de las tecnologías sanitarias: descuento

ANEXO de las transparencias:

Anexo 1:

20 Reflections from Health Economics for the Health care sector.

OIKOS NOMOS facing ONCO LOGOS

- Setting **priorities** is in the DNA of Economists
- In the face of new treatments, we have old tools to do our job
- The main **focus**: to reduce uncertainty in decision making when not enough evidence
 - Surrogacy measures
 - Real life vs trial populations
 - Clinical expansion of use outside the original indication
 - Differential pricing for different indications (with low n values)

...Finding solutions is **complex** given the nature of the sector (who finances, who prescribe, who consumes)

- As always, the central issues in assessment are in judging what a treatment will do (for whom) and social willingness to pay **for incremental health benefits**. (BMJ July 2019 (Wieseler, from IQWIG):

Wieseler has recently pointed out that over 50% of the 216 drugs newly assessed by QWIG did not prove any incremental benefit at launch. Only a quarter showed clear benefits.

- **Register**, to share uncertainty on therapeutic benefits.
- New treatments **when no comparators** exist may imply to miss the point about the centrality of opportunity cost in the current evaluative system
- Concern about **expectations** on advanced treatments coming out of professionals in a close relation with patients despite the fact that some of those treatments may or not may be approved: Potential conflicts given the decision maker process for authorization.
- Main **caveat**: to advance decisions with the existing knowledge and allow risky treatments or to wait and see and risk to lose meanwhile potential benefits.
- **Debate** on whether the relative effectiveness from RCT may be discounted from the accepted prices, or better to leave prices free out of a bargaining between a monopolist and a monopsonist, and apply thereafter this price just to cases with proven outcomes.
- Most of the controversies among HTAs relate to how to interpret the **effectiveness**, given the implicit uncertainty in the trials, more than on costs.
- At any rate, focus on effectiveness should take priority: its parameters are **multiplicative**, and not so much on additive as when we consider costs. This is mistake

of more health economists (they know the price of everything and ignore their value) and invalidate for some people the cost/ effective contribution.

- **Economic evaluation** has always started from the premise of limited resources for health care and the need to remain within budgets; the logic of this is to try to make sure no treatment is displaced that is more valuable than the treatment displacing it
- Within this, accepting **political views** on priorities has always had a place
- Recently there have been calls for formal multiple criteria decision analysis (**MCD**A) as a way of applying differential weights to benefits enjoyed by different categories of patient
- **What is a real innovation** should be the first and more decisive hurdle. Big decision meanwhile: to lose opportunities by waiting or paying in excess due to uncertainty, given the advance of knowledge over time.
- Attention: 24% of new Oncologic drugs were approved without a comparator: pros and cons of working without causality (what is desirable; what is possible in real decision making). We face innovative disruptive **process** more than new 'products'
- Many examples of Health systems working without an approved budget. However, all the sector gets **tensioned**.
- Variations in **clinical practice** must provide opportunities to test what works in practice.
- **Sharing financial** risk according to health outcomes should not hide financial cost containment (spending ceilings: when worse health outcomes reflect better financial restraint!!)

Últimos Títulos de la Colección Health Policy Papers:

López-Casasnovas, G; "**A propósito del debate Marmot-López sobre desigualdades en salud.**" Colección Health Policy Papers 2021-16_GL.

López-Casasnovas, G; "**Reflexiones post covid ¿Qué hacemos con las desigualdades en salud?**" Colección Health Policy Papers 2021-15_GL.

López-Casasnovas, G; Pinto-Prades, JL; "**Cuan lejos pueden y deben ir los economistas de la salud con el análisis Coste Efectividad**" Colección Health Policy Papers 2021-14_GL_JP.

Sabater Mezquita, R; López Casasnovas, G; "**Efectivitat de les mesures contra la transmissió de la COVID-19 a l'Europa Occidental. Hi ha influït la "cultura mediterrània" i/o el model sanitari**" Colección Health Policy Papers 2021-13_RS_GL.

Sabater Mezquita, R; López Casasnovas, G; "**Efectes de la covid-19 a les llistes d'espera de la Catalunya Central. Quin coll d'ampolla té més influència per a la disminució entre 2019 i 2020 dels diagnòstics de càncer?**" Colección Health Policy Papers 2021-12_RS_GL.

Del Llano J, J; Mestre-Ferrandiz, J; Espín, J; Gol-Montserrat, J; Del Llano, A; Bringas, C; "**Public health policies for the common interest: Rethinking eu states' incentives strategies when a pandemic reshuffles all interests.**" Colección Health Policy Papers 2021-11_JD_JM_JE_JG_AD_CB.

López Casasnovas, G; Pinto-Prades, JL; "**La maximización de los AVAC y el óptimo social**" Colección Health Policy Papers 2021-10_GL_LP.

López Casasnovas, G; "**Mi visión sobre los cambios que llegan a nuestros sistemas de salud de la mano de la digitalización**" Colección Health Policy Papers 2021-09_GL.

López Casasnovas, G; López Seguí, F; Arasanz Goset, A; "**Sustainability and resilience in the spanish health system**" Colección Health Policy Papers 2021-08_GL.

López Casasnovas, G; "**La salud, la distribución de la renta y los condicionamientos sociales**" Colección Health Policy Papers 2021-07_GL.

López Casasnovas, G; "**La evaluación económica en su encrucijada institucional. Genética de un Manifiesto**" Colección Health Policy Papers 2021-06_GL.

López Casasnovas, G; "**Los estragos de la crisis de la Covid 19. Años de vida perdidos por muertes prematuras**" Colección Health Policy Papers 2021-05_GL.

López Casasnovas, G; "**Vacunes en mercat lliure? Els límits a la mercantilització**" Colección Health Policy Papers 2021-04_GL.

García-Altés, A; "**El sistema sanitari com a element de cohesió social**" Colección Health Policy Papers 2021-03_AG.

<https://www.upf.edu/web/cres/health-policy-papers>

