



Capsulas

Evaluación de medicamentos

Resumen de la intervención de Lluís Alcover en el Curso de Derecho Farmacéutico de la Fundación CEFI

Introducción

La evaluación de medicamentos es un procedimiento científico-técnico cuyo propósito es determinar el valor añadido de los nuevos fármacos en relación con las terapias existentes. Su objetivo es servir de herramienta para la toma de decisiones en materia sanitaria y, muy especialmente, para la decisión sobre la financiación y precio de los medicamentos.

Su razón de ser deriva del hecho que las conclusiones de las agencias regulatorias son esencialmente individuales. Para obtener una autorización de comercialización (AC), un fármaco debe ser seguro, eficaz y de calidad, pero no es necesario que sea mejor que las alternativas existentes. Ser mejor que las terapias disponibles no es un requisito para obtener una AC (e.g. la eficacia puede demostrarse con un ensayo pivotal contra placebo). Por este motivo, realizar una evaluación comparativa posterior es esencial para informar las decisiones sobre asignación de recursos e inclusión de medicamentos en la prestación farmacéutica pública. Este ejercicio evaluativo tiene distintas dimensiones entre las que destacan una clínica y una económica.

La evaluación clínica analiza la eficiencia y la seguridad relativa: el nuevo fármaco, ¿es más eficaz que las alternativas existentes? ¿Es más seguro? Esta parte de la evaluación concluye con el posicionamiento terapéutico. La evaluación económica responde a otro tipo de cuestiones: ¿invertir XX Eur en el nuevo fármaco es el mejor uso posible de los recursos? ¿Cuánto costará la

inclusión de la nueva terapia en la prestación farmacéutica pública? Del primer interrogante se ocupan los estudios de eficiencia (e.g. estudios de coste efectividad y coste utilidad); del segundo, los análisis de impacto presupuestario.

En España, la evaluación de medicamentos en el ámbito nacional se ha venido realizando en el contexto de los informes de posicionamiento terapéutico (IPTs).

Los IPTs se crearon el 2013 en el seno de la Comisión Permanente de Farmacia del CISNS. Inicialmente, los IPTs se realizaban y aprobaban en la órbita de la AEMPS e incluían una evaluación únicamente clínica (eficacia y seguridad relativa). Más adelante, el 2020, la Comisión Permanente de Farmacia buscó reforzar los IPTs con un Plan de Consolidación. Entre otras cuestiones, el Plan creó ReValmed (una red en la que participaban AEMPS, DGCC y CCAAs) y previó la inclusión de evaluación económica en los IPTs. De facto, el Plan “acercó” los IPTs a la DGCC en la medida que la evaluación económica se realizaba por equipos liderados por la DGCC.

En junio de 2023 la Audiencia Nacional anuló el Plan de Consolidación por motivos de forma y fondo. La anulación incrementó la urgencia de aprobar un nuevo marco normativo para la evaluación de medicamentos en España.

En este contexto, en octubre de 2023, el Ministerio de Sanidad sacó a consulta pública previa el Proyecto de Real Decreto por que se regula la evaluación de tecnologías sanitarias.





Consulta pública previa sobre el Proyecto de Real Decreto

1. Rango normativo

¿Es adecuado el recurso a un Real Decreto para regular la cuestión que nos ocupa? En términos generales sí. Conviene, sin embargo, hacer dos precisiones.

Primera, un Real Decreto no lo puede todo, e.g. una norma de este rango no puede crear un organismo de evaluación independiente de fármacos (propuesta muy comentada recientemente e incluso incluida en los programas políticos de los principales partidos políticos para las últimas elecciones generales). En consecuencia, el uso de este tipo de norma delimita inevitablemente el alcance y ambición de las reformas a acometer.

Segunda, debido al carácter eminentemente técnico de la materia, será necesario que por debajo del Real Decreto se aprueben guías y otros documentos para orientar a los interesados sobre cómo realizar las evaluaciones. Estas guías tendrán un gran impacto en los ejercicios evaluativos en la medida que determinarán los métodos y procedimientos a seguir para realizarlos. Es muy importante que su desarrollo cuente con una participación amplia de todos los interesados y un grado de consenso elevado.

2. Naturaleza jurídica de los informes

La evaluación de medicamentos concluye con un informe en el que se plasma el resultado de la evaluación. Hasta ahora estos informes eran los IPTs; de ahora en adelante, no está claro el nombre que recibirán. Nos referiremos a ellos con el término genérico "Informes".

Bajo el Plan de Consolidación, la naturaleza jurídica de los IPTs era confusa, llegando a afirmar

la Administración que no eran un acto administrativo. Su relación con el procedimiento de financiación y precio tampoco estaba clara: ¿Eran un trámite dentro del procedimiento de financiación y precio? ¿Eran un procedimiento autónomo?

En mi opinión, el nuevo marco regulatorio debería dejar claro que los Informes son actos administrativos finalizadores de un procedimiento administrativo autónomo y diferenciado del procedimiento de financiación y precio. Primero, porque no hay duda de que, conceptualmente, la evaluación tiene entidad propia y separada del procedimiento de financiación y precio. El evaluador "evalúa" y el decisor "decide", siendo ambos procedimientos distintos con métodos y criterios diferenciados. Segundo, porque a la vista de lo que ha venido ocurriendo los últimos años, los Informes son mucho más que un input del procedimiento de financiación y precio. Son documentos que escapan de la esfera interna de la Administración y que presentan verdaderos efectos ante terceros; lo que implica que necesariamente deban reputarse como actos administrativos finalizadores de un procedimiento. Los Informes, cuando se publican, influyen en el posicionamiento del fármaco, así como en su valor y uso en la práctica clínica. También en la redacción de guías regionales y hospitalarias.

Reputar los Informes como actos resolutorios de un procedimiento administrativo autónomo permitiría que los interesados, incluida la compañía desarrolladora, pudiesen ejercer los derechos que cualquier administrado ostenta en el marco de cualquier procedimiento administrativo. Ello incluye el derecho a acceder el expediente completo, conocer el estado del expediente, presentar alegaciones, formular recursos, etc...

Sobre la posibilidad de realizar alegaciones, caben dos propuestas adicionales a la vista de



la dinámica que se ha vendido siguiendo bajo el Plan de Consolidación. Primera, sería deseable que el órgano/organismo evaluador contestara con mayor precisión cada una de las alegaciones recibidas e indicara con claridad, para cada alegación, si se tiene en cuenta, si no, y la justificación concreta de la decisión. En no pocas ocasiones las alegaciones a los IPTs que hacían las compañías quedaban sin responder de manera explícita. Cuanto más diálogo exista entre evaluador y agentes interesados, mayor robustez y legitimidad tendrá el Informe final.

Segunda, sería conveniente que las compañías pudiesen hacer alegaciones, además de al borrador inicial del Informe, al Informe final que se envía a la DGCC (con todas las aportaciones de los otros interesados incorporadas). De esta manera, se evitarían situaciones en las que el Informe final incluye comentarios (añadidos a raíz de alegaciones de otros stakeholders) respecto los cuales la compañía no ha tenido ocasión de pronunciarse.

3. Informes no preceptivos

Los Informes convendría fuesen “no preceptivos”, en el sentido de no obligatorios para el inicio y/o continuación de los procedimientos de financiación y precio.

De entrada, puede ser que no sea necesario realizar Informes para todos los fármacos y nuevas indicaciones. Convendría, por lo tanto, ser flexibles y no exigir una obligatoriedad formal. Asimismo, los retrasos en la elaboración de los Informes no imputables a la compañía desarrolladora no deberían afectar los tiempos de los procedimientos de financiación y precio.

Por último, el nuevo régimen sería deseable contemplara la posibilidad de sustituir los Informes por “planes de generación de evidencia” en el supuesto que en el momento inicial de elabo-

ración del Informe (e.g. post opinión positiva CHMP) no existan datos suficientes para realizarlo. Durante el “mientras tanto”, se recabarían datos en vida real que permitirían hacer un Informe sólido pasado cierto tiempo; se seguiría un procedimiento de financiación y precio con conclusiones provisionales; y, muy importante, se permitiría el acceso a los pacientes.

4. Informes no vinculantes

Las conclusiones de los Informes deberían ser “no vinculantes”, en el sentido que la conclusión del evaluador no tiene por qué coincidir con la del decisor. Los criterios a tener en cuenta por uno y por otro son distintos, con los que las conclusiones que alcancen también pueden serlo. En este sentido, propuestas como la que planteó la Airef de prever criterios de coste-efectividad vinculantes no son, en mi opinión, deseables.

5. Relación con el Reglamento 2001/2282

El encaje entre el nuevo Real Decreto y el Reglamento (UE) 2001/2282 de evaluación de tecnologías sanitarias será un aspecto muy relevante. El quid de la cuestión será ver en qué medida los Informes nacionales respetan los informes evaluación clínica conjunta que empezarán a publicarse en enero de 2025 para antineoplásicos y terapias avanzadas.

El nuevo marco regulatorio, en mi opinión, debería reconocer la existencia de distintos niveles en materia de evaluación (europeo, nacional, regional y hospitalario); incrementar la coordinación entre niveles; y prever la imposibilidad de que un nivel inferior revalúe lo mismo que un nivel superior salvo en casos excepcionales y debidamente justificados (e.g. ausencia del comparador usado en el nivel superior en el nivel inferior, situación epidemiológica claramente diferenciada entre niveles, etc.).



6. Criterios técnicos de la evaluación

Los criterios técnicos para la realización de las evaluaciones convendría se concretaran en guías “por debajo” del Real Decreto. En cualquier caso, el Real Decreto podría apuntar la dirección a seguir y las líneas generales. En este sentido, hay dos aspectos que merecen especial atención. En primer lugar, la elección de los comparadores. El nuevo marco regulatorio debería ser sensible al nivel de evidencia disponible de cada fármaco y su situación regulatoria (e.g fórmulas magistrales vs medicamentos de fabricación industrial con AC, terapias avanzadas con distinto perfil regulatorio, etc.).

En segundo lugar, la perspectiva de los análisis. Tradicionalmente, los IPTs se han venido realizando bajo la perspectiva del sistema nacional de salud. Sería conveniente que el nuevo régimen apostara por perspectivas más amplias que permitiesen captar el valor íntegro del fármaco.

.....