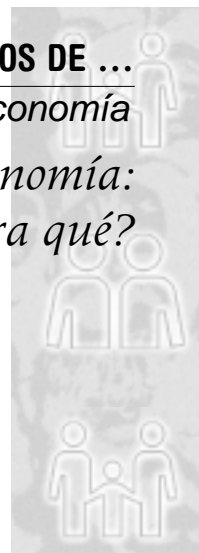


## Estudios de farmacoeconomía: ¿por qué, cómo, cuándo y para qué?

J. SOTO ÁLVAREZ

Unidad de Farmacoeconomía e Investigación  
de Resultados en Salud. Pharmacia, S.A. Madrid



### *Pharmacoeconomic studies: why, how, when and for what?*

#### RESUMEN

*En la actualidad, los recursos que pueden ser destinados al gasto farmacéutico son limitados, por lo que es necesario racionalizar su consumo y priorizar en la asignación de estos recursos a las opciones que presenten mayores ventajas económicas.*

*Los estudios de farmacoeconomía nos van a permitir conocer cual es la eficiencia de las diferentes alternativas terapéuticas disponibles en el mercado para tratar las distintas enfermedades, y, por lo tanto, nos ayudarán a determinar que opciones terapéuticas deberían emplearse de forma rutinaria.*

*Disponemos de distintos tipos de estudios de farmacoeconomía: análisis de coste-beneficio, análisis coste-efectividad, análisis coste-utilidad, análisis de minimización de costes y estudios de coste de la enfermedad, pudiendo realizarse a través de diseños prospectivos (acompañando a ensayos clínicos y estudios observacionales), retrospectivos o predictivos (a través de modelos farmacoeconómicos), e integrándose en las diferentes fases del desarrollo clínico de los medicamentos.*

*La información que nos va a suministrar los estudios de farmacoeconomía va a ser importante a la hora de negociar precios y financiación pública de los nuevos medicamentos, así como a la hora de lograr que tanto en Atención Primaria como en Asistencia Hospitalaria, se utilicen rutinariamente los medicamentos con una mejor relación coste/efectividad.*

**Palabras clave:** *Estudios de farmacoeconomía. Eficiencia. Aplicaciones prácticas en Atención Sanitaria.*

#### ABSTRACT

*Currently, resources that may be spent in pharmacoeconomics expenditure are limited so it is necessary to rationalize their consumption and prioritize in the allocation of these resources to the options with higher economic advantages.*

*Pharmacoeconomic studies will permit us to know what is the efficiency of different therapeutic alternatives so they will help to determine the therapeutic options that we should use in routine medical practice.*

*We have different pharmacoeconomic studies: cost-benefit analysis, cost-effectiveness analysis, cost-utility analysis, cost-minimization analysis and cost of disease studies. They can be performed by using prospective designs (alongside clinical trials and observational studies), retrospective and predictive designs (by carrying out pharmacoeconomic models), and integrating in the different phases of clinical development programs of new medicines.*

*The information of pharmacoeconomic studies will be important when negotiating price and reimbursement of new drugs as well as if we want that in both Primary Health Care and Hospital Care settings the therapeutic alternatives with the best cost/effectiveness relationship will be used routinely.*

**Key words:** *Pharmacoeconomic studies. Efficiency. Practice utilities in Health Care.*

## INTRODUCCIÓN

Durante los últimos años, en todos los países industrializados se ha puesto de relieve un problema ya existente desde tiempo atrás, la progresiva y creciente limitación de los recursos que pueden ser derivados al cuidado sanitario.

Los Estudios de Farmacoeconomía (EF) van a ser una pieza clave en el proceso de toma de decisiones en todo lo concerniente a la política de medicamentos, ya que nos van a permitir poder conocer qué opciones, de todas las existentes, van a ser las más eficientes (aquéllas que consigan mejores resultados clínicos con los menores costes asociados derivados de su consecución), lo que se traducirá en un mayor beneficio terapéutico con un menor coste asociado<sup>1</sup>.

Los primeros países en solicitar EF como un requisito legal para decidir el reembolso de los nuevos medicamentos, fueron primero Australia y después Canadá<sup>2,3</sup>. En estos momentos, existen cinco países europeos donde es un requisito legal la presentación de EF con los nuevos medicamentos que se registren, como un criterio complementario para la negociación del precio y reembolso, como son Portugal, Holanda, Finlandia, Noruega y Dinamarca. Existe un sexto país, Reino Unido, donde se ha creado un organismo oficial (NICE), que se encargará en un futuro de decidir cuáles de los nuevos medicamentos comercializados serán reembolsados con cargo al SNS británico. Uno de los criterios que tendrá en cuenta este organismo a la hora de tomar decisiones, será la eficiencia del nuevo compuesto respecto a los ya existentes, por lo que la presentación de EF a este organismo cuando se vaya a solicitar el reembolso será, prácticamente, imprescindible<sup>4</sup>.

En otros países de Europa (Francia, Italia, Alemania, Suecia) su presentación, aunque no es un requisito legal todavía, sirve de gran ayuda en la fase de negociación del precio y reembolso, así como en la toma de decisión sobre qué medicamentos emplear en la práctica médica rutinaria.

Para conocer la manera e intensidad con la que los EF se van a involucrar en el proceso de toma de decisión, en este artículo vamos a esbozar por qué es necesaria su realización, de qué metodología disponemos para su diseño, qué tipo de estudios existen, en qué fases del desarrollo de un medicamento deberían efectuarse, y cuáles serán las utilidades prácticas derivadas de su realización.

### ¿CUÁLES SON LOS OBJETIVOS DE LOS ESTUDIOS DE FARMACOECONOMÍA?

La farmacoeconomía es una aplicación de la economía de la salud, focalizada en el campo de la evaluación económica de los medicamentos.

Esta clase de estudios nos van a permitir dilucidar cuál va a ser la relación coste/efectividad de las alternativas terapéuticas farmacológicas existentes en el mercado para tratar las distintas enfermedades, lo que nos va a ayudar a la hora de tener que decidir qué medicamentos deberían ser empleados de forma rutinaria en la práctica médica diaria. En este sentido, nos van a dar información complementaria a la eficacia, seguridad y calidad que nos proporcionan los programas de investigación clínica.

Es necesario especificar que los medicamentos eficientes no tienen por qué ser los más baratos, ni los más eficaces, sino que será necesario considerar conjuntamente los costes generados con los beneficios terapéuticos conseguidos para poder determinar qué alternativa es la más eficiente de todas las disponibles.

Por otra parte, hay que considerar al medicamento en relación con una enfermedad concreta, en un grupo de pacientes específico y donde exista un abanico de opciones terapéuticas existentes para su tratamiento, si se quiere definir su eficiencia. De esta manera, un medicamento puede ser eficiente en el tratamiento de una determinada patología en un grupo concreto de pacientes y cuando se compara con las alternativas terapéuticas existentes en ese momento, pero pudiera no ser eficiente para tratar otra enfermedad, en otro subgrupo de pacientes y cuando se comparase con otras posibles intervenciones terapéuticas.

Además, a la hora de evaluar la eficiencia de un medicamento, es necesario no considerar como recursos empleados sólo el coste de su adquisición, sino que será imprescindible tener en cuenta otros costes potencialmente evitados por su administración (días de hospitalización, medicación concomitante, tratamientos de efectos adversos, pruebas complementarias efectuadas, analíticas realizadas, días de baja laboral evitados, etc.).

### ¿POR QUÉ ES NECESARIA SU REALIZACIÓN?

Los recursos destinados al cuidado sanitario son limitados en todos los países industrializados, dado que las necesidades sanitarias de la población crecen a una velocidad mayor de lo que lo hacen los recursos disponibles. Esto es debido, básicamente, a un envejecimiento de la población (se sabe que la población anciana consume entre 4-5 veces más recursos que los jóvenes), a la práctica en los últimos tiempos de una medicina más agresiva (y, a la vez más defensiva), al desarrollo de nuevas tecnologías médicas más eficaces y, también, más caras, a la existencia de tratamientos que cronifican enfermedades (con lo cual los tratamientos van a ser necesarios por largos periodos de tiempo), y a una

mayor demanda y acceso de la población a la atención sanitaria. Por estas razones, en el presente (y sobre todo en un futuro inmediato) se hace imprescindible racionalizar y priorizar la asignación de los recursos disponibles.

En nuestro país el gasto farmacéutico representa cerca del 25% del gasto sanitario total, lo que significa que más de un billón de pesetas se destinará a este fin en el año 2000. Durante los últimos años, el incremento en la factura farmacéutica ha estado muy por encima de la inflación (de hecho, el aumento de 1999 sobre 1998 fue de un 10,5% y el de 1998 sobre el de 1997 fue de un 12%), y además, el gasto mayor corresponde a los medicamentos con menos de 10 años de comercialización.

Teniendo en cuenta esta evolución del gasto farmacéutico, las autoridades sanitarias han implantado unas medidas de contención destinadas a reducir esta factura farmacéutica tales como:

—Potenciación de las especialidades farmacéuticas genéricas.

—Implantación del sistema de precios de referencia.

—Elaboración de listas negativas de medicamentos, los cuales han sido sacados de la financiación pública.

—Fijación de incentivos salariales unidos a control del gasto farmacéutico.

—Incentivación a la elaboración de formularios, protocolos de uso y guías de práctica clínica, donde estarían incluidos los medicamentos más eficientes.

En este contexto, los nuevos medicamentos van a tener que demostrar a todos los agentes decisores, que van a ser opciones terapéuticas con una mejor relación coste-efectividad, que presentan ventajas económicas y/o en calidad de vida sobre las alternativas ya existentes y que, por lo tanto, van a ayudar a lograr una mejor redistribución de los recursos existentes en el sistema sanitario, a pesar de presentar un coste de adquisición más elevado en la mayoría de las ocasiones.

## ¿CÓMO PUEDEN SER EFECTUADOS LOS ESTUDIOS DE FARMACOECONOMÍA?

Para el diseño y elaboración de los EF van a existir diferentes opciones metodológicas, pudiéndose emplear análisis retrospectivos, prospectivos o predictivos, cada uno con sus ventajas e inconvenientes<sup>6</sup>.

### Retrospectivos

Se basan, normalmente, en diseños observacionales utilizando bases de datos (creadas con fines

administrativos o con fines de investigación) o revisando historias clínicas, recogiendo durante el tiempo fijado de antemano (horizonte temporal del análisis) los datos de efectividad clínica junto con los datos de utilización de recursos<sup>7</sup>.

Presentan una gran validez externa (pudiéndose generalizar los resultados al conjunto de la población) y permiten conocer datos de diferentes subgrupos de pacientes que no suelen intervenir en la fase de desarrollo clínico (niños, ancianos, embarazadas, polimedicados, etc.). Además, van a hacer posible el estudio de patologías raras (con baja incidencia) y disponer de los resultados en un tiempo no muy largo y a un coste razonable.

Sus mayores inconvenientes van a ser, la ausencia total o parcial de datos en las historias clínicas (que en ocasiones serían necesarios para poder efectuar un correcto análisis, sobre todo datos de utilización de recursos), y por otra parte un problema inherente a su diseño, como es la posibilidad de que aparezcan sesgos y factores de confusión no controlados a la hora de evaluar la efectividad de las opciones estudiadas. Para intentar minimizarlos, será necesario emplear diferentes técnicas, como el emparejamiento, la estratificación y el uso de análisis multivariante<sup>8-10</sup>.

Por otra parte, si estos estudios retrospectivos se realizan recogiendo datos de ensayos clínicos ya finalizados, el mayor inconveniente es que muchas veces los datos de consumo de recursos sólo se habrán recogido parcialmente, siendo difícil poder efectuar un análisis preciso y válido. Por este motivo, con el uso de diseños retrospectivos, en muchas ocasiones estaremos limitados a poder realizar solamente el EF que mejor se adecue y adapte a los datos disponibles.

### Prospectivos

Se van a poder efectuar a través de 2 diferentes métodos, mediante estudios observacionales empleando bases de datos y a través de ensayos clínicos. La gran ventaja de usar bases de datos de calidad (donde las historias clínicas de los pacientes estén informatizadas, y donde exista una interconexión entre Atención Primaria y asistencia especializada), es que son rápidos y relativamente baratos. La mayor desventaja es la calidad de los datos y la ausencia de información relevante, así como el adecuado control de sesgos y factores de confusión y la ausencia de validaciones sistemáticas de la información contenida<sup>11-13</sup>.

El uso de los Ensayos Clínicos (EC) para realizar EF de forma prospectiva es la manera más usual de obtener datos de eficiencia, dado que es la metodología con mayor fiabilidad, validez interna, credibilidad y relevancia para los agentes decisores



res. Además, el coste asociado de incluir los EF en los protocolos de EC, usualmente va a ser de una pequeña cuantía, no dando tampoco un excesivo trabajo adicional a los investigadores<sup>14,15</sup>. Sin embargo, debería individualizarse en cada EC si merece la pena incluir un EF, teniendo en cuenta el esfuerzo extra que va a suponer su elaboración, análisis e interpretación<sup>16</sup>.

Uno de los principales problemas de incluir un EF en un protocolo de EC, es que la población incluida en los EC no es una representación del conjunto de la población, y que por lo tanto van a tener poca validez externa y generalidad al conjunto de la población. Además, en el EC se va a medir eficacia y no efectividad, y no está claro cuál debería ser la mejor manera de recoger el consumo de recursos durante su desarrollo<sup>17-19</sup>.

Para intentar obviar estos problemas, se ha preconizado el diseño de EC pragmáticos (o naturalísticos), con criterios de inclusión muy laxos que intenten rememorar las condiciones de uso habituales del medicamento, con pacientes reales y problemas habituales<sup>20,21</sup>, y es de esperar que en un futuro aumente el número de diseños con estas características.

### Predictivos

Van a existir situaciones en las que será necesario recurrir a la elaboración de modelos farmacoeconómicos, lo que nos permitirá poder realizar proyecciones del comportamiento de los medicamentos una vez que alcancen el mercado y se empleen en la práctica médica diaria<sup>22</sup>.

Todas las técnicas de modelización se basan en los análisis de decisión<sup>23</sup>, pudiendo dividirse en árboles de decisión simples (recomendables cuando se estudian tratamientos para enfermedades agudas, en las que los periodos de administración sean cortos y en las que no es previsible que aparezcan recidivas/recaídas)<sup>24</sup>, modelos de Markov (útiles en enfermedades crónicas, en los que los periodos de tratamiento son largos y en los que es previsible que aparezcan recaídas y/o recidivas)<sup>25</sup>, o modelos de simulación (deseables cuando existe una interrelación compleja entre los factores internos del modelo, que no aconseja los otros tipos)<sup>26</sup>.

Para su realización se emplean datos de diversas fuentes: ensayos clínicos, metaanálisis, bases de datos, estudios epidemiológicos, revisiones de historias clínicas, paneles de expertos, conjuntamente con asunciones que intentarán cubrir la ausencia de datos desconocidos. Es importante recalcar que estas asunciones deberán ser lógicas, reales y explícitas, pudiendo ser defendidas en todo momento por los autores del estudio, y tienen que reflejar la práctica y los patrones de tratamiento habituales del medio donde se realiza el modelo<sup>27</sup>.

Sus principales aplicaciones van a ser<sup>28,29</sup>:

— Poder efectuar EF en condiciones de cierta incertidumbre, cuando lo que sabemos de muchas variables es información preliminar.

— Ser capaces de extrapolar los resultados de un EC con un periodo de seguimiento corto a un tiempo de seguimiento mayor.

— Interrelacionar variables intermedias de eficacia con variables finales que evalúen variables finales de efectividad.

— Poder comparar diferentes alternativas cuando no existen EC en los que se hayan comparado entre sí.

— Poder relacionar datos de eficacia con datos de práctica clínica rutinaria.

Las técnicas de modelización son herramientas cada día más empleadas, ya que son rápidas y baratas, y con poco esfuerzo nos van a dar una información muy valiosa.

Sin embargo, son muy manipulables y es fácil introducir datos y asunciones sesgadas con el único propósito de lograr que el resultado sea el buscado de antemano. Por este motivo, y con el fin de que los resultados sean fiables y creíbles, es necesario que su realización sea transparente, introduciendo siempre información de calidad y donde todos los datos incorporados estén plenamente justificados y avalados, bien por publicaciones en revistas de calidad o bien por que hayan sido consensuados y respaldados por paneles de expertos de reconocido prestigio<sup>30</sup>.

### ¿DE QUÉ CLASE DE ESTUDIOS DE FARMACOECONOMÍA DISPONEMOS?

En los EF los recursos siempre se van a cuantificar en unidades monetarias, mientras que los resultados clínicos se van a poder medir de diferentes formas, existiendo distintos tipos de estudios según éstos sean evaluados: coste-beneficio, coste-efectividad, coste-utilidad y minimización de costes. Además, va a existir otro tipo de estudio, los estudios de coste de la enfermedad, con unas características específicas bien definidas.

#### Análisis coste-beneficio

En este tipo de estudios, tanto los costes implicados como los resultados clínicos obtenidos son medidos en unidades monetarias (pesetas, libras, dólares, etc.). La gran ventaja de estos estudios es que nos van a permitir poder elegir la alternativa que presenta una mejor relación beneficio/coste y un mayor beneficio neto global, aunque en muchas

ocasiones va a ser muy difícil poder trasladar a dinero los beneficios que se obtengan en distintos parámetros de salud<sup>31</sup>.

### **Análisis coste-efectividad**

En esta clase de análisis, los resultados clínicos de las opciones evaluadas se van a medir en unidades físicas (años de vida ganados, muertes evitadas, vidas salvadas, casos curados, mg de colesterol disminuidos, etc.), y los costes en unidades monetarias. Este tipo de análisis farmacoeconómico es el que más se emplea en el área sanitaria, aunque sólo nos sirve para comparar alternativas en las que los resultados clínicos evaluados se expresen en las mismas unidades físicas, esto es, fármacos del mismo grupo terapéutico: 2 o más antihipertensivos, 2 o más antibióticos, etc.<sup>32</sup>.

### **Análisis coste-utilidad**

La medida que usualmente se emplea en estos análisis son los años de vida ajustados por calidad, los cuales están basados en aunar cantidad y calidad de vida, esta última medida a través de la preferencia o utilidad de los pacientes sobre los resultados que van a producir las alternativas en evaluación. Para medir la utilidad, se emplean escalas de salud que van desde el valor 1 (salud ideal) hasta el 0 (muerte), existiendo incluso valores negativos que corresponden a los estados de salud que el paciente considera como peores que la propia muerte<sup>33</sup>.

### **Análisis de minimización de costes**

En esta clase de estudios se comparan los costes de 2 o más alternativas que presenten idénticos resultados clínicos, eligiendo al final aquélla que presente un menor coste global. Antes de aplicar este tipo de estudio, será necesario poder asegurar con total fiabilidad que la eficacia/efectividad de las opciones comparadas es exactamente equivalente, bien a través de ensayos clínicos controlados o bien con un metaanálisis de estudios ya realizados, con tal que hayan sido efectuados con una correcta metodología que ofrezca garantías de precisión y validez<sup>34</sup>.

### **Análisis del coste de la enfermedad**

Esta clase de análisis se limita a cuantificar los costes totales atribuibles a una determinada enfermedad durante un periodo de tiempo concreto. En

el enfoque incidencia, se evalúan los costes generados por una patología desde su diagnóstico hasta su desenlace final, mientras que en la aproximación de la prevalencia, se miden los costes secundarios al manejo de una enfermedad durante un periodo de tiempo concreto, normalmente un año<sup>35</sup>.

Sus resultados nos van a ayudar a conocer el consumo de recursos secundario al tratamiento y seguimiento de cada enfermedad, y a poder valorar la verdadera dimensión de las consecuencias socioeconómicas de cada patología para la sociedad y el Sistema Sanitario.

## **¿CUÁNDO DEBERÍAN EFECTUARSE LOS ESTUDIOS DE FARMACOECONOMÍA?**

El programa de investigación clínica de un nuevo medicamento en el ser humano conlleva distintas fases (I, II, III y IV)<sup>36,37</sup>, y en todas ellas los EF van a tener una función y una razón de ser claras.

### **Fase I**

Esta fase se realiza, habitualmente, con voluntarios sanos, y nos va a permitir conocer los datos farmacocinéticos del nuevo medicamento, su dosis eficaz, así como una primera evaluación de su perfil de tolerabilidad y seguridad.

En esta fase, se empezará a discutir y elaborar de forma preliminar la estrategia farmacoeconómica a seguir con el producto (que tipo de EF debería realizarse), se evaluará quién/quienes serán los agentes decisores claves para el producto, y se empezará a diseñar y preparar los mensajes farmacoeconómicos más apropiados para cada uno de ellos (paciente, médico, farmacéutico, gestor, autoridades sanitarias, etc.). En esta fase, debería decidirse si será necesario medir la calidad de vida como un criterio adicional de eficacia del compuesto durante las siguientes fases del desarrollo.

Se promoverá la elaboración de un estudio de coste de la enfermedad donde irá destinado el nuevo producto, lo que nos permitirá conocer las consecuencias socioeconómicas que produce esta enfermedad en la sociedad y los tipos de costes más importantes de la patología diana. Además, nos permitirá disponer de datos epidemiológicos y de los tratamientos actuales de la enfermedad diana<sup>38</sup>.

En este momento, se puede valorar la realización de un modelo farmacoeconómico teórico, aunque los datos disponibles (eficacia y seguridad) del producto sean mínimos, lo que nos obligará a tener que incluir numerosas asunciones y suposiciones sobre su posterior comportamiento. Sin embargo, su elaboración nos podría servir de orientación sobre las cualidades (eficacia, seguridad y coste) que debería tener el

nuevo medicamento para poder presentar ventajas económicas sobre los productos ya existentes en el mercado<sup>39</sup>. Si el nuevo compuesto tuviese más de una potencial indicación, estos modelos nos podrían ayudar a escoger la indicación a desarrollar (aquella en la que presentase mayores ventajas económicas frente a las alternativas ya existentes).

De esta manera, podríamos fijar las prioridades en relación a qué productos de todos los existentes deberían continuar el proceso de desarrollo y cuáles deberían ser abandonados<sup>40</sup>.

## Fase II

Se realiza con un grupo pequeño de pacientes, y nos va a permitir conocer, de forma provisional, la eficacia del nuevo medicamento para tratar la patología a la que va a ir dirigido y a disponer de los primeros datos de tolerabilidad y seguridad en pacientes. Como grupo comparador se suele emplear el placebo, y a veces un fármaco activo ya existente en el mercado y que se toma de referencia.

Durante esta fase, se evaluarán los instrumentos disponibles para medir la calidad de vida de los pacientes (y se validarán y adaptarán al idioma del país, si no lo estuvieran ya). Se elaborarán las hojas de utilización de recursos médicos que se incluirán en los cuadernos de recogida de datos de los EC que se desarrollarán en las siguientes fases. Al final de este periodo se debería actualizar el modelo creado en la fase anterior, introduciendo los datos de eficacia y seguridad hallados en los estudios de esta fase.

Asimismo, en esta fase ya se analizan los primeros EF como estudios pilotos, relacionando la eficacia hallada con los costes generados. Sus resultados, nos ayudarán enormemente a planificar el tipo y el número de análisis que serán prioritarios en las siguientes fases<sup>41</sup>.

## Fase III

En esta fase se va a evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad del nuevo fármaco en un grupo muy numeroso de pacientes (habitualmente miles), intentando que estén representados los diferentes grupos de pacientes, aunque normalmente no se incluyen niños, embarazadas, ancianos, polimedicados y pacientes con múltiples patologías asociadas.

Durante esta etapa, se van a realizar los ensayos clínicos que servirán para el registro y la aprobación del nuevo producto. En estos protocolos se incorporarán los EF más idóneos y apropiados, acorde a las características de la enfermedad diana, las variables que se emplearán para valorar la eficacia y el propio diseño de los ensayos clínicos en marcha, y a los resultados hallados durante las fases precedentes.

Por otra parte, se finalizarán los modelos en marcha, una vez se hayan incorporado los datos de eficacia y seguridad encontrados durante este periodo. En este momento se discutirá la estrategia de precio a seguir, y se confeccionará el documento que se presentará a las autoridades sanitarias como soporte de las negociaciones del precio y del reembolso del nuevo medicamento. Una de las partes importantes de este expediente, será la parte destinada a los datos farmacoeconómicos obtenidos, tanto los generados en el seno de EC como los originados a través de las técnicas de modelización empleadas<sup>42,43</sup>.

## Fase IV

Esta fase se inicia tras la comercialización del medicamento, y en ella se van a realizar estudios con subgrupos de pacientes no incluidos en fases anteriores, o se van a buscar nuevas indicaciones para el producto, no estudiadas en etapas anteriores.

Esta fase será idónea para realizar nuevos modelos, con un diseño y orientación diferentes a los realizados en etapas anteriores. Por una parte, deberían incluirse nuevos comparadores (los más empleados en la asistencia rutinaria o los más baratos), y por otra parte debería intentarse emplear variables finales de eficacia (años de vida ganados, muertes evitadas, etc.), lo que daría más validez, generabilidad y relevancia a sus resultados<sup>44</sup>.

A lo largo de esta fase, o periodo post-comercialización, se van a realizar EF empleando diseños pragmáticos y naturalísticos con criterios muy laxos de inclusión (bien ensayos clínicos o estudios observacionales), intentando reflejar las condiciones de uso habitual de los medicamentos en el mundo real. Los resultados de estos análisis y los provenientes de la fase III, servirán para mostrar a los diferentes agentes decisores las posibles ventajas del nuevo producto *versus* los competidores ya existentes, lo que ayudará a que el nuevo producto sea incorporado a los formularios, guías de práctica clínica y protocolos de actuación<sup>45-47</sup>.

Igualmente, los EF servirán de soporte en las discusiones del reembolso del medicamento en nuevas indicaciones y en las revisiones temporales que las autoridades lleven a cabo, en relación a su financiación con cargo al erario público<sup>48</sup>.

## ¿PARA QUÉ VAN A SERVIR LOS ESTUDIOS DE FARMACOECONOMÍA?

### A nivel de la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios

En los últimos tiempos, se han introducido cambios estructurales y funcionales en este organismo, en

parte por la creación de la Agencia Española del Medicamento, lo que ha originado una reevaluación de sus funciones y cometidos, en un intento por adecuarse a la nueva situación coyuntural. Por otra parte, y de una manera progresiva, se han ido introduciendo cambios orientados a modificar las reglas de juego en relación a la financiación de los nuevos medicamentos por parte del Sistema Nacional de Salud (SNS):

—Separación progresiva entre registro y financiación pública de los nuevos medicamentos, de tal manera que podrán existir fármacos registrados en nuestro país sin un reembolso público.

—Posibilidad de financiación selectiva según distintas indicaciones y/o subgrupos.

—Creación de una comisión interministerial de precios, que se encargará de fijar el precio de las nuevas especialidades farmacéuticas, y cuando se estime oportuno, revisar el precio de los fármacos ya comercializados.

—Revalorización de la comisión nacional para el uso racional del medicamento.

En este contexto, la utilidad de los EF en el proceso de toma de decisión a este nivel va a ser, por una parte, servir de ayuda en el proceso de fijación del precio de los nuevos medicamentos (como un dato adicional a tener presente), y por otra parte, ser clave en el proceso de determinar qué medicamentos van a ser reembolsados con cargo al erario público, introduciendo la eficiencia como un criterio importante a la hora de fijar que se va a financiar con fondos públicos.

### A nivel de la asistencia hospitalaria

La atención hospitalaria ha sufrido importantes cambios y reformas, algunas ya implantadas y otras en vías de consolidación, siendo las más importantes:

—Descentralización y flexibilidad en la gestión de los hospitales, lo que se va a traducir en una mayor autonomía.

—Creación de institutos clínicos con autogestión y presupuestos propios, lo que propiciará una mayor participación e involucración de los médicos en la gestión clínica.

—Potenciación de las comisiones de farmacia y terapéutica, en un intento por racionalizar los fármacos incluidos en los formularios de los hospitales.

—Mayor protagonismo a los formularios y guías farmacoterapéuticas hospitalarias.

—Posibilidad de fijar incentivos económicos ligados a objetivos.

Por lo tanto, las utilidades de los EF a este nivel como ayuda en la toma de decisiones, se van a basar en tres grandes pilares:

—Incluir en los formularios las opciones terapéuticas más eficientes, lo que redundará en un mejor uso de los recursos disponibles y en un aumento de la calidad asistencial.

—Mostrar a los agentes decisores cómo el uso de los medicamentos más eficientes va a permitir redistribuir mejor los recursos existentes en el hospital.

—Incorporar a los protocolos y guías de práctica clínica hospitalarias los medicamentos que presenten una mejor relación coste/efectividad y/o calidad de vida.

### Atención Primaria

A este nivel, las modificaciones acaecidas y las que existirán en un futuro inmediato, se han centrado en los siguientes puntos:

—Progresiva autogestión de los centros de salud: mayor autonomía financiera.

—Beneficios económicos obtenidos que van a repercutir directamente en el propio centro y en el salario del personal, vehiculizado a través de incentivos monetarios (bonos).

—Ligazón de incentivos a un uso racional de los recursos (farmacológicos y de otra índole) y a la elaboración de boletines terapéuticos y guías de práctica clínica.

—Nuevos agentes decisores claves: asesor de medicamentos y coordinador del centro de salud.

Con estos cambios en el horizonte, las utilidades de los EF como soporte en la toma de decisiones, pasa por:

—Utilizar de forma rutinaria los medicamentos más eficientes, pudiéndose distribuir de una manera más lógica y racional los recursos disponibles, maximizando el beneficio social de los mismos.

—Recomendar en los boletines terapéuticos de cada área sanitaria, el uso de los medicamentos más eficaces, seguros y con una mejor relación coste/efectividad y/o calidad de vida.

—Evaluar al medicamento globalmente desde el punto de vista económico y no sólo por su mero coste de adquisición, ya que va a permitir racionalizar los recursos de otros capítulos sanitarios.

### CONCLUSIONES

En los últimos años se ha agudizado el problema de la limitación de recursos para poder destinar al cuidado sanitario (y específicamente al gasto farmacéutico), lo que ha obligado a tener que priorizar su consumo de forma racional y equitativa. A la hora

de decidir qué medicamentos financiar con cargo al erario público, será necesario conocer la eficiencia de las diferentes opciones existentes, conjuntamente con su eficacia y seguridad.

Los medicamentos con una mejor relación coste-efectividad van a ayudar a controlar, e incluso a disminuir el gasto sanitario global, constituyendo una inversión rentable para el SNS. En muchas ocasiones, nos van a permitir poder reducir el gasto sanitario de diferentes capítulos, como el destinado a la asistencia especializada (al acortar el número de días de estancia hospitalaria y al disminuir el número de pruebas y exámenes complementarios, etc.), a la Atención Primaria (al reducir el número de consultas y las peticiones de analítica y otras pruebas complementarias), e incluso en asistencia socio-sanitaria (al reducir la necesidad de institucionalizar a pacientes o al disminuir la necesidad de cuidados informales de los pacientes en su domicilio). Por todas estas razones, los medicamentos eficientes son alternativas económicamente rentables para el SNS.

Los EF nos van a proporcionar información sobre la eficiencia de las alternativas terapéuticas utilizables para tratar las diferentes enfermedades, siendo un instrumento de ayuda en la toma de deci-

sión sobre la asignación y redistribución de los recursos destinados al capítulo de gasto farmacéutico.

La situación en nuestro país, inexorablemente, camina hacia escenarios y requisitos donde la búsqueda de la eficiencia de los nuevos medicamentos sea un actividad prioritaria, y donde, por lo tanto, los EF tendrán un peso específico muy importante a la hora de decidir la financiación de los nuevos medicamentos y de priorizar en qué alternativas terapéuticas gastar el presupuesto destinado al capítulo de medicamentos, tanto en Atención Primaria como en Asistencia Especializada.

#### CORRESPONDENCIA:

J. Soto Álvarez  
 Unidad de Farmacoeconomía e Investigación  
 Farmacia S.A.  
 Avda. de Burgos, 17 - 1ª Planta  
 28036 Madrid  
 Tfno.: 91 589 53 61  
 Fax: 91 589 53 54

## Bibliografía

- Sacristán JA, Soto J, Reviriego J, Galende I. Farmacoeconomía: el cálculo de la eficiencia. *Med Clin* 1994; 103: 143-9.
- Langley PC. The november 1995 revised Australian guidelines for the economic evaluation of pharmaceuticals 1996; 9: 341-52.
- Menon D, Schubert F, Torrance G. Canada's new guidelines for the economic evaluation of pharmaceuticals. *Med Care* 1996; 34: DS77-DS86.
- Griffin JP. The need for Pharmacoeconomic evaluations in the NHS. *Pharmacoeconomics* 1998; 14: 241-50.
- Soto J, Fernández P. Evaluación económica de medicamentos: aplicaciones prácticas para los diferentes agentes decisores. *Med Clin* 1998; 110: 699-702.
- Walley T, Haycox A. Pharmacoeconomics: basic concepts and terminology. *Br J Clin Pharmacol* 1997; 43: 343-8.
- Álvarez-Dardet C, Bolúmer F, Porta M. Tipos de estudios. *Med Clin* 1987; 88: 296-301.
- Smith GD, Phillips AN. Confounding in epidemiological studies: why "independent" effects may not be all they seem. *BMJ* 1992; 305: 757-9.
- Moses L. Measuring effects without randomized trials? Options, problems, challenges. *Med Care* 1995; 33: AS8-AS14.
- D'Agostino RB, Kwan H. Measuring effectiveness: what to expect without a randomized control group. *Med Care* 1995; 33: AS95-AS105.
- Lave JR, Pashos CL, Anderson GF, Brailer D, Bubolz T, Conrad D, et al. Costing medical care: using medicare administrative data. *Med Care* 1994; 32: JS77-JS89.
- Pastor-Sánchez R, López-Miras A, Gervas J. Historia clínica informatizada. *Med Clin* 1994; 103: 304-9.
- Álvarez-Requejo A, Porta M. Pharmacoepidemiology in practice: current status and future trends. *Drug Safety* 1995; 13: 1-7.
- Drummond MF, Davies L. Economic analysis alongside clinical trials. *Int J Tech Assess Health Care* 1991; 7: 561-73.
- Drummond MF. Economic analysis alongside clinical trials: problems and potential. *J Rheumatol* 1995; 22: 1403-7.
- Haycox A, Drummond A, Walley T. Pharmacoeconomics: integrating economic evaluation into clinical trials. *Br J Clin Pharmacol* 1997; 43: 559-62.
- Powe NR, Griffiths RI. The clinical-economic trial: promise, problems and challenges. *Control Clin Trials* 1995; 16: 377-94.
- Baltussen R, Ament A, Leidl R. Making cost assessments based on RCTs more useful to decision-makers. *Health Policy* 1996; 37: 163-83.
- Ellwein LB, Drummond MF. Economic analysis alongside clinical trials: Bias in the assessment of economic outcomes. *Int J Tech Assess Health Care* 1996; 12: 691-7.
- Simon G, Wagner E, Vonkorff M. Cost-effectiveness comparisons using "real world" randomized trials: the



- case of new antidepressant drugs. *J Clin Epidemiol* 1995; 48: 363-73.
21. Drummond MF, Knapp MRJ, Burns TP, Miller KD, Shadwell P. Issues in the design of studies for the economic evaluation of new atypical antipsychotics: the ESTO study. *J Mental Health Policy Econ* 1998; 1: 15-22.
  22. Luce BR. Policy implications of modeling the cost-effectiveness of health care technologies. *Drug Inf J* 1995; 29: 1469-75.
  23. Thornton JG, Lilford RJ, Johnson N. Decision analysis in medicine. *BMJ* 1992; 304: 1099-103.
  24. Basskin L. How to use decision analysis to solve pharmaco-economic problems. *Formulary* 1997; 32: 619-28.
  25. Briggs A, Sculpher M. An introduction to Markov modelling for economic evaluation. *PharmacoEconomics* 1998; 13: 397-409.
  26. Sonnenberg FA, Roberts MS, Tserat J, Wong JB, Barry M, Kent DL, et al. Toward a peer review process for medical decision analysis models. *Med Care* 1994; 32: JS52-JS64.
  27. Rittenhouse BE. Another deficit problem: the deficit of relevant information when clinical trials are the basis for pharmaco-economic research. *J Res Pharm Econ* 1996; 7: 3-15.
  28. Nuijten MJC. The selection of data sources for use in modelling studies. *PharmacoEconomics* 1998; 13: 305-16.
  29. Buxton MJ, Drummond MF, Van Hout BA, Prince RL, Sheldon TA, Szucs T, et al. Modelling in economic evaluation: an unavoidable fact of life. *Health Econ* 1997; 6: 217-27.
  30. Sheldon TA. Problems of using modelling in the economic evaluation of health care. *Health Econ* 1996; 5: 1-11.
  31. Johannesson M, Johnsson B. Economic evaluation in health care: Is there a role for cost benefit analysis? *Health Policy* 1991; 17: 1-23.
  32. O'Brien B. Principles of economic evaluation for health care programs. *J Rheumatol* 1995; 22: 1399-402.
  33. Torrance GW, Feeny D. Utilities and quality-adjusted life years. *Int J Technol Assess Health Care* 1989; 5: 559-75.
  34. Eisenberg JM. Clinical economics. A guide to economic analysis of clinical practices. *JAMA* 1989; 262: 2879-86.
  35. Drummond M. Cost of illness studies. A major headache? *PharmacoEconomics* 1992; 2: 1-4.
  36. Tristán C, Galende I, Rubio Terrés C, Duque I. Estudios de toxicología animal necesarios para la investigación clínica y el registro de medicamentos de uso en humanos: conclusiones de la conferencia internacional de armonización (y II). *Med Clin* 1994; 102: 791-6.
  37. Porta M, Ibáñez LL, Carné X, Laporte JR. Principios del ensayo clínico. *Med Clin* 1983; 80: 768-70.
  38. Koopmanschap MA. Cost of illness studies. Useful for health policy? *PharmacoEconomics* 1998; 14: 143-8.
  39. Glick H, Kinosian B, Schulman K. Decision analytic modeling: some uses in the evaluation of new pharmaceuticals. *Drug Inf J* 1994; 28: 691-707.
  40. Grabowski H. The effect of pharmaco-economics on company research and development decisions. *PharmacoEconomics* 1997; 11: 389-97.
  41. Data JL, Willke RJ, Barnes JR, DiRome PJ. Re-engineering drug development: integrating PharmacoEconomic research into the drug development process. *Psychopharmacol Bull* 1995; 31: 67-73.
  42. Clemens K, Garrison LP, Jones A, Macdonald F. Strategic use of PharmacoEconomic research in early drug development and global pricing. *PharmacoEconomics* 1993; 4: 315-22.
  43. Schulman KA, Lane T, Yabroff KR. Economic assessment within the clinical development program. *Med Care* 1996; 34: DS89-DS95.
  44. Drummond M, Jönsson B, Rutten F. The role of economic evaluation in the pricing and reimbursement of medicines. *Health Policy* 1997; 40: 199-215.
  45. Johnsson JA, Friesen E. Reassessing the relevance of PharmacoEconomic analyses in formulary decisions. *PharmacoEconomics* 1998; 13: 479-85.
  46. Johannesson M. Economic evaluation of drugs and its potential uses in policy making. *PharmacoEconomics* 1995; 8: 190-8.
  47. Manskopf J. Industry responsibility in interactive computer modelling. *Med Care* 1996; 34: DS165-DS72.
  48. Dening P, Haaijer-Ruskamp FM. Do physicians take into account when making prescribing decisions? *PharmacoEconomics* 1995; 8: 282-9.