Fundación Weber

VOL 4 - NUM. 1 - DICIEMBRE 2019

newsRARE

Revista de divulgación científica sobre Enfermedades Raras



ENFERMEDADES RARAS

El Análisis de Decisión Multi-Criterio como modelo alternativo de evaluación de medicamentos huérfanos

EDITORIAL

Xavier Badia: *"Vía de avance en las evaluaciones de medicamentos para enfermedades raras para una mejor toma de decisiones: el análisis de decisión-multicriterio"*

PAG 4

ARTÍCULOS EN DETALLE

Antoni Gilabert Perramon: "Implementación de un MCDA reflexivo para medicamentos huerfanos en el seno del CATSALUT"

Jaime Espín Balbino: "Una revisión sistemática de modelos MCDA de evaluación de medicamentos huérfanos"

Javier Mar Medina: "Un experimento de elección discreta para extraer preferencias sociales sobre enfermedades raras"

PAG 20

ENTREVISTAS

Rosabel Arce. Directora Ejecutiva de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra Huérfanos (AELMHU)

José Antonio Marcos. Farmacéutico del Hospital Universitario Virgen Macarena (Sevilla)

José Luis Poveda. Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital La Fe (Valencia)

PAG 28

Editor
Dr. Álvaro Hidalgo Vega. Profesor Titular del Área de Fundamentos de Análisis Económico de la UCLM
Presidente de la Fundación Weber

Editor Asociado
Dr. José Luis Poveda. Jefe de Servicio de Farmacia. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia

Consejo de Redacción
Dª. Alexandra Ivanova. Gerente. Weber
Dª. Renata Villoro. Vicepresidenta. Fundación Weber
Dª. Néboa Zozaya. Directora del Área de Economía de la Salud. Weber
D. Ramón Ferrer. Director de newsrare.es

Consejo Editorial
Dª. Alba Ancochea Díaz. Directora General. Federación Española de Enfermedades Raras y la Fundación FEDER para la investigación
Dr. Alberto Jiménez Morales. Director de la Unidad de Gestión Clínica de Farmacia. Hospital Virgen de las Nieves, Granada
Dr. Antoni Gilabert Perramon. Director del Área de Farmacia y del Medicamento. Consorcio de Salud y Social de Cataluña
D. Antoni Montserrat Moliner. Miembro del consejo de dirección. ALAN - Maladies Rares Luxembourg
Dr. Antonio Román Broto. Director Asistencial. Hospital Universitario Vall d'Hebron
Dª. Blanca Segurola Lázaro. Jefa de Servicio Corporativo de Farmacia. Dirección de Asistencia Sanitaria. Osakidetza
Dr. Félix Rubial Bernardez. Gerente. Estructura Organizativa de Gestión Integrada de Ourense. Servicio Gallego de Salud (SERGAS)
Dra. Gloria González Aseguinolaza. Directora. Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión génica del CIMA. Universidad de Navarra (UNAV)
Dª. Gloria Tapias Xirau. Directora de Acceso al Mercado. Akcea Therapeutics Spain
Dr. Gonzalo Calvo Rojas. Jefe del Servicio de Farmacología Clínica. Hospital Clínico de Barcelona
Dra. Itziar Astigarraga Aguirre. Jefa de Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces
Dr. Jordi Gascón-Bayarri. Facultativo Especialista de Neurología. Hospital Bellvitge
Dr. Juan Oliva Moreno. Profesor Titular. Área de Fundamentos de Análisis Económico. Universidad de Castilla – La Mancha (UCLM)
Dr. Julio López Bastida. Profesor Titular. Facultad de Terapia Ocupacional, Logopedia y Enfermería de Talavera de la Reina. Universidad de Castilla – La Mancha (UCLM)
Dr. Manuel Macía Heras. Jefe de Servicio de Nefrología. Hospital Universitario Ntra. Sra. de Candelaria. Santa Cruz de Tenerife
Dª. María Codesido López. Directora Gerente. Hospital Vithas Nisa Pardo de Aravaca
Dra. María Dolores del Pino y Pino. Presidenta. Sociedad Española de Nefrología (SEN)
Dra. María José Calvo Alcántara. Subdirectora General de Farmacia y Productos Sanitarios. Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid
Dª. Marta Calvo Díez. Pharmaceutical Affairs and Market Access Manager. Actelion, a Janssen Pharmaceutical Company of Jhonson & Jhonson España
Dª. Mercedes Martínez Vallejo. Consejera Técnica. Dirección General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Farmacia. Ministerio de Sanidad Consumo y Bienestar Social (MSCBS)
Dr. Miguel Ángel Calleja Hernández. Jefe de Servicio de Farmacia. Hospital Universitario Virgen de la Macarena
Dra. Olga Delgado Sánchez. Presidenta. Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)
Dra. Reyes Abad Sazatornil. Jefa de Servicio de Farmacia. Hospital Miguel Servet
D. Ricardo Herranz Quintana. Gestihealth Consulting
D. Xavier Badía Llach. CEO & Partner. Omakase Consulting

Editorial: Fundación Weber
C/ Moreto, 17
28014 Madrid (España)

Coordinación Editorial
Marta Méndez
marta.mendez@weber.org.es

Diseño Gráfico
Luis de Miguel

newsRARE es una publicación periódica especializada, que se distribuye principalmente a personal de los servicios de salud. newsRARE está dirigida especialmente a profesionales sanitarios, tanto a nivel hospitalario, como de atención primaria y de salud pública, que estén trabajando en algún campo relacionado con enfermedades raras

Depósito legal: M-31717-2015

ÍNDICE

4 | EDITORIAL
Xavier Badía

7 | EN PROFUNDIDAD
El Análisis de Decisión Multi-Criterio en EERR

20 | ARTÍCULOS EN DETALLE

28 | ENTREVISTAS

36 | FUE NOTICIA

45 | SERÁ NOTICIA

49 | A DESCUBRIR

Editorial

VÍA DE AVANCE EN LAS EVALUACIONES DE MEDICAMENTOS PARA ENFERMEDADES RARAS PARA UNA MEJOR TOMA DE DECISIONES: EL ANÁLISIS DE DECISIÓN-MULTICRITERIO

XAVIER BADIA

Investigador en Resultados en Salud. CEO Omakase Consulting

A veces no nos acordamos de poner método a la legislación. Y también que el método puede cambiar dependiendo de la evidencia y del cambio de la legislación. Ahora, cuando los umbrales de los análisis coste-efectividad se muestran discutidos si no se añaden otros criterios como el "*end of life*" o la gravedad de la enfermedad, uno se da cuenta de que es posible que el sentido común basado en la evidencia nos diga que se necesitan más criterios para evaluar holísticamente un medicamento huérfano, además del coste y los años de vida ajustados por calidad. La cuestión es intentar realizar una buena evaluación de un medicamento huérfano de manera estandarizada, con una metodología reproducible que ayude a la toma de decisiones sobre si financiarlo o no. Sin embargo, si se mira a través del prismático del pasado, el análisis de decisión multicriterio hace años que lo hacemos en España, pero lo que no hemos desarrollado es la metodología para una evaluación estandarizada de los medicamentos huérfanos. Luego retomaré este tema.

Se han desarrollado numerosos modelos de análisis de decisión multicriterio en medicamentos huérfanos. En este número especial de Newsrare se presenta una revisión de la literatura que dice que difieren en la aproximación, el objetivo, la complejidad y si se focalizan en la enfermedad o el medicamento para la misma. Otro artículo propone alternativas metodológicas cuantitativas para conocer las preferencias de los decisores y expone que no hay consenso acerca de la estructura del modelo, la selección de criterios y su peso. Sin embargo, mi experiencia en investigar sobre el análisis de decisión multicriterio en España me dice que no es tan así. Después de haber tenido la oportunidad de poder compartir sesiones de formación y discusión sobre metodología y criterios del análisis de decisión multicriterio, creo que no hay mucha variabilidad entre decisores centrales y de Comunidades Autónomas acerca de los criterios e incluso en la importancia que se les da a estos. En España, ponemos énfasis en la eficacia, la gravedad de la enfermedad, la tolerabilidad, la necesidad no cubierta y el coste del tratamiento comparado con las alternativas; en fin, lo que el sentido común dicta en el estado actual de conocimiento.

Y no solo lo dicta el sentido común; lo dicta el artículo 92 del Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, sobre los criterios de financiación de un medicamento en España, que son:

a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados.

b) Necesidades específicas de ciertos colectivos.

c) Valor terapéutico y social del medicamento y

beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.

e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

f) Grado de innovación del medicamento.

Entonces, si la evaluación de medicamentos en España se basa en un multicriterio según la ley, ¿por qué no trabajamos en la metodología y la hacemos transparente cuando evaluamos un nuevo medicamento huérfano?

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) realiza los informes de posicionamiento terapéutico (IPT) para informar del posicionamiento terapéutico a nivel nacional de un nuevo fármaco y dar soporte a las decisiones de precio y financiación desde 2003. Los informes utilizan principalmente los criterios de eficacia comparativa, seguridad comparativa, y criterios de utilización y seguimiento del medicamento. El proceso inicialmente no es transparente, excepto a las partes interesadas y otras consultadas. En ese sentido, la participación es multidisciplinar. Luego se remite el IPT a la Dirección General de Farmacia y se asigna a un evaluador que hace una evaluación del nuevo medicamento huérfano.

Honestamente, desconozco si se usan los criterios de la ley a la hora de hacer un informe sobre la financiación o no de un nuevo medicamento huérfano. El análisis de decisión multicriterio exige valoraciones de diferentes decisores implicados en la toma de decisiones de manera explícita. Finalmente, en la Comisión multidisciplinar e Interministerial de precios, se decide la financiación o no del medicamento. Ahí, los académicos y profesionales no implicados directamente en el proceso conocemos la decisión, pero no cómo se ha desarollado el proceso.

Una de las aplicaciones del análisis de decisión multicriterio en enfermedades raras basada en la evidencia que he tenido la oportunidad de vivir en la vida real, está descrita en uno de los artículos que se revisan en detalle en este número: la experiencia en la comisión de evaluación de medicamentos del CatSalut. Después de varias sesiones de formación, presentaciones y discusiones, la conclusión fue ya lo hacemos, pero no de una manera sistemática, estandarizada y transparente. Otra conclusión fue que ese tipo de análisis era especialmente adecuado para evaluar los medicamentos huérfanos. Después de la evaluación, la toma de decisiones intenta ser consecuente, aunque reconoce que otros criterios pueden influirla. Recuerdo que no les gustó nada las valoraciones finales de la importancia como indicador final, sin embargo, resultaron muy útiles para discutir entre los evaluadores sobre la evidencia las puntuaciones otorgadas a cada uno de los criterios, que es para lo que están en el análisis de decisión multicriterio. Después de esta gran experiencia regional desarrollamos una escala específica de análisis de decisión multicriterio para medicamentos huérfanos en España, publicada recientemente en el *Expert Opinion on Orphan Drugs* y que actualmente se sigue perfeccionando con el grupo ORPHAR de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, coordinado por el Dr. Poveda y del que también se habla en este número. Esperemos que la evaluación sistemática de medicamentos huérfanos de manera estandarizada y transparente pueda ayudar a una mejor toma de decisiones en la financiación pública de los mismos.

Finalmente me gustaría mencionar a Antoni Gilabert, del que aprendí mucho sobre el arte de la toma de decisiones y, especialmente, a sentir la toma de decisiones, cito literalmente: "Tomar decisiones sobre incorporación de nuevos tratamientos, y especialmente en enfermedades raras, no es fácil, ya que no siempre se dispone de toda la información y evidencia necesaria para tomarlas

con toda la certidumbre que querríamos. Cuanto mayor es la incertidumbre, más difícil es enfrentarse a la situación y tomar una decisión acertada. Ante este tipo de problemas hay dos tipos de abordaje posibles: uno que a todas luces debería evitarse y otro que sería el más adecuado".

Lo primero a evitar es la concentración de las decisiones en un entorno de poca transparencia, dejando altos grados de libertad a los decisores, ya sean gestores macro, meso o micro. Esta primera opción, que así escrita seguramente puede escandalizar a muchos, no es difícil de encontrar alrededor de modelos regulados con normas jurídicas que, o bien no se desarrollan adecuadamente, o bien no se cumplen estrictamente, lo que supone una toma de decisiones con cierta variabilidad en el mejor de los casos o con ciertos grados de arbitrariedad en el peor de ellos.

El segundo abordaje consiste en dotarse de una metodología de evaluación que, de forma estandarizada, nos asegure una validez interna y externa a la hora de tomar decisiones. Ahí es donde el análisis de decisión multicriterio puede ayudar a los decisores a tomar decisiones lo más acertadas posibles y que a la vez sean lo más equitativas también, entendida esta equidad como que el resultado final al que se llegue sea consistente con otras evaluaciones de otros medicamentos realizadas por separado o en periodos de tiempo distinto.

Es lógico pensar que esto se puede resolver simplemente con la evaluación tradicional de eficacia, seguridad y costes, lo cual también es acertado. Sin embargo, en la evaluación tradicional muchos de los criterios que se utilizan en el MCDA se encuentran implícitos, pero no se utilizan explícitamente y siempre de la misma forma. Cuando se plantea este tipo de cuestiones a un grupo evaluador, la respuesta más común es que "claro que se han tenido en cuenta conceptos como la gravedad o la necesidad no cubierta" por ejemplo, aunque no existan unos criterios explícitos. La definición de estos criterios y su inclusión en la evaluación de forma estandarizada es una oportunidad de mejora para poder tomar decisiones con la seguridad de que todos los aspectos relevantes se han tenido en cuenta de la misma manera en cada evaluación.

Toda una lección de sentido común, ¿no?

En este número de Newsrare está contenido el punto de encuentro multidisciplinar y multicriterio del interesante debate sobre la evaluación del análisis de decisión multicriterio y la toma de decisiones en enfermedades y medicamentos huérfanos. Felicidades por la iniciativa.

EN PROFUNDIDAD

ENFERMEDADES RARAS

NÉBOA ZOZAYA Y BLERIC ALCALÁ

El Análisis de Decisión Multi-Criterio como modelo alternativo de evaluación de medicamentos huérfanos

El proceso de precio y reembolso de los medicamentos huérfanos (MMHH) es complejo y controvertido. Por una parte, las restricciones presupuestarias exigen un uso eficiente de los recursos limitados y el establecimiento de prioridades. Por otra parte, establecer el valor real que aportan los MMHH no es fácil, dada la incertidumbre asociada a la evolución de la patología, la escasez de evidencia y de alternativas terapéuticas con las cuales comparar su beneficio clínico. Asimismo, la baja frecuencia de la enfermedad, que en muchos casos se caracteriza por ser grave, progresiva, crónica e incapacitante, con sus correspondientes consecuencias clínicas, económicas y sociales, hacen de la evaluación de los MMHH un tema espinoso que es fundamental abordar desde un punto de vista mucho más amplio que el de la evaluación económica convencional.

Esto, sumado a la heterogeneidad internacional de métodos utilizados para tomar las decisiones de autorización y fijación de precio, hacen cada vez más necesario que los decisores sanitarios cuenten con herramientas metodológicas adecuadas para guiar sus decisiones de planificación, priorización y asignación de recursos.

En las últimas décadas, las herramientas de decisión más utilizadas han sido la evaluación económica y el análisis de impacto presupuestario. Sin embargo, actualmente los decisores están contemplando cada vez más aspectos; factores clínicos y no clínicos que no son tomados en cuenta por estas herramientas, sobre todo en el ámbito de las enfermedades raras (EERR). Algunos de estos factores o criterios son la gravedad de la enfermedad, la disponibilidad o no de alternativas terapéuticas, el tamaño de la población afectada, los resultados reportados por los pacientes, la adherencia y persistencia al tratamiento, la calidad de la evidencia disponible, el grado de grado de innovación tecnológica o el valor para la salud pública[1,2].

Sin embargo, el problema radica en que, por lo general, no suele explicitarse el tipo de criterios que considera el decisor y la importancia concreta que le da a cada uno de ellos. En efecto, a menudo, existe falta de transparencia en los criterios que determinan las decisiones de financiación, ya sea de manera consciente o subconsciente, por lo que, en algunos casos y sobre todo en el de los MMHH, el proceso de decisión se ha llegado a denominar "caja negra"[3]. En este contexto, el Análisis de Decisión Multi-Criterio (MCDA o MCDA por sus siglas en inglés, (*Multi-Criteria Decision Analysis*) se presenta como una solución que puede aportar congruencia y transparencia a la hora de decidir la financiación y el acceso a fármacos nuevos.

¿Y QUÉ ES EL MCDA?

En el debate sobre cómo conjugar innovación y sostenibilidad con las necesidades de los pacientes, aparece el MCDA. Se trata de una herramienta metodológica que ayuda a segmentar un problema o situación de forma explícita en términos de elección, ordenación o clasificación de alternativas para informar y facilitar la toma de decisiones, pero que en ningún caso reemplaza la toma de decisiones per se. La decisión final dependerá siempre de muchos factores, entre los que pueden figurar cuestiones políticas y juicios de valor, además de la evidencia clínica, económica y social.

En el ámbito de las enfermedades raras, los decisores están contemplando cada vez más aspectos; factores clínicos y no clínicos que no son tomados en cuenta por las herramientas tradicionales

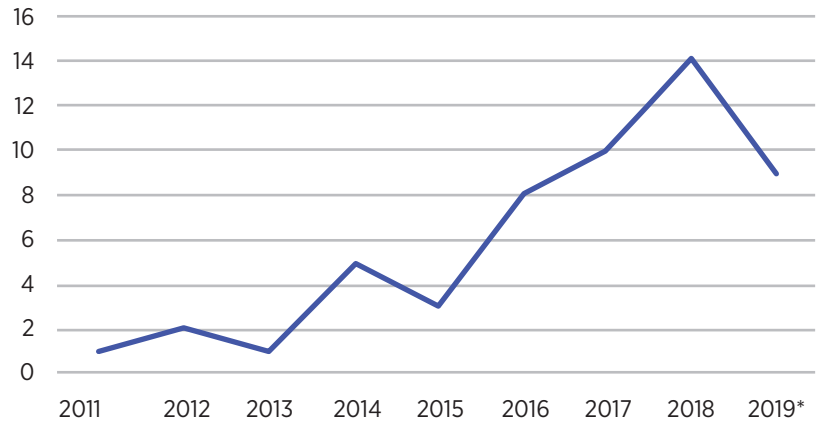
Teniendo esto en cuenta, el MCDA puede ser muy útil como instrumento de ayuda a la toma de decisiones, bajo condiciones de correcta elección y aplicación de la técnica, ya que ayuda a incrementar la consistencia y transparencia de las decisiones. En efecto, el MCDA permite sistematizar el proceso de decisión en diferentes etapas, de manera estructurada e incorporando de forma explícita las preferencias de los agentes implicados a lo largo del proceso, tanto decisores como otros agentes relevantes. Esto aporta claridad sobre los criterios que son sustanciales a la hora de evaluar un fármaco y la importancia relativa de cada uno de estos criterios, lo cual resulta de mucha utilidad en contextos de alta complejidad, cómo es la evaluación de los MMHH.

Además de las decisiones de financiación de nuevos fármacos, en el sector sanitario los resultados del MCDA pueden usarse también para evaluar el beneficio-riesgo de diferentes alternativas, analizar una decisión de cartera, establecer decisiones de priorización de uso de recursos, evaluar una tecnología sanitaria o establecer criterios de priorización en el acceso de los pacientes a las innovaciones o a las prestaciones existentes[4].

EL AUGE DEL MCDA EN EL SECTOR SANITARIO

Si bien es cierto que la aplicación del MCDA es relativamente reciente en el ámbito sanitario, este método ha sido utilizado ampliamente durante las últimas décadas tanto en el sector público como en el privado, como por ejemplo, en la toma de decisiones de transporte, energía,

FIGURA 1. NÚMERO DE ESTUDIOS DE MCDA EN MMHH PUBLICADOS



Fuente: *Elaboración propia basada en Baran-Kooiker (2018)[6] y una búsqueda realizada en Pubmed hasta diciembre 2019*

medio ambiente, defensa, inmigración o inversiones[5].

En el sector sanitario, esta herramienta ha experimentado un auge en los últimos años, que se refleja en el creciente número de estudios publicados. Entre 2016 y 2018, las publicaciones de MCDA en el ámbito de las EERR superó al número de publicaciones totales que se habían realizado hasta ese año (Figura 1).

Entre las publicaciones sobre MCDA en MMHH cabe distinguir dos grupos diferenciados de estudios: modelos teóricos, mayormente con MMHH simulados; y otros estudios de aplicación práctica en condiciones de evaluación y datos reales.

EL MCDA FRENTE A LA EVALUACIÓN ECONÓMICA

Son muchos los autores que afirman que los métodos convencionales de evaluación de tecnologías sanitarias, incluida la evaluación económica, no permiten valorar la multiplicidad de dimensiones, criterios e implicaciones de índole ética, política, social y económica asociados a los MMHH[7]. Combinar adecuadamente todas las variables pertinentes en las decisiones de financiación exige intercambiar opiniones y deliberar sobre estas dimensiones. En el caso de los MMHH, la contraposición de criterios, valores y posturas se intensifican[7].

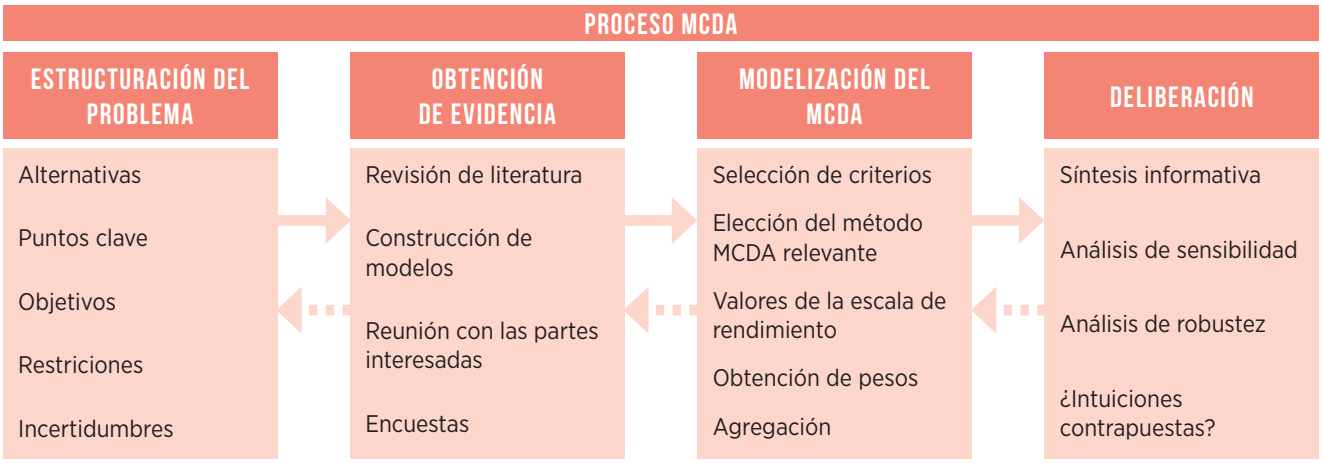
En este contexto, el MCDA es uno de los instrumentos que puede ayudar a superar algunas de estas dificultades. Una de las ventajas que trae consigo frente a otros instrumentos es que dispone de una taxonomía de herramientas metodológicas para combinar o agregar múltiples criterios en un solo parámetro de valor[7].

En este sentido, actualmente se debate sobre la utilidad del MCDA como una herramienta complementaria a la evaluación económica. En nuestra opinión, sería un error interpretar el MCDA como un sustituto del análisis coste-efectividad. Por el contrario, la combinación de múltiples criterios se plantea como un complemento de los métodos de evaluación convencionales, no como alternativa para sustituirlos.

La implementación de una metodología de MCDA reflexiva para apoyar la toma de decisiones sobre MMHH estaría alineada con una de las nueve recomendaciones establecidas por el Grupo de Trabajo Europeo para la Evaluación del Valor y los Procesos de Financiación en Enfermedades Raras (ORPH-VAL)[8], que propone que la evaluación de MMHH debería considerar todos los elementos relevantes del valor del fármaco, en un marco multidimensional apropiado, y trascendiendo los atributos incluidos en las evaluaciones convencionales.

> *Los métodos convencionales de evaluación de tecnologías sanitarias, incluida la evaluación económica, no permiten valorar la multiplicidad de dimensiones, criterios e implicaciones*

FIGURA 2. PROCESO DE REALIZACIÓN DE UN MCDA



Fuente: *Thokala y Duenas (2012)*[9]

Dadas las peculiaridades de los MMHH, a menudo no alcanzan los umbrales establecidos por el análisis coste-efectividad. Aunque la lógica del coste-efectividad es ampliamente reconocida como elemento necesario para guiar la toma de decisiones con recursos limitados, ninguna de las Agencias Evaluadoras de Tecnologías Sanitarias que tienen en cuenta la evaluación económica utilizan como única métrica la relación coste-efectividad incremental (RCEI). Para aquellos que no estén familiarizados con esta técnica, el RCEI implica priorizar las intervenciones o tecnologías sanitarias no sólo según su efectividad, sino según el balance entre sus costes y los resultados en salud comparados frente a su mejor alternativa. No obstante, el criterio de la efectividad/coste de oportunidad es una condición necesaria, pero no suficiente, para guiar la asignación de recursos sanitarios. Una de las posibles debilidades de la evaluación económica reside en que no permite tomar en cuenta las diferentes dimensiones de una tecnología sanitaria ni incorporar las preferencias individuales y sociales de los agentes que intervienen en el proceso, al igual que una de las debilidades del MCDA es que no incorpora de forma adecuada el concepto de coste de oportunidad, motivo por el que este tipo de abordajes son claramente complementarios y no excluyentes.

¿CÓMO REALIZAR UN MCDA?

Generalmente, la realización de todo MCDA comprende una serie de fases comunes, que conllevan la definición del problema, la selección y estructuración de los criterios de decisión, la recopilación de evidencia, la asignación de ponderaciones a los criterios, la evaluación de las alternativas a través de pesos o puntuaciones, el cálculo de los valores agregados, el manejo de la incertidumbre y la interpretación de resultados (Figura 2)[5].

Se han publicado algunas guías de buenas prácticas que han examinado la aplicación del MCDA[10]. Una de las más relevantes ha sido publicada por el ISPOR *Task Force Report*[11]. Entre algunos ejemplos de buenas prácticas en el desarrollo y aplicación de un MCDA, se encuentran la realización de pruebas piloto para garantizar el tipo de método de ponderación y puntuación; conocer y entender la heterogeneidad de los distintos tipos de agentes (*stakeholders*) que formarán parte del proceso de evaluación y manejar el tipo de incertidumbre asociado al modelo.

CRITERIOS A CONTEMPLAR EN UN MCDA EN EERR

La elección de los criterios es un paso fundamental en todo MCDA, que puede variar en función del objetivo planteado. Los criterios incluidos deben cumplir algunas condiciones imprescindibles: ser no redundantes, independientes, completos, operacionales

y medibles. Cada criterio debe contribuir al resultado o beneficio con independencia de los demás y evitando la duplicidad.

Cuando se analizan los criterios empleados en los MCDA publicados en la literatura, existe un alto grado de coincidencia en cuanto a los más utilizados en la evaluación de MMHH. En general, los aspectos clínicos (impacto en la salud, gravedad de la enfermedad y necesidades terapéuticas no cubiertas) son los criterios más habituales, mientras que los aspectos económicos (ya sea impacto presupuestario o coste-efectividad) juegan un papel minoritario y se incluyen en menos de la mitad de los MCDA. Es decir, no existe un consenso sobre el grado de importancia de su inclusión y a menudo se incurre en una definición equívoca de los criterios, solapamiento y doble contabilización de costes[7].

La selección de los criterios puede realizarse de dos formas alternativas. Una primera es *ad hoc* para una decisión en concreto, empleando un método *top-down* en donde los criterios se seleccionan antes de conocer las alternativas a evaluar o un método *bottom-up*, en donde las alternativas son seleccionadas primero y los criterios son dependientes de éstas. La otra forma es empleando un marco general de criterios predefinidos.

Uno de los marcos más conocidos y utilizados en el sector salud es el marco EVIDEM (*Evidence and Value: Impact on Decision-Making*), diseñado inicialmente en 2006, y que ha sido adaptado en diversas ocasiones[12]. Actualmente, el EVIDEM cuenta con una serie de criterios genéricos y universalmente operacionales (concretamente, 13 criterios cuantitativos agrupados en 5 dominios) y 7 criterios contextuales que se distribuyen en dos grupos de dominios.

El MCDA es una herramienta metodológica que ayuda a segmentar un problema o situación de forma explícita

También existen marcos específicos ad hoc creados en el ámbito de las EERR. Uno de los primeros fue el desarrollado por Hughes-Wilson en 2012, con la intención de servir como herramienta de evaluación en la fijación de precio y reembolso en el contexto de la Unión Europea. Los criterios propuestos fueron la rareza, gravedad de la enfermedad, disponibilidad de otras alternativas (necesidades terapéuticas no cubiertas), nivel de impacto sobre la condición que ofrece el nuevo tratamiento, si el medicamento puede usarse en una o más indicaciones, el nivel de investigación llevado a cabo por el laboratorio, junto con otros factores, como la complejidad de fabricación y las medidas de seguimiento requeridas por las autoridades[13].

En cuanto a la adaptación de los marcos predefinidos en España, cabe destacar la experiencia piloto de Cataluña en 2015, a través de la cual se comparó el marco EVIDEM con los criterios usados por el Comité Fármaco-terapéutico del CatSalut (PASFTAC) para evaluar los MMHH, concluyendo que eran similares y que el MCDA podía ser una herramienta útil complementaria de sus métodos de evaluación[14].

Otra adaptación, más reciente, del marco EVIDEM en el ámbito de los MMHH realizada en el contexto español es la publicada por Badía et al. en 2019, donde los autores proponen un marco reflexivo con atributos relevantes que faciliten la toma de decisionesl[15]. Para ello, un grupo multidisciplinar de expertos en EERR en España, formado por representantes del Grupo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la SEFH (OrPhar-SEFH), la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), el Instituto de Salud Carlos III, el Instituto de Investigación en Enfermedades Raras (IIER) y el Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), entre otros, adaptaron el marco EVIDEM, proponiendo modificaciones a la definición y/o escalas de los criterios (Tabla 1). La validación de los criterios se realizó en una segunda fase, pro-

TABLA 1. CRITERIOS SELECCIONADOS POR EL GRUPO DE EXPERTOS PARA EVALUAR LOS MMHH

CRITERIOS RELACIONADOS CON LA EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS ENCONTRADOS EN LA LITERATURA (CRITERIOS PROPUESTOS)	
CRITERIOS RELACIONADOS CON LA ENFERMEDAD	
Gravedad de la enfermedad*	✔
Rareza o tamaño de la población afectada*	✘
Necesidades no cubiertas*	✔
CRITERIOS RELACIONADOS CON EL TRATAMIENTO	
Eficacia/efectividad*	✔
Seguridad/tolerabilidad*	✔
Resultados percibidos por los pacientes (PROs)*	✔
Tipo de beneficio preventivo*	✘
Tipo de beneficio terapéutico*	✔
Innovación del tratamiento	✘
Indicación única en su género	✘
Coste del tratamiento*	✔
Otros costes sanitarios*	✔
Costes no sanitarios/costes indirectos*	✔
Coste efectividad	✘
Complejidad de la fabricación	✘
Calidad de la evidencia*	✔
Consenso de expertos/guías de práctica clínica*	✔
Medidas de seguimiento	✘
CRITERIOS DE CONTEXTO	
Mandato y alcance del sistema de salud*	✔
Acceso y prioridades de la población*	✔
Objetivo común e intereses específicos*	✔
Impacto medioambiental*	✘
Coste de oportunidad y asequibilidad*	✔
Capacidad del sistema y uso apropiado de la intervención*	✔

CRITERIOS SELECCIONADOS EN EL TALLER 1
CRITERIOS RELACIONADOS CON LA ENFERMEDAD
Gravedad de la enfermedad
Necesidades no cubiertas
CRITERIOS RELACIONADOS CON EL TRATAMIENTO
Eficacia/efectividad
Seguridad/tolerabilidad
Resultados percibidos por los pacientes (PROs)
Impacto terapéutico
Coste del tratamiento
Otros costes sanitarios
Costes no sanitarios/costes indirectos
Calidad de la evidencia (+ consenso de expertos)
CRITERIOS DE CONTEXTO
Mandato y alcance del sistema de salud
Acceso y prioridades de la población
Objetivo común e intereses específicos (+ guías de práctica clínica)
Coste de oportunidad y asequibilidad
Capacidad del sistema y uso apropiado de la intervención

LEYENDA:

✘ No incluido en el marco

✔ Título/definición a modificar o adaptar e incluida en el marco

✔ Incluido en el marco

* Criterio del marco EVIDEM

Fuente: *Badía et al. (2019)*[15]

bando posteriormente el marco en dos medicamentos huérfanos concretos.

TÉCNICAS DE PONDERACIÓN, PUNTUACIÓN, MODELIZACIÓN Y MANEJO DE LA INCERTIDUMBRE EN EL MCDA

En la fase de modelización, la evidencia recogida es objeto de cuantificación por parte de los evaluadores para identificar la mejor alternativa, incorporando ponderaciones y puntuaciones explícitas.

El objetivo de la ponderación de las alternativas es capturar las preferencias y prioridades de los agentes implicados sobre la importancia que tiene para ellos cada uno de los criterios cuantitativos, es decir, cuanto de importante es el criterio "x" frente al "z". Estas ponderaciones serán probablemente distintas para cada grupo de actores. La selección del método de ponderación dependerá de las características del problema de decisión.

Por su parte, el objetivo de la puntuación es valorar de mane-

ra cuantitativa las intervenciones evaluadas según los diferentes criterios que se han considerado previamente relevantes (en la fase de ponderación). La selección del método de puntuación debe hacerse teniendo en cuenta la carga cognitiva de los actores, el nivel de precisión requerido, los fundamentos teóricos y la heterogeneidad de los agentes.

Los métodos de ponderación más utilizados en los MCDA de MMHH son el método jerárquico (escala 1 a 5) y el método directo (reparto de 100 puntos). Sin embargo, algunos estudios han utilizado métodos de elección discreta. Un ejemplo de ello es el estudio resultante de un proyecto europeo (López-Bastida et. al 2019)[16], que llevó a cabo un piloto evaluando la viabilidad de utilizar el método de elección discreta para investigar las preferencias individuales desde la perspectiva del pagador en relación a la financiación de MMHH. El estudio, aplicado en Inglaterra, Francia, Alemania, Italia y España, reveló una preferencia relativa por algunos atributos sobre otros: el coste del tratamiento, la mejora de la salud, la relación calidad-precio (*value for money*) y las alternativas disponibles recibieron la mayor importancia. La gravedad de la enfermedad, la población a la cual va dirigida la terapia, los tiempos de espera y los efectos secundarios también son valores sociales importantes que no deben ignorarse.

EXISTEN DOS GRANDES GRUPOS DE MÉTODOS DE PONDERACIÓN Y PUNTUACIÓN:

- Los métodos de composición, que incluyen los métodos directos, métodos jerárquicos y métodos de concordancia;
- Los métodos de descomposición, que incluyen los modelos de elección discreta.

FIGURA 3.
¿CÓMO ELEGIR EL MCDA MÁS ADECUADO?

Consideraciones para elegir la técnica más adecuada

- ✔ Transparencia
- ✔ Consistencia y lógica interna
- ✔ Requerimientos de los datos consistentes con el objetivo
- ✔ Disponibilidad de software
- ✔ Carga cognitiva de los participantes
- ✔ Personal capacitado para el análisis
- ✔ Capacidad de reproducibilidad
- ✔ Falidad de uso
- ✔ Tiempos realistas

Fuente: *Elaboración propia*

La forma en la que se construyen los modelos de agregación de preferencias también es un elemento que diferencia a los distintos MCDA. La valoración puede hacerse de distintas maneras: directamente mediante un valor cuantitativo; comparando alternativas; o comparando escenarios que incluyan distintas combinaciones de criterios y valoraciones. Así, podemos distinguir entre modelos de medida del valor, modelos *outranking* y modelos por objetivos o niveles de referencia[9].

Como en todos los ejercicios de modelización, el resultado depende de las asunciones realizadas y de las decisiones tomadas a lo largo de la construcción del modelo, no solo de los inputs y de la propia estructura del mismo.

Un elemento a tener muy en cuenta es la incertidumbre estructural asociada al diseño del modelo construido, sin olvidar que existen otros tipos de incertidumbre, como la estocástica o la relacionada con la evidencia clínica. Parte de esta incertidum-

bre se debe manejar a través del análisis de sensibilidad, que proporciona una medida de validez de los resultados.

LOS STAKEHOLDERS

Uno de los puntos más relevantes del MCDA es que la herramienta en sí misma se fundamenta en un proceso deliberativo, explícito y de ordenación de preferencias de los agentes implicados en el proceso de toma de decisiones. La composición y el perfil de cada uno de los miembros del comité repercutirá por tanto en los resultados del MCDA. De ahí la importancia del proceso de selección de los evaluadores, ya que determinará la validez interna y externa de los resultados, debiendo detallarse cómo y por qué se han elegido y explicitar posibles conflictos de interés. La multidisciplinariedad es un elemento fundamental para dar voz a todas las partes involucradas en la decisión o afectadas por la misma y que enriquecerá el intercambio de valoraciones individuales y el análisis en su conjunto.

Según una revisión de algunos MCDA publicados en MMHH, los comités multidisciplinares estaban generalmente formados por entre 8 y 28 miembros. Los actores más comúnmente representados fueron los clínicos, presentes en todos los comités, seguidos de los pacientes o representantes de asociaciones de pacientes (en el 90% de los comités) y decisores/pagadores (60%). El resto de agentes fueron menos frecuentes (economistas de la salud, farmacéuticos, representantes de la industria farmacéutica, enfermería, etc), siendo la composición de los comités sustancialmente variable entre los distintos estudios[17].

Las experiencias de aplicación real a nivel de organismos evaluadores y pagadores todavía son escasas, aunque ya se han producido algunos avances a nivel tanto nacional como internacional

Como era de esperar, se observan diferencias entre las preferencias y prioridades de los distintos actores. En general, los pacientes reparten sus ponderaciones de forma más igualitaria, dando más peso que el resto a la afectación de la vida cotidiana. Por su parte, los clínicos dan más peso a la gravedad de la patología y a la efectividad del tratamiento, mientras que los pagadores ponderan en mayor medida los costes y la falta de alternativas terapéuticas.

APLICABILIDAD DEL MCDA EN LA EVALUACIÓN DE MMHH

El creciente número de estudios publicados recientemente revela un mayor interés por utilizar el MCDA en EERR. Sin embargo, la mayoría son aplicaciones teóricas o ejercicios aislados de evaluación de fármacos concretos, impulsados por la industria farmacéutica, por ejemplo en hipertensión arterial pulmonar[18], carcinoma de tiroides diferenciado refractario al yodo radioactivo[19], tumores neuroendocrinos gastroenteropancreático[20], linfoma no-Hodgkin[21], síndrome de Turner[22] o inmunodeficiencia[23].

Las experiencias de aplicación real a nivel de organismos evaluadores y pagadores todavía son escasas, aunque ya se han producido algunos avances a nivel tanto nacional como internacional.

En el contexto nacional, podemos resaltar algunos pilotos desarrollados a nivel regional. Si bien no todos se refieren específicamente al ámbito de los MMHH, sirven de inicio y exploración para poder establecer consensos sobre el mejor uso y aplicabilidad de esta herramienta. Como ya hemos mencionado, Cataluña fue pionera en este sentido, poniendo en marcha un piloto en el PASFTAC para testar cómo de alejado era su proceso del que se derivaría de un MCDA más formal[14].

También se han realizado otros ejercicios conceptuales, contando con decisores y representantes de organismos relevantes, para desarrollar un marco específico de evaluación de MMHH a nivel nacional[15], o para conocer

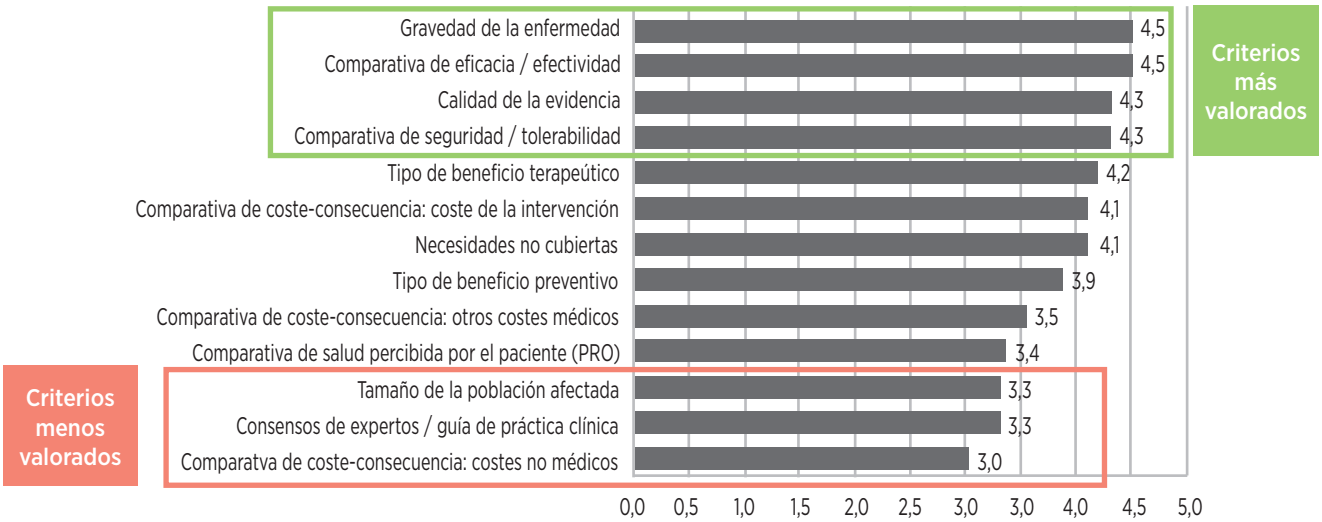
las preferencias de los decisores en cuanto a los criterios de evaluación de los fármacos. Por ejemplo, se llevó a cabo un proyecto para analizar las preferencias de un grupo de evaluadores de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, que sirvió para poner de manifiesto que algunos de los criterios del marco EVIDEM no se contemplan explícitamente en los Informes de Posicionamiento Terapéutico, como es el caso de la gravedad de la enfermedad, la calidad de la evidencia y las necesidades no cubiertas[24]. Otro trabajo analizó las preferencias de evaluadores de las comisiones regionales de Andalucía, País Vasco y Cataluña respecto a los distintos criterios, siendo los más valorados la gravedad de la enfermedad, la eficacia y seguridad comparada, la calidad de la evidencia y el tipo de beneficio terapéutico[25].

A conclusiones similares llegó un trabajo publicado más recientemente, realizado a partir de un total de 98 evaluadores y decisores (87% farmacia hospitalaria, 10% clínicos, 1% pacientes y 1% economistas de la salud), según los cuales los criterios más importantes son la gravedad, la eficacia y la calidad de la evidencia, y los menos relevantes los costes no sanitarios, el alineamiento con las guías de práctica clínica y el tamaño de la población afectada (Figura 4)[26].

A nivel de microgestión, algunos hospitales, como el Virgen de la Macarena de Sevilla, han utilizado el MCDA para evaluar nuevos medicamentos en su comisión farmacoterapéutica, demostrando que la herramienta era útil



FIGURA 4. PONDERACIÓN DE LOS CRITERIOS CUANTITATIVOS DEL MARCO EVIDEM POR 98 EVALUADORES Y DECISORES A NIVEL NACIONAL



Fuente: *Badía et al. (2018)*[26]

TABLA 2. EJEMPLOS EN LA PRÁCTICA REAL DE UTILIZACIÓN DEL MCDA PARA APOYAR LA TOMA DE DECISIONES

PAÍS	EJEMPLOS DE UTILIZACIÓN
Inglaterra/ Reino Unido	Medicamentos huérfanos, NICE Respiratorio, mental, salud infantil, cardiovascular e intervenciones oncológicas, NHS/ Primare Care Trusts Principales gastos de capital, NHS
EE.UU.	Decisiones de diagnóstico y tratamiento Diseño de ensayos clínicos
Canadá	Establecimiento de prioridades sanitarias Presupuestos Intervenciones para dolor crónico no oncológicos
Alemania	Incorporación de la participación de los pacientes en los enfoques cuantitativos del MCDA, IQWIG
Suecia	Cobertura de medicamentos huérfanos, TVL Biológicos de alto coste, TVL
Dinamarca	Cobertura de medicamentos huérfanos
Finlandia	Investigación y prevención de la obesidad
Holanda	Cobertura de medicamentos huérfanos Establecimiento de prioridades en la atención sanitaria pública
Italia	Marco EVIDEM utilizado con dispositivos médicos, evaluaciones de diagnóstico y productos farmacéuticos
Francia	Screenings
Noruega	Establecimiento de prioridades sanitarias
Hungría	Tecnologías médicas hospitalarias, OEP
Escocia	Cobertura de medicamentos huérfanos, NHS
Nueva Zelanda	Enfoque algorítmico utilizando el software 1000Minds para analizar la cirugía de revascularización miocárdica, MoH
Sudáfrica	Plan de salud privado utilizado para citología de base líquida para detección de cáncer cervical
Ghana	Establecimiento de prioridades sanitarias
Tailandia	Intervenciones sanitarias en el paquete de beneficios de cobertura universal de salud, NHS
Israel	Nuevas tecnologías sanitarias, Health Basket Committee

Fuente: *Drake et. al (2017)*[30]

para detallar los criterios considerados y entender sus procesos de evaluación en la incorporación de nuevos fármacos[27].

Cabe también señalar el creciente interés que han demostrado algunas agencias regionales de evaluación de tecnologías sanitarias en el desarrollo metodológico del MCDA. Este es el caso de la agencia de Andalucía, que desarrolló una guía para la elaboración de recomendaciones basadas en MCDA y de la agencia del País Vasco, que desarrolló un marco contextual multi-criterio recopilado en 26 criterios cualitativos de dominios éticos, organizativos, legales, sociales y medioambientales, entre otros[28,29].

A nivel internacional, también se observa un uso creciente del MCDA en la práctica real, con múltiples ejemplos de utilización en distintos países, sobre todo en la priorización de intervenciones de alto impacto y MMHH financiados de manera pública (Tabla 2)[30].

Otros ejemplos los encontramos en países como Bélgica, en donde se propuso un marco de referencia para mejorar la rendición

VENTAJAS

- Visión holística: mayor rango de criterios considerados, incluyendo los de índole ética
- Mayor transparencia y rendición de cuentas
- Divide un problema complejo en piezas manejables
- Síntesis de información e identificación de incertidumbres
- Entendimiento exhaustivo de la situación
- Debate multidisciplinar estructurado: clarifica los puntos de acuerdo y desacuerdo
- Democratiza la planificación: variedad de agentes

LIMITACIONES

- Tiempo y recursos de implementación
- Riesgo de doble contabilización
- Interpretabilidad y subjetividad
- Generalización de los resultados
- Dificultad de considerar el coste de oportunidad
- Dificultad para encontrar un comparador adecuado
- Exceso de complejidad en ciertos casos
- Manejo de la incertidumbre
- Menor grado de discrecionalidad
- Arbitrariedad en el proceso de valoración
- Posibles conflictos de interés

de cuentas en el marco de reembolso de prestaciones públicas sanitarias, Colombia, donde la Comisión de Regulación en Salud utilizó el marco EVIDEM para actualizar las prestaciones del Plan Obligatorio de Salud[4] o Lombardía (en Italia), que ha utilizado un enfoque MCDA reflexivo combinado con el modelo central de la Red Europea para la Evaluación de Tecnologías Sanitarias para evaluar y tomar decisiones de cobertura y reembolso de medicamentos de alto impacto desde 2012[31].

LAS DOS CARAS DEL MCDA

El MCDA cuenta con una serie de ventajas, entre las que destaca el hecho de que permite analizar las intervenciones desde una visión holística, considerando explícitamente atributos de valor que pueden ser relevantes para la sociedad, que van más allá de los tradicionales de eficacia, seguridad y precio. Además, entre los atributos a considerar se pueden incluir elementos cualitativos y contextuales.

Al ser el MCDA una herramienta que ayuda a formalizar el proceso de decisión y armoniza el trabajo conjunto de todos los agentes que intervienen durante el mismo, permite dotar de mayor transparencia y rendición de cuentas a la toma de decisiones, puntos muy necesarios en contextos opacos y complejos como la evaluación de medicamentos huérfanos. Además, permite el debate reflexivo, argumentado y multidisciplinar, ayudando a poner en común y entender las distintas perspectivas, incluyendo la del paciente.

Sin embargo, el MCDA también adolece de ciertas limitaciones. Entre ellas, cabe citar el riesgo de doble contabilización de algunos criterios, la omisión de otros aspectos relevantes, como el coste de oportunidad, la subjetividad inherente al grupo que realiza la evaluación, el potencial uso sesgado de la herramienta, la falta de comparabilidad entre distintos ejercicios o la difícil generalización de los resultados[4]. En el caso de las enfermedades raras, otro punto débil del MCDA es que en algunas ocasiones puede ser difícil la elección de un comparador adecuado, dado que se trata de enfermedades para la que no existen alternativas terapéuticas, lo que hace que el resultado no esté acorde a la estrategia de posicionamiento del fármaco.

EN BUSCA DEL VALOR DEL FÁRMACO HUÉRFANO

En conclusión, el MCDA es una herramienta metodológica de creciente uso para evaluar los MMHH, ya que permite capturar elementos de valor adicionales al análisis coste-efectividad estándar, desde una visión más amplia y holística que puede respaldar diferentes tipos de decisiones en el ámbito sanitario. Aún así, hace falta mayor consenso y homogenización en su aplicación práctica.

En todo caso, no debe olvidarse que el MCDA no puede sustituir a la toma de decisiones en sí misma, ni ser la única herramienta empleada en el proceso de evaluación, sino que debería utilizarse como un instrumento más de apoyo a la toma de decisiones.



1. Golan O, Hansen P, Kaplan G, Tal O. Health technology prioritization: Which criteria for prioritizing new technologies and what are their relative weights? Health Policy. 2011;102(2-3):126-35, doi: 10.1016/j.healthpol.2010.10.012.
2. Baltussen R, Niessen L. Priority setting of health interventions: the need for multi-criteria decision analysis. Cost effectiveness and resource allocation. 2006;4(1):14.
3. Picavet E, Morel T, Cassiman D, Simoens S. Shining a light in the black box of orphan drug pricing. Orphanet journal of rare diseases. 2014;9(1):62.
4. Zozaya González, N, Oliva Moreno, J, Hidalgo Vega, A, Alcalá Revilla, B, García Ruíz, A, García-Agua Soler, N, et al. El análisis de decisión multi-criterio en el ámbito sanitario. Fundación Weber; 2018.
5. Thokala P, Devlin N, Marsh K, Baltussen R, Boysen M, Kalo Z, et al. Multiple Criteria Decision Analysis for Health Care Decision Making—An Introduction: Report 1 of the ISPOR MCDA Emerging Good Practices Task Force. Value in Health. 2016;19(1):1-13, doi: 10.1016/j.jval.2015.12.003.
6. Baran-Kooiker A, Czech M, Kooiker C. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) Models in Health Technology Assessment of Orphan Drugs—a Systematic Literature Review. Next Steps in Methodology Development? Front Public Health. 2018;6, doi: 10.3389/fpubh.2018.00287.
7. Campillo-Artero, Carlos. Aplicación del análisis de decisión multi-criterio a los medicamentos huérfanos. Capítulo 8 en el libro: El análisis de decisión multi-criterio en el ámbito sanitario. Madrid: Fundación Weber; 2018.
8. Annemans L, Aymé S, Le Cam Y, Facey K, Gunther P, Nicod E, et al. Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL). Orphanet J Rare Dis. 2017;12(1):50, doi: 10.1186/s13023-017-0601-9.
9. Thokala P, Duenas A. Multiple Criteria Decision Analysis for Health Technology Assessment. Value in Health. 2012;15(8):1172-81, doi: 10.1016/j.jval.2012.06.015.
10. Trapero-Bertran, M. Revisión de guías metodológicas y de buenas prácticas en MCDA. Capítulo 6 en el libro: El Análisis de Decisión Multi-Criterio en el ámbito sanitario. Fundación Weber; s. f.
11. Marsh K, IJzerman M, Thokala P, Baltussen R, Boysen M, Kaló Z, et al. Multiple Criteria Decision Analysis for Health Care Decision Making—Emerging Good Practices: Report 2 of the ISPOR MCDA Emerging Good Practices Task Force. Value in Health. 2016;19(2):125-37, doi: 10.1016/j.jval.2015.12.016.
12. EVIDEM Collaboration. EVIDEM Framework 10 th edition- Overview. [accedido 4 enero 2018]. Disponible en: https://www.evidem.org/evidem-framework/.
13. Hughes-Wilson W, Palma A, Schuurman A, Simoens S. Paying for the Orphan Drug System: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments? Orphanet journal of rare diseases. 2012;7(1):74.
14. Gilabert-Perramon A, Torrent-Farnell J, Catalan A, Prat A, Fontanet M, Puig-Peiró R, et al. Drug evaluation and decision making in Catalonia: development and validation of a methodological framework based on multi-criteria decision analysis (MCDA) for orphan drugs. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2017:1-10, doi: 10.1017/S0266462317000149.
15. Badia X, Chugani D, Abad MR, Arias P, Guillén-Navarro E, Jarque I, et al. Development and validation of an MCDA framework for evaluation and decision-making of orphan drugs in Spain. Expert Opinion on Orphan Drugs. 2019;7(7-8):363-72, doi: 10.1080/21678707.2019.1652163.
16. López-Bastida J, Ramos-Goñi JM, Aranda-Reneo I, Trapero-Bertran M, Kanavos P, Rodriguez Martin B. Using a stated preference discrete choice experiment to assess societal value from the perspective of decision-makers in Europe. Does it work for rare diseases? Health Policy. 2019;123(2):152-8, doi: 10.1016/j.healthpol.2018.11.015.

17. Zozaya, N, Galindo, J, Alcalá, B, Hidalgo-Vega, A. El análisis de decisión multi-criterio como herramienta para la toma de decisiones en medicamentos huérfanos: una revisión de la literatura. IX Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, Sevilla; 2019.
18. Jimenez A, Ais A, Acuña L, González M, Paco N, Gil A. Determining The Value of Selexipag For The Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension (PAH) In Spain By Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA). Value in Health. 2017;20(9):A570, doi: 10.1016/j.jval.2017.08.971.
19. Wagner M, Khoury H, Bennetts L, Berto P, Ehreth J, Badia X, et al. Appraising the holistic value of Lenvatinib for radio-iodine refractory differentiated thyroid cancer: A multi-country study applying pragmatic MCDA. BMC Cancer. 2017;17, doi: 10.1186/s12885-017-3258-9.
20. Wagner M, Samaha D, Cuervo J, Patel H, Martinez M, O'Neil WM, et al. Applying Reflective Multicriteria Decision Analysis (MCDA) to Patient–Clinician Shared Decision-Making on the Management of Gastroenteropancreatic Neuroendocrine Tumors (GEP-NET) in the Spanish Context. Adv Ther. 2018;35(8):1215-31, doi: 10.1007/s12325-018-0745-6.
21. Garau M, Devlin NJ. Using MCDA as a Decision Aid in Health Technology Appraisal for Coverage Decisions: Opportunities, Challenges and Unresolved Questions. Multi-Criteria Decision Analysis to Support Healthcare Decisions. Springer, Cham; 2017. p. 277-98.
22. Goetghebeur MM, Wagner M, Khoury H, Rindress D, Grégoire J-P, Deal C. Combining multicriteria decision analysis, ethics and health technology assessment: applying the EVIDEM decisionmaking framework to growth hormone for Turner syndrome patients. Cost Effectiveness and Resource Allocation. 2010;8(1):4.
23. Sussex J, Rollet P, Garau M, Schmitt C, Kent A, Hutchings A. Multi-criteria decision analysis to value orphan medicines. 2013.
24. Hernández C, Blázquez A, Gil A, Badia X. Relative Value of Evidem Mcda Framework for Reflective Drug Evaluation Among Therapeutic Positioning Report Evaluators From The Spanish Agency of Medicines. Value in Health. 2017;20(9):A699, doi: 10.1016/j.jval.2017.08.1806.
25. Gilabert-Perramon A, Lens C, Betolaza JI, March JC, Espín J, Merino-Montero S, et al. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA): Common Tools for Different Needs Supporting Healthcare Decision Making in Spain. Value in Health. 2016;19(7):A489-90, doi: 10.1016/j.jval.2016.09.827.
26. Badia X, Gil A, Shepherd J. PHP169 - MCDA EVIDEM Reference Value Framework for drug evaluation and decision making in Spain. Value in Health. 2018;21:S179, doi: 10.1016/j.jval.2018.09.1063.
27. Roldán ÚB, Badia X, Marcos-Rodríguez JA, de la Cruz-Merino L, Gómez-González J, Melcón-de Dios A, et al. Multi-criteria decision analysis as a decision-support tool for drug evaluation: a pilot study in a pharmacy and therapeutics committee setting. Int J Technol Assess Health Care. 2018;34(5):519-26, doi: 10.1017/S0266462318000569.
28. Agencia de Evaluación de Tecnologías, Sanitarias de Andalucía. Grupo de trabajo de la guía para la elaboración de recomendaciones y criterios de uso adecuado. Guía para la elaboración de recomendaciones y criterios de uso adecuado de tecnologías sanitarias. 2017.
29. Bayón Yusta, JC, Gutiérrez Iglesias, A, Galnares-Cordero, L, Gutiérrez-Ibarluzea, I. Síntesis de información relevante de apoyo a los MCDA (análisis de decisión multicriterio) para la toma de decisiones: proyecto metodológico. Informes de Evaluación de Tecnologías Sanitarias: OSTEBA.; 2019.
30. Drake JI, de Hart JCT, Monleón C, Toro W, Valentim J. Utilization of multiple-criteria decision analysis (MCDA) to support healthcare decision-making FIFARMA, 2016. J Mark Access Health Policy. 2017;5(1), doi: 10.1080/20016689.2017.1360545.
31. Radaelli G, Lettieri E, Masella C, Merlino L, Strada A, Tringali M. Implementation of Eunethta Core Model® in Lombardia: The Vts Framework. International Journal of Technology Assessment in Health Care; Cambridge. 2014;30(1):105-12, doi: http://dx.doi.org/10.1017/S0266462313000639.

IMPLEMENTACIÓN DE UN MCDA REFLEXIVO PARA MEDICAMENTOS HUERFANOS EN EL SENO DEL CATSALUT

ANTONI GILABERT PERRAMON

Director Área de Farmacia y del Medicamento, Consorci de Salut i Social de Catalunya. Profesor asociado de Farmacia Clínica y Farmacoterapia, Universidad de Barcelona

Guarga L, Badia X, Obach M, Fontanet M, Prat A, Vallano A, Torrent T, Pontes C. Implementing reflective multicriteria decision analysis (MCDA) to assess orphan drugs value in the Catalan Health Service (CatSalut). Orphanet Journal of Rare Diseases. 2019;14:157.

RESUMEN

El bajo nivel de evidencia disponible para los medicamentos huérfanos, junto con su elevado impacto presupuestario y su alto ratio coste-efectividad incremental, dificulta el proceso de evaluación de estos medicamentos. Ante esta situación, el Servicio Catalán de la Salud (CatSalut) se planteó incorporar el Análisis de Decisión Multi-Criterio (ACDM) en las evaluaciones de los medicamentos huérfanos.

El objetivo del estudio es establecer si la introducción de esta metodología de decisión multicriterio puede ayudar en el proceso de evaluación y toma de decisiones en el acceso de los medicamentos huérfanos.

Para ello el CatSalut, en el marco de su Programa de Armonización Farmacoterapéutica, desarrolló una estrategia de implantación basada en 3 etapas. En una primera etapa, se seleccionaron y estructuraron los criterios cualitativos y cuantitativos. En segundo lugar, se establecieron los pesos relativos de los criterios seleccionados. En tercer lugar, se escogieron 3 medicamentos huérfanos (alfa 1 antitripsina para el déficit de alfa 1 antitripsina, eliglustat para la enfermedad de Gaucher y tolvaptan para el riñón poliquístico) y se evaluaron de acuerdo con el marco definido anteriormente.

Los criterios seleccionados y priorizados con mayor peso específico para incorporar a la

evaluación fueron la severidad de la enfermedad, la necesidad no cubierta, la efectividad, la seguridad y tolerabilidad comparada, el tipo de beneficio terapéutico, el coste anual del tratamiento por paciente, los otros costes médicos, la calidad de la evidencia, los consensos de expertos y las guías de práctica clínica.

Para cada uno de los 3 medicamentos huérfanos se estableció el valor medio resultante de la evaluación multicriterio. Sin embargo, a pesar de definir un valor estimado para cada medicamento, los miembros del programa de armonización farmacoterapéutica consideraron que el MCDA contribuía a la toma de decisiones utilizando los criterios por separado, en lugar de usar el valor medio de puntuación de todos los criterios.

El estudio concluye que la metodología MCDA puede ser implementada en la evaluación de medicamentos huérfanos como un complemento para la toma de decisiones del programa de armonización y del CatSalut, y que es una ayuda para la definición de su valor clínico añadido. En definitiva, el MCDA se muestra como una herramienta que añade transparencia y estructura la discusión de los comités de evaluación de medicamentos, mejorando la predictibilidad de las decisiones y recomendaciones de acceso de los medicamentos huérfanos.

COMENTARIO

El acceso a los medicamentos huérfanos es un reto para todos los servicios de salud. La enorme incertidumbre, tanto en términos clínicos como económicos, dificulta enormemente la toma de decisiones. Establecer mecanismos de evaluación rigurosos, transparentes y predictibles que aseguren la validez interna y externa de las decisiones y recomendaciones permite acotar la incertidumbre, armonizar los criterios de uso y asegurar la equidad de acceso y de resultados.

La iniciativa del CatSalut de incorporar la metodología MCDA en su programa de armonización farmacoterapéutica es un paso más para intentar mejorar la toma de decisiones a partir de la incorporación de metodología explicita y reproducible.

La principal conclusión del estudio es que la implementación de la metodología MCDA en la evaluación de medicamentos huérfanos es un apoyo y complemento a la evaluación clásica que añade transparencia y estructura la discusión de los comités de evaluación de medicamentos, pero que no se visualiza como una herramienta para clasificar cuantitativamente el valor de los mismos.

Esta conclusión es importante, ya que de inicio uno podría querer utilizar esta metodología para cuantificar y comparar numéricamente los medicamentos evaluados. Sin embargo, los investigadores concluyen que ésta no es su utilidad, sino que la principal ventaja encontrada es que permite estructurar y poner mayor transparencia y método a la evaluación, así como añadir a la evaluación clásica (basada en la eficacia, la seguridad y el coste) otros elementos importantes para la toma de decisiones de acceso, como las necesidades no cubiertas o la rareza.

La metodología MCDA no está exenta de críticas por parte de aquellos que defienden que en la evaluación coste-efectividad todos estos criterios de una forma u otra ya se encuentran incluidos y que el MCDA lo que hace es sumar varias veces un mismo criterio o similar. De todas maneras, el CatSalut no abandona la evaluación clásica, sino que le añade las partes positivas del MCDA, tanto metodológicas como de enriquecimiento y estructuración del debate. Solamente la explicitación de los criterios y armonización de los mismos en las sucesivas evaluaciones ya es una mejora sustancial.

Por último, cabe resaltar que es una muy buena noticia que un servicio de salud de una administración pública como el CatSalut incorpore metodología explícita y transparente para su toma de decisiones. Se trata de un buen ejemplo a seguir de cara a resolver el reto del acceso a los medicamentos huérfanos con la máxima transparencia y rigor.

UNA REVISIÓN SISTEMÁTICA DE MODELOS MCDA DE EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

JAIME ESPÍN BALBINO

Profesor de la Escuela Andaluza de Salud Pública



Baran-Kooiker A, Marcin Czech M, Kooiker C. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) Models in Health Technology Assessment of Orphan Drugs—a Systematic Literature Review. Next Steps in Methodology Development?. Front Public Health. 2018; 6: 287.

RESUMEN

Contexto

El Análisis de Decisión Multi-Criterio (MCDA) es un instrumento para la toma de decisiones que toma en cuenta factores multidimensionales y que permite la comparación de tecnologías sanitarias. El enfoque utilizado en el MCDA está ganando fuerza en la Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETS) y algunos de sus elementos están empezando a ser utilizado en las ETS que se realizan en Europa. En esa misma línea, algunos expertos proponen que el enfoque utilizado en MCDA puede ser utilizado para la evaluación de los medicamentos huérfanos, ya que se incluyen criterios específicos para las enfermedades raras que no se cubren con una evaluación tradicional.

Objetivo

El objetivo principal de este artículo es mostrar cual es la situación actual y últimos avances en el uso del MCDA para la ETS en medicamentos huérfanos a través de la revisión de los modelos existentes, las características de sus diseños, así como identificar oportunidades para la mejora del modelo.

Método

Los autores realizaron una revisión de la literatura en enero de 2018 a través de las principales bases de datos (MEDLINE, EMBASE, Web of Science….) para buscar publicaciones relacionadas con el uso del MCDA para enfermedades raras. Los modelos de MCDA identificados fueron analizados a través de sus elementos, como estructura, cri-

terios, puntuación y metodología de ponderación.

Resultados

Se identificaron 211 publicaciones, de las cuales se seleccionaron 29. Nueve autores desarrollaron sus propios modelos de MCDA, 7 de los cuales estaban basados en revisiones de la literatura, con la intención de identificar los criterios de decisión más relevantes. En 13 publicaciones (8 modelos), los pesos fueron asignados a los criterios en base a los aportes de los distintos interesados (stakeholders). Los criterios más utilizados para la creación del modelo de MCDA fueron la eficacia o efectividad relativa, la necesidad de la intervención y la gravedad de la enfermedad. Algunos modelos tenían criterios que se solapaban, especialmente en las áreas de costes y efectividad.

Conclusión

Se han desarrollado una serie de modelos de MCDA para las ETS, cada uno con un enfoque y complejidad diferentes, incluyendo algunos que tenían como objetivo específico la evaluación de medicamentos huérfanos. Los modelos han evolucionado lentamente a través de los años en base a pilotos, aportes de los interesados (stakeholders), intercambio de experiencias y publicaciones científicas. Sin embargo, falta aún un consenso en la estructura del modelo, la selección de criterios y el peso de éstos. Un modelo más simple haría que aumentara su aceptación. Un debate entre los distintos interesados sobre el diseño y las estrategias de implementación de los modelos de MCDA beneficiarían también a esa aceptación.

COMENTARIO

Posiblemente exista cierto consenso entre los expertos en Evaluación de Tecnologías Sanitarias en la necesidad de incluir un conjunto de criterios adicionales a los ya conocidos de coste y efectividad en los procesos de evaluación de tecnologías sanitarias, especialmente vistas las limitaciones existentes hasta ahora. Unos de los principales "damnificados" de estas limitaciones son los procesos de evaluación de medicamentos huérfanos, debido a las características de este tipo de medicamentos (alto coste, ensayos clínicos con grandes limitaciones, mucha incertidumbre en sus resultados, etc.); es por ello que este grupo de medicamentos puede ser uno de los que pueden verse beneficiados de tener un enfoque más amplio con la asignación de criterios adicionales en los procesos de evaluación como son la equidad, necesidades no satisfechas, gravedad de la enfermedad, etc. Si bien muchos expertos pueden alegar que estos criterios ya están explícitos en muchos de los procesos de evaluación para la asignación de precio y reembolso de medicamentos, la ventaja de la utilización del



MCDA es que no solamente los criterios son explícitos, sino que también están ponderados según su importancia.

El artículo de Baran-Kooiker et al. es una buena y actualizada revisión de la literatura sobre las experiencias y modelos de MCDA en el ámbito de las enfermedades raras y medicamentos huérfanos. El artículo clarifica muy bien la problemática existente en sus procesos de evaluación, señalando las particularidades de Alemania (umbral de 50 millones de euros tras la aprobación de AMNOG), Inglaterra – NICE (con un umbral de coste-efectividad más alto para medicamentos huérfanos), Francia, etc. Como también señalan los autores, una de las principales limitaciones del estudio es haber limitado la búsqueda a medicamentos huérfanos y enfermedades raras, lo que ha podido llevar a la omisión de publicaciones que pudieran tener un contenido relevante y con valor para este tema, pero en publicaciones de ámbito general.

En el ámbito del MCDA, uno de los modelos de referencia es el marco EVIDEM que tuvo una adaptación para los medicamentos huérfanos en el año 2016, intentando captar elementos como calidad de vida, carga del cuidador, costes indirectos y productividad, etc. Este marco es uno de los que consta con más referencias en esta revisión de la literatura. En esta misma línea, los autores también señalan la existencia del *ISPOR Task Force* que realizó dos publicaciones sobre buenas prácticas en el uso del MCDA.

Los autores de la revisión también señalan las críticas existentes a los distintos modelos de MCDA, señalando algunos de sus defectos en los diseños y en la metodología de las puntuaciones. Esas críticas pueden usarse como argumento para justificar el lento avance en el uso del MCDA por parte de las Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias en la puesta en marcha de este instrumento.

El artículo también realiza un análisis exhaustivo de los principales criterios utilizados en la literatura, tales como beneficio, tamaño de la población, necesidades no satisfechas, eficacia comparada, seguridad, calidad de la evidencia, innovación, etc.

Por último, en las conclusiones, los autores señalan varias cosas importantes. En primer lugar, la evolución de los modelos de MCDA, con modelos que cubren específicamente enfermedades huérfanas, pero aún con la necesidad de tener un mayor consenso en los criterios a seleccionar y la ponderación de estos criterios. En segundo lugar, a pesar de la existencia de iniciativas como EVIDEM o el proyecto MoCA, no existe aún una implementación amplia de este instrumento en el contexto europeo. En tercer lugar, los países han sido flexibles en los procedimientos de evaluación de medicamentos huérfanos, pero el MCDA puede captar (de una manera explícita y transparente) aquellos criterios necesarios para hacer una evaluación que tenga en cuenta factores más allá del de coste-efectividad.

Sin duda alguna, la potencialidad de uso del MCDA está ahí y esta revisión de Baran-Kooiker et al. saca a la luz cuales son las principales experiencias en el ámbito de los medicamentos huérfanos. Es necesario avanzar en la posibilidad de utilizar este instrumento, que puede ayudar a tener en cuenta más criterios de los habitualmente utilizados en los procesos de evaluación de medicamentos y tecnologías sanitarias y especialmente a través de criterios públicos y transparentes.

UN EXPERIMENTO DE ELECCIÓN DISCRETA PARA EXTRAER PREFERENCIAS SOCIALES SOBRE ENFERMEDADES RARAS



JAVIER MAR MEDINA

Unidad de Gestión Sanitaria y Unidad de Investigación AP-OSIs del Hospital Alto Deba

López-Bastida J, Ramos-Goñi JM, Aranda-Reneo I, Trapero-Bertran M, Kanavos P, Rodriguez Martin B. Using a stated preference discrete choice experiment to assess societal value from the perspective of decision-makers in Europe. Does it work for rare diseases? Health Policy. 2019 Feb;123(2):152-158

RESUMEN

Contexto

La identificación de los criterios que los decisores europeos pueden o deben usar para establecer el valor social de los tratamientos para las enfermedades raras es un tema sujeto a debate. El marco estándar está basado en el coste por año de vida ajustado por calidad (AVAC) y no tiene en cuenta el pequeño tamaño del mercado potencial. Su aplicación estricta dejaría, en la práctica, fuera de la financiación a los medicamentos huérfanos. Con este trabajo, los autores tratan de explorar el uso para enfermedades raras de un experimento de elección discreta (EED) basado en las preferencias individuales de los decisores en la asignación de fondos públicos.

Métodos

A partir de una revisión preliminar de la literatura empírica sobre preferencias distributivas se seleccionaron los atributos de valor y sus niveles a utilizar en un análisis de decisión multi-criterio (MCDA). En una muestra de conveniencia de decisores participantes en un proyecto con cinco países europeos (Inglaterra, Francia, Alemania, Italia y España), se llevó a cabo un EED explorando sus preferencias en distintos escenarios de atención médica que involucraban medicamentos huérfanos. La encuesta para el EED incluyó escenarios con combinaciones de ocho atributos y se analizó estadísticamente mediante regresión logística.

Resultados

El número de participantes que completaron el cuestionario fue de 199. El modelo estadístico mostró que los decisores daban una preferencia relativa mayor a algunos atributos como el coste del tratamiento, la mejora de la salud, el coste-efectividad o la falta de alternativas de tratamiento. Sin embargo, también se demostró que la gravedad de la enfermedad, el comienzo en edad temprana, los tiempos de espera y los efectos secundarios son también valores sociales importantes que no deben ignorarse.

Conclusiones

Loa autores señalan la importancia de conocer las preferencias que pueden influir en las decisiones sobre los medicamentos huérfanos en diferentes países. Además, aportan información previa valiosa para el diseño de futuros estudios con metodología de EED en medicamentos huérfanos.

COMENTARIO

Como señalan los autores en la introducción, no hay consenso acerca del método para medir el valor de los medicamentos huérfanos. Por un lado, está la débil evidencia clínica sobre su seguridad y eficacia y el alto precio de muchos medicamentos huérfanos que condicionan una baja eficiencia. Si se aplicase estrictamente, podría conducir sistemáticamente a la denegación de cobertura y al bloqueo del acceso del paciente a tales terapias. Por otro lado, está documentado que, además del criterio del coste-efectividad, la sociedad acepta incluir otros criterios para responder a las necesidades de las personas con enfermedades graves. La aportación principal de este trabajo es dar a conocer las preferencias de una muestra importante de decisores europeos respecto a unos criterios bien conocidos obtenidos de la literatura.

Desde el punto de vista del diseño, el estudio es impecable. La elección del método del MCDA es adecuada, lo mismo que los atributos y sus niveles. El EED está muy bien descrito y el análisis estadístico se sigue con facilidad. Los resultados permiten identificar los criterios mejor valorados por los decisores, que son el coste del tratamiento, la mejora de la calidad de vida, la relación coste-efectividad y la falta de alternativas de tratamiento. A los otros cuatro criterios se les asignó una menor prioridad: la gravedad de la enfermedad, el comienzo en edad temprana, los tiempos de espera para el tratamiento y los efectos secundarios.

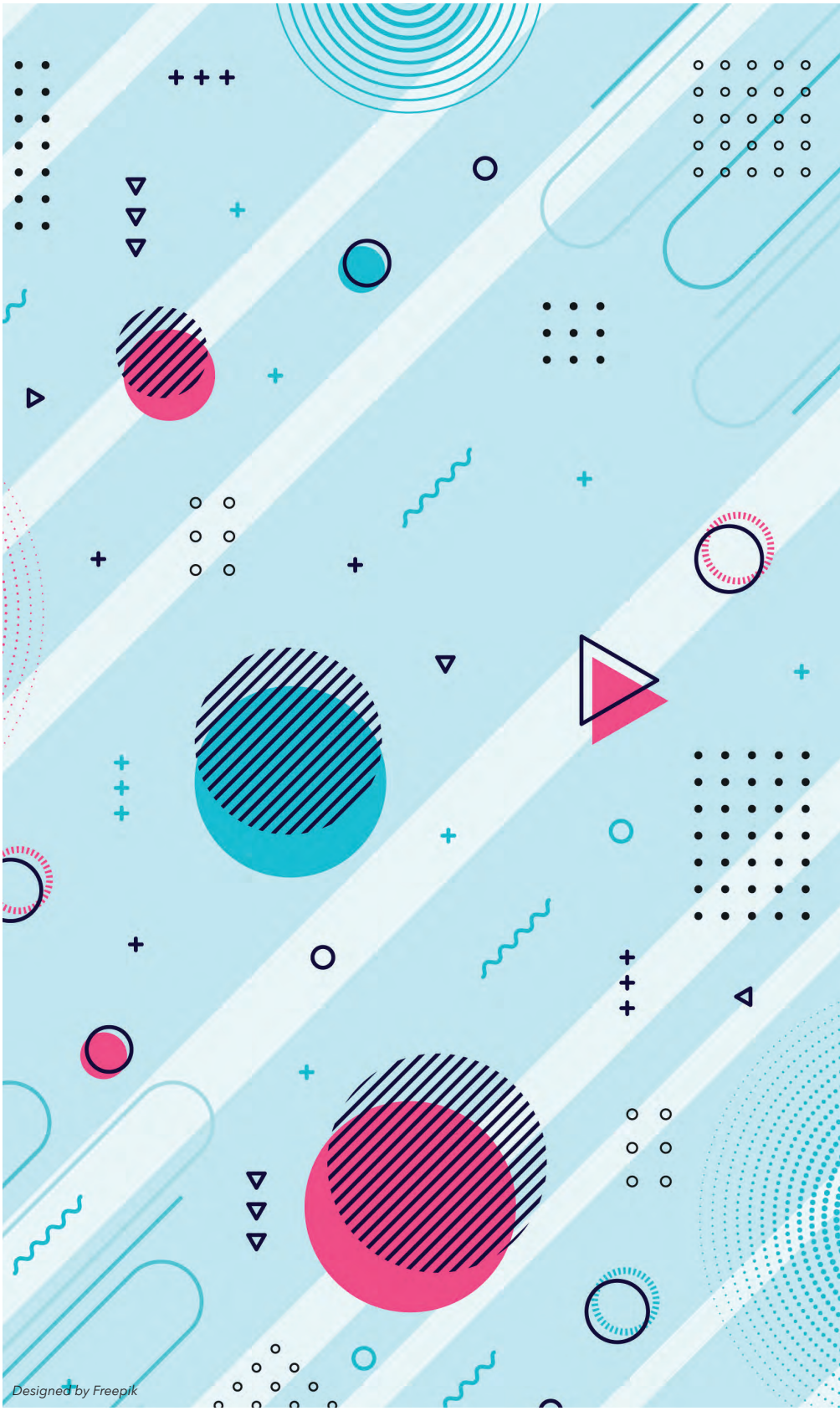
Un aspecto que los autores discuten insuficientemente es el de las diferencias entre las valoraciones de los decisores y las de la población general recogidas en el artículo de Green et al (2009)[i] . Uno esperaría encontrar discrepancias entre el criterio de los decisores, más centrado en la eficiencia de los tratamientos, y el de la población general, que daría prioridad a la necesidad social y a la reducción de desigualdades. Ambos colectivos (decisores y población) dan gran relevancia al atributo de "*Value for Money*" que podríamos traducir por coste-efectividad, ya que se refiere a cuán eficientemente se utilizan los recursos del Sistema Nacional de Salud y que se basa en la relación entre el coste del tratamiento y los beneficios para la salud. Esta especie de viaje de ida hacia el MCDA se justifica por la falta de sensibilidad hacia los medicamentos huérfanos y se convierte en un viaje de vuelta al criterio de eficiencia. Este recorrido es esperable cuando se pregunta a decisores, pero no tanto cuando los entrevistados son población sin responsabilidades de gestión. Sin embargo, no se comenta en la discusión que el coste-efectividad sigue siendo un elemento decisivo de acuerdo con la prioridad asignada a los diferentes atributos. Tampoco se comenta que los criterios que permitirían aumentar la prioridad de las enfermedades huérfanas, como la gravedad de la enfermedad y el comienzo en edad temprana son valorados como

i Green C, Gerard K. Exploring the social value of health-care interventions: a stated preference discrete choice experiment. Health Economy 2009; 18: 951–76.

determinantes secundarios de las preferencias de los decisores.

Una vez analizado el resultado del EED, parece que el problema inicial no se ha resuelto, ya que la aplicación de los criterios incluidos según la valoración de los decisores no parece que vaya a cambiar el proceso de evaluación de los medicamentos huérfanos. Mi duda es si falta algún criterio más de tipo ético, como la disminución de las desigualdades en salud, que rompa el criterio utilitarista que da prioridad a la ganancia en salud para el conjunto de la población. Los autores hacen referencia a ese punto al final de la introducción cuando señalan que, para guiar la toma de decisiones en el contexto de las enfermedades raras, se requiere un marco amplio (holístico) que tenga en cuenta cuestiones como la incertidumbre, los dilemas éticos y la dificultad para evaluar las intervenciones.

El objetivo de este estudio se cumple, ya que iba dirigido a aportar un marco amplio de valores explícitos y ponderados que se pudiese aplicar en la financiación de medicamentos huérfanos. Sin embargo, hubiese sido útil presentar también algún ejercicio de su aplicación en un caso de vida real. Esto hubiese permitido valorar las ventajas que proporciona y las dificultades que implica su uso en la práctica de un servicio de salud.





ROSABEL ARCE

Directora Ejecutiva de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra Huérfanos (AELMHU)

UNA VISIÓN DESDE LA INDUSTRIA DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Para ponernos en contexto, ¿nos puede describir muy brevemente qué es un Análisis de Decisión Multi-Criterio (MCDA)?

RA. El Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA, por sus siglas en inglés, Multi-Criteria Decision Analysis) es un amplio conjunto de técnicas que facilitan un abordaje riguroso en la toma de decisiones. Los MCDA ofrecen el potencial para superar los desafíos de las herramientas tradicionales empleadas para la toma de decisiones, especialmente en decisiones complejas con múltiples criterios a evaluar, con información cuantitativa y cualitativa, e involucrando a múltiples agentes decisores.

Se trata de una metodología avalada por ISPOR, la sociedad profesional especializada en economía de la salud e investigación de resultados para la mejora de la toma de decisiones, y es considerada por el momento como la mejor herramienta para la toma de decisiones en entornos complejos.

¿De qué manera cree que este tipo de instrumentos pueden ayudar a la toma de decisiones clínicas y de gestión?

RA. Uno de los aspectos que yo destacaría de este tipo de metodologías, es su carácter multidisciplinar. Tanto en el ámbito clínico, como en el ámbito de la gestión, la toma de decisiones en ningún caso es simplista. Siempre hay diferentes caminos y distintos agentes involucrados en cada uno de ellos, con diferentes niveles de conocimiento y preferencias, siendo en muchos casos diametralmente opuestos. Esta metodología ayuda a poner orden y método en la toma de decisiones, a estructurar el problema y a buscar soluciones para establecer planes de acción, por lo que es una herramienta muy importante a la hora del establecimiento de

procesos claros y definidos que ayuden a todos los actores implicados.

¿Cree que este tipo de análisis es más relevante en el ámbito de las EERR que para las enfermedades prevalentes? Si fuera así, ¿por qué motivo?

RA. Como he comentado antes, este tipo de análisis es de gran ayuda para la toma de decisiones en entornos complejos, y estas características las podemos encontrar en diferentes patologías. Es cierto que el ámbito de las enfermedades raras es especialmente complicado. Estamos hablando de enfermedades con una prevalencia muy baja, patologías complejas, la mayoría de origen genético y que se manifiestan a una edad muy temprana. Además, a menudo son enfermedades desconocidas, lo que supone una gran dificultad para la puesta en marcha de ensayos clínicos. A esto hay que añadir que los medicamentos dirigidos a las enfermedades raras son medicamentos únicos para los que no hay alternativa terapéutica, lo que hace especialmente vulnerables a estos pacientes, y hace necesario atender a sus características específicas, al no poderse comparar ni aplicar los mismos análisis que los aplicados al resto de medicamentos.

Como todos saben, los medicamentos pasan por un riguroso proceso regulatorio. Una vez que la EMA autoriza su comercialización, pasa a los estados miembros la responsabilidad de la fijación de condiciones de precio y financiación. Durante este proceso, los tiempos pueden dilatarse por considerar que los datos son inmaduros, el tamaño muestral de los ensayos clínicos es bajo, los precios altos, o que no se cumplen los criterios de eficiencia. En este tipo de medicamentos es necesario ir más allá, y tener en consideración las características particulares que definen a las enfermedades raras y a los medicamentos huérfanos.

¿Qué tipo de agentes considera que deben tener voz en este tipo de iniciativas? ¿Por qué motivo?

RA. Desde mi punto de vista, deben tener voz todos los profesionales que intervienen en la toma de decisión, sin olvidar nunca al paciente. Llevamos años hablando sobre la necesidad de tener al paciente en el centro de todas las discusiones, pero, a día de hoy, todavía hay pocas situaciones en las que de verdad el paciente tenga voz. En el caso de las enfermedades raras, la percepción de valor incremental puede ser sustancialmente diferente si preguntamos al pagador o a un paciente, lo mismo que el concepto de calidad de vida relacionada con la salud. Para un paciente, un cambio en la forma de administración de un medicamento que venga asociada a una mejora en la calidad de vida, como, por ejemplo, evitando que tenga que realizar visitas médicas para la administración del tratamiento, es un factor clave que sin duda debe ser considerado a la hora, en este caso, de tomar decisiones sobre la financiación de un MMHH.

¿A qué nivel cree que son más relevantes los MCDA o que pueden tener mayor recorrido?

RA. Como he comentado antes, el MCDA puede ser relevante a la hora de definir criterios, o sencilla-

mente cuando se quiera poner en común la manera de proceder en lo que respecta a los medicamentos destinados a enfermedades poco frecuentes. Es en ese debate y en esa definición de procedimientos donde, por ejemplo, puede ser útil. Las pautas a seguir en lo relativo a medicamentos huérfanos son diferentes a las del resto de medicamentos y esta diferenciación es importante para la toma de decisiones.

AELMHU está llevando a cabo un MCDA en enfermedades raras ¿Puede contarnos en más detalle el objetivo del proyecto?

RA. Las enfermedades raras y ultra-raras constituyen uno de los sectores de Salud Pública en el que se hace más necesaria la cooperación entre los diferentes agentes implicados. Llevamos tiempo viendo cómo, tanto desde el punto de vista teórico como desde la práctica real, comienza a sugerirse que, en el caso de los medicamentos huérfanos, el criterio de eficiencia no es ni debe ser el único a considerar para la decisión de financiación pública. Aparecen nuevos instrumentos de financiación que pueden ayudar a conciliar las preferencias sociales con la sostenibilidad del sistema sanitario. Para que exista un consenso en la evaluación de estos medicamentos, es importante que todas las partes implicadas pongamos algo de nuestra parte.

Será de vital importancia trabajar en modelos de financiación que se basen en el valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos y no solo en el precio, y todo ello en entornos normativos y políticos estables, ágiles, previsibles y transparentes.

Desde AELMHU venimos analizando periódicamente los tiempos de acceso de los MMHH en España, siendo estos muy dilatados. Estamos viendo que la mediana del tiempo que transcurre desde que el medicamento obtiene el código nacional de la AEMPS (este paso es casi inmediato), hasta la decisión de financiación es de 16 meses, pudiendo alcanzar un retraso de hasta 2 años. A esto tenemos que añadir el tiempo que suponen las evaluaciones en las Comunidades Autónomas. Por tanto, es evidente que hay margen para la mejora, y creemos que todas las partes involucradas tenemos que actuar de la mano, de forma unánime y firme, para asegurar que no sumamos meses de demora y angustia a los pacientes que padecen este tipo de enfermedades.

Es por esto que desde AELMHU, en un ejercicio de corresponsabilidad, decidimos poner en marcha este proyecto, para desarrollar un marco específico de evaluación multicriterio y multidecisor para trabajar en propuestas sobre el acceso y la financiación de los MMHH en España. Hemos intentado hacer partícipes de esta iniciativa a todos los agentes involucrados en el proceso de decisión para recoger sus preferencias, desde su función, en materia de financiación de MMHH.

En definitiva, se trata de conocer los factores más relevantes para la financiación de MMHH según las preferencias de los agentes decisores. Creemos que es un ejercicio sano que invita a la reflexión de todas las partes, porque pensamos que es factible llegar a un entendimiento.

Recientemente se ha publicado que nuestro Sistema Nacional de Salud es el más eficiente de Europa. En su momento, vimos como en España el acceso a los nuevos tratamientos para la Hepatitis C fue de los más altos de Europa, si no el más alto. Más recientemente también hemos observado como el Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social ha ideado un Plan Estratégico de Terapias avanzadas relativo a los medicamentos CAR-T.

Desde AELMHU, lanzamos el reto para desarrollar un plan que permita el acceso rápido y equitativo a los medicamentos huérfanos en España a través del estableciendo de procesos claros y definidos.

Es muy importante que entre todas las partes seamos capaces de evitar la demora de acceso a este tipo de tratamientos. Es una responsabilidad compartida ,y con el esfuerzo de todos, creemos que se puede conseguir.



UNA APLICACIÓN PILOTO DE MCDA A NIVEL HOSPITALARIO

JOSÉ ANTONIO MARCOS

Farmacéutico del Hospital Universitario Virgen Macarena (Sevilla)

En su opinión, ¿Cuáles son las ventajas de aplicar el análisis de decisión multi-criterio en el ámbito hospitalario?

JAM: La principal ventaja que tiene la aplicación del Análisis de Decisión Multi-Criterio, por lo menos en nuestro ámbito hospitalario, es que fomenta mucho la participación de todos los miembros de la comisión en la toma de decisión final. Además, otra de las ventajas es que permite elaborar un listado de valores o criterios, que luego son ponderados por cada uno de los miembros, en el que se sustenta la decisión final. Esto es muy importante a la hora de saber cuáles han sido las razones por las que se incluye un fármaco en la guía farmacoterapéutica del hospital.

¿Cuáles considera que son las principales limitaciones de esta herramienta?

JAM: La principal limitación o inconveniente es la interpretación o la subjetividad que puede tener el Análisis de Decisión Multi-Criterio, a lo que hay que añadir la complejidad para entender la metodología por parte de los miembros de la comisión. Si no están bien formados en esta metodología, las decisiones pueden estar un poco sesgadas. Otro de los inconvenientes podría surgir a la hora de hacer un posicionamiento farmacoterapéutico, ya que con esta metodología es difícil encontrar subgrupos de pacientes que se vean más beneficiados del fármaco evaluado.

¿Cree que el MCDA tiene especial cabida en el área de las EERR?

JAM: Personalmente, creo que el área donde el análisis de decisión multi-criterio puede aportar mayor valor es en enfermedades raras, ya que, por su rareza, los medicamentos huérfanos cuentan con una evidencia científica limitada, una eficacia y seguridad cuestionables

y un coste que puede no ser muy apropiado. Esta metodología es importante porque a través de ella quedan explícitas las razones por las cuales se aprueban estos fármacos en el ámbito hospitalario.



El Hospital Universitario Virgen Macarena ha realizado una experiencia piloto con el análisis multicriterio. ¿Podría contarnos cómo fue la experiencia y si ha ayudado de alguna forma a mejorar la toma de decisiones sobre medicamentos huérfanos en el hospital?

JAM: Hicimos un piloto, con una experiencia muy positiva. En la primera fase, formamos a los miembros de la comisión en esta metodología y, en una segunda fase, evaluamos varios fármacos, uno de los cuales era un medicamento huérfano. La lástima fue que, por motivos organizativos, poco tiempo después se tuvieron que renovar los miembros de la comisión, con personas que ya no estaban formadas en MCDA, por lo que no pudimos darle continuidad al proyecto, aunque estamos en fase de volver a retomarlo. La experiencia fue muy positiva porque permitió que la decisión fuera compartida por todos los participantes, dejando atrás la decisión polarizada de unos pocos miembros que quizás contaban con mayor actividad o conocimiento.

¿Cuáles fueron las principales barreras identificadas durante la implementación de la experiencia piloto?

JAM: Una de las barreras fundamentales es la falta de formación en MCDA. Creo que es vital formar a los participantes para que entiendan la metodología, comprendan lo que hay que valorar en cada criterio y se eviten dobles valoraciones. Es un método que consigue que todos los miembros opinen y participen en la toma de decisión final.

Y, si tuviese que resumir en un par de frases su experiencia con el MCDA, ¿qué nos podría decir?

JAM: Destacaría que el MCDA es un ejemplo de multidisciplinariedad y transparencia en la toma de decisión cuando nos son suficientes los criterios habituales para la incorporación de medicamentos huérfanos.



JOSÉ LUIS POVEDA

Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario y Politécnico La Fe (Valencia)

LA VISIÓN DE LA FARMACIA HOSPITALARIA

¿Qué nos podría comentar acerca del trabajo multidisciplinar que ahora está desarrollando el grupo ORPHAR de la SEFH en materia de Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA)?

JLP. La asignación de recursos sanitarios públicos, siempre limitados, es una tarea difícil que requiere conjugar el poner a disposición de los ciudadanos innovaciones terapéuticas con la protección de la sostenibilidad financiera del propio sistema. Además, existe una demanda creciente de incluir de manera clara las preferencias sociales a lo largo del proceso de evaluación y toma de decisiones. Bajo estas premisas, el grupo Orphar-SEFH, consciente de las peculiaridades de los MMHH (gran incertidumbre y elevado coste), considera que el MCDA puede ser una herramienta muy útil para establecer el valor de los MMHH y dar soporte a la toma de decisiones sobre su posicionamiento terapéutico.

Por todo ello, con el apoyo Omakase Consulting, el grupo Orphar-SEFH ha recibido formación y asesoramiento sobre el diseño de la metodología y su adaptación a los MMHH, con la finalidad de iniciar un proyecto de evaluación de los MMHH autorizados por la EMA mediante este tipo de metodología.

El objetivo principal del proyecto es la evaluación y posicionamiento de MMHH por parte del grupo Orphar-SEFH mediante la metodología MCDA. Como objetivo secundario, se propone que toda esta información pueda ser utilizada en la toma de decisiones tanto por parte de los organismos decisores sobre precio y financiación de los MMHH a nivel nacional como por las diferentes Comisiones Farmacoterapéuticas hospitalarias (CFT), ya que los informes de evaluación se harán públicos en la web del grupo Orphar-SEFH.

¿Podría contarnos algunos de los resultados o conclusiones del este proyecto?

JLP. Hasta la fecha, el proyecto se ha iniciado con la formación de los miembros del grupo Orphar-SEFH respecto a la metodología MCDA, la estandarización de informes, así como una sesión específica de calidad de vida relacionada con la salud. El paso siguiente será la evaluación MCDA por parte de los diferentes miembros del grupo de los MMHH que obtengan la autorización por la EMA.

A modo aclaratorio, cabe destacar que la evaluación de MMHH por parte del grupo Orphar-SEFH no pretende sustituir a los informes GÉNESIS, sino complementar la información recogida en los mismos, aportando nuevos criterios para el proceso de toma de decisiones en una CFT de forma explícita, incluyendo criterios contextuales.

¿Conoce alguna aplicación práctica en la que se haya desarrollado un marco MCDA en medicamentos huérfanos en España?

JLP. Un panel de expertos multidisciplinar en EERR, con la coordinación de Omakase, ha desarrollado un marco de MCDA específico para la evaluación de MMHH en España (publicado en Expert Opinion on Orphan Drugs), desarrollando además un manual de uso específico para potenciales evaluadores y decisores del Sistema Nacional de Salud español. Dicho marco considera varios criterios, como la gravedad de la enfermedad, las necesidades insatisfechas, la calidad de vida del paciente/cuidador, la carga social y la situación de las EERR en el sistema sanitario español. El marco final incluye un total de 15 criterios, 2 de los cuales están relacionados con la enfermedad, 8 con el tratamiento y 5 con el contexto de MMHH y EERR en España, lo que demuestra la importancia dada a los criterios contextuales a nivel nacional.

Los valores resultantes de la evaluación MCDA tienen la intención de estimular una discusión reflexiva entre todos los participantes del proceso de toma de decisiones, considerando todos los puntos de vista de manera sistemática y transparente. No se pretende definir un umbral directamente vinculado a las decisiones finales, ya que la toma de decisiones toma en cuenta muchos otros factores, como el precio de los comparadores disponibles o el impacto presupuestario del medicamento, que no es una información disponible públicamente en España, ya que las previsiones de ventas y el precio real reembolsado es confidencial.

¿De qué modo cree usted que el modelo multicriterio puede ayudar a la fijación del precio de los medicamentos huérfanos?

JLP. El MCDA es una aplicación de métodos analíticos capaces de considerar explícitamente múltiples criterios para la toma de decisiones. La finalidad consiste en obtener el valor del medicamento de forma ordenada, objetiva, pragmática y transparente. Esta aproximación permite, además, una comparación entre diferentes medicamentos, contribuyendo al proceso de selección y toma de decisiones, de forma efectiva, eficiente y basada en la evidencia. El MCDA incluye criterios cuantitativos (la mayoría relacionados con una evaluación técnica, por ejemplo, eficacia) y contextuales (la mayoría relacionados con una evaluación no técnica, por ejemplo, ámbito geográfico o social).

Las peculiaridades propias del desarrollo clínico de los MMHH y sus características epidemiológicas, clínicas y socio-económicas, hace que exista una mayor incertidumbre que en otras áreas terapéuticas, por lo que es recomendable establecer un sistema de evaluación que complemente al ya existente y facilite una mejor toma de decisiones. La aplicación de esta metodología permitiría estandarizar el proceso de evaluación y clasificación de MMHH y ayudaría a la fijación del precio de los mismos.

¿Qué ventajas cree usted que puede aportar el MCDA en la toma de decisiones sanitarias?

JLP. El proceso de toma de decisiones en salud es complejo y abarca desde la generación de evidencia hasta el análisis y la comunicación transparente de las decisiones tomadas. Decidir acerca del uso más eficiente de recursos en condiciones de incertidum-

bre no es fácil, y una de las áreas en las que se produce esto de forma habitual es en el caso de las EERR.

El método tradicional de evaluación de medicamentos basado en eficacia, seguridad y coste no es necesariamente el más adecuado para los MMHH, debido a los desafíos existentes para su evaluación inherentes a sus características: enfermedades de baja prevalencia, lo que en la mayoría de casos resulta en una falta de evidencia clínica robusta; muchas veces no existe alternativa comparable o no cumplen los parámetros económicos establecidos debido a los altos costes iniciales. Los sistemas de salud aún no tienen en cuenta que se requieren consideraciones especiales para la correcta determinación del valor aportado por dichos medicamentos.

El MCDA es una técnica para evaluar, comparar, priorizar y seleccionar tratamientos en situaciones en las que existe mucha incertidumbre o en las que muchos y variados criterios pueden influir sobre la toma de decisión, teniendo en cuenta las diferentes perspectivas de todos los agentes clave del sistema sanitario.

Entre sus ventajas, destaca el hecho de que permite analizar las intervenciones desde una visión holística, considerando explícitamente distintos atributos de valor más allá de los tradicionales de eficacia, seguridad y precio, que pueden ser relevantes para la sociedad. Además, entre los atributos a considerar se pueden incluir también elementos cualitativos o contextuales.

El MCDA ayuda formalizar el proceso de decisión y armoniza el trabajo conjunto de decisores y otros agentes durante el mismo, permitiendo a los actores involucrados ordenar sus ideas y organizar, de manera explícita y cuantitativa, las dimensiones relevantes a considerar en las intervenciones evaluadas. En este sentido, el MCDA vendría a dotar al proceso de transparencia, congruencia y replicabilidad.

El marco también permite el debate reflexivo, argumentado e interdisciplinar. Puede ayudar a poner en común y entender las distintas perspectivas, incluyendo la del paciente, y clarificar los puntos de acuerdo y desacuerdo, ayudando a encontrar un lenguaje común entre los agentes y favoreciendo un entendimiento exhaustivo de la situación planteada.

En alguna ocasión, usted ha señalado que "a lo largo de su evolución, la especie humana ha tenido la necesidad de sentir que somos capaces, de forma consciente y planificada, de incorporar valores que tengan que ver con la solidaridad, el compromiso, la ética y la igualdad". ¿En el ámbito de la sanidad, cómo cree que pueden incorporarse estos principios de una forma más tangible? ¿Cree que el MCDA puede jugar un papel relevante en este sentido?

JLP. EL MCDA, además de estandarizar el proceso de evaluación y clasificación de MMHH, tiene en cuenta otros criterios que las evaluaciones tradicionales no consideran, como pueden ser criterios contextuales (prioridad de acceso a la población, coste-oportunidad y asequibilidad, etc.) o la inclusión de la perspectiva del paciente.

En este sentido, las EERR, en multitud de ocasiones, producen efectos que solo los pacientes y sus cuidadores conocen, efectos sobre la productividad, la calidad de vida y otros costes indirectos difíciles de estimar y de percibir por personas que no sufren esa patología. Además, en determinadas situaciones, faltan instrumentos estandarizados y validados para medir el efecto que tienen los tratamientos sobre la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras y la mayoría de los estudios se hacen con indicadores indirectos, por lo que transmitir la perspectiva del paciente es una tarea difícil y que muchas veces no se tiene en cuenta en las evaluaciones.

Varios estudios realizados sobre la forma de involucrar a los pacientes en los procesos de toma de decisión concluyen que el MCDA permite interacción entre todos los actores relevantes para la toma de decisiones, incluyendo pacientes, y permite integrar su perspectiva en el proceso de evaluación, humanizando de este modo la evaluación de los MMHH.

JORNADAS CIENTÍFICAS

IX CONGRESO INTERNACIONAL DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ENFERMEDADES RARAS

Sevilla, 13-15 de febrero 2019

Por novena vez, se ha celebrado el Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, promovido por el Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla, la Fundación Mehuer y FEDER.

Las conclusiones finales que se obtuvieron durante los tres días de Congreso fueron las siguientes:

1. El acceso al diagnóstico es uno de los desafíos más urgentes de las Enfermedades Raras en el mundo, por lo que es necesario facilitar dicho acceso a los pacientes, incentivando la movilidad de las personas, las muestras y los datos.
2. La medicina de precisión o personalizada es una estrategia muy eficaz a través de la cual se pueden encontrar terapias en las Enfermedades Raras.
3. Compartir información se erige como elemento determinante para avanzar en el estudio de las Enfermedades Raras. Las Redes de Referencia son estructuras que están dinamizando esta actividad.
4. Es importante aprovechar el conocimiento generado en la investigación de una Enfermedad Rara para aplicarlo en la investigación de otras, recogiendo todo el conocimiento transversal que se genera.
5. La industria farmacéutica es ahora consciente de la importancia del desarrollo de nuevos productos para el diagnóstico, prevención y tratamiento de las Enfermedades Raras.
6. Sigue siendo necesario establecer un fondo económico estatal específico para sufragar los tratamientos y la asistencia a los pacientes con Enfermedades Raras.
7. Los pacientes siempre han tenido y tendrán el lugar más destacado en los sucesivos Congresos. Su voz, sus reivindicaciones, sus anhelos, su testimonio vital se convierten en el estímulo para seguir luchando con ellos y para ellos.

WORKSHOP "MANUAL DE BUENAS PRÁCTICAS DE LOS SERVICIOS DE FARMACIA HOSPITALARIA RESPECTO A LA HUMANIZACIÓN EN ENFERMEDADES RARAS"

Madrid, 30 de septiembre 2019

El Manual de Buenas Prácticas de los Servicios de Farmacia Hospitalaria respecto a la Humanización en Enfermedades Raras se configura como una hoja de ruta y un conjunto de directrices y buenas prácticas al servicio de los responsables de las farmacias de hospital que han decidido emprender

un camino de mejora continua de la calidad asistencial para situar al paciente con Enfermedades Raras y a sus cuidadores en el eje de sus actuaciones y avanzar en el proceso de humanización en sus unidades.

Esta iniciativa, liderada por el Servicio de Farmacia del Hospital La Fe de Valencia, tiene previsto salir a la luz a finales de febrero del año 2020, coincidiendo con el Día Mundial de las Enfermedades Raras.

Con el objetivo de llevar a cabo una revisión y un análisis pormenorizado de la versión preliminar del Manual, previo a su publicación, se ha reunido en Madrid un grupo de expertos formado por Reyes Abad, Sergio Fdez-Espínola, Alicia Herrero, Ramón Jodar, Isabel Martín, Maria Queralt, María José Company, Mariló Edo y José Luis Poveda.

La sesión de trabajo finalizó con entrevistas a los participantes (disponibles en www.newsRARE.es) en las que los expertos expresaron una opinión muy positiva sobre el impacto y el alcance que este Manual va a tener en la humanización de la atención a pacientes con Enfermedades Raras en los hospitales del Sistema Nacional de Salud.

XII CONGRESO INTERNACIONAL DE ENFERMEDADES RARAS

Murcia, 15-16 de noviembre 2019

El 15 y 16 de noviembre de 2019 se celebró en Murcia el XII Congreso Internacional de Enfermedades Raras, bajo el lema "Las enfermedades raras, ante el reto de un abordaje global" organizado por la Asociación de Enfermedades Raras D´Genes, con la colaboración de la Universidad Católica San Antonio de Murcia (UCAM), la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), la Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras (ALIBER), Rare Diseases International y EURORDIS.

La consejería de sanidad concedió, una edición más, el reconocimiento de Interés Sanitario a este congreso, lo que reafirma la importancia y el valor de este foro sobre patologías poco frecuentes.

Durante estos dos días, el foro reunió a un buen número de ponentes que abordaron, desde un enfoque multidisciplinar, diferentes aspectos relacionados con enfermedades de baja prevalencia. En él participaron médicos, investigadores, estudiantes y representantes de asociaciones, personas y familias que conviven con pacientes con enfermedades poco frecuentes.

El primer día, se desarrollaron distintos temas relacionados con las enfermedades poco frecuentes, como son los avances en el diagnóstico de distintas patologías, la situación de los medicamentos huérfanos en España e Iberoamérica, actualizaciones terapéuticas, aspectos psicológicos de convivir con una enfermedad rara o proyectos internacionales de interés como son los centros de recursos y servicios sociales especializados para la atención multidisciplinar de las personas con enfermedades raras y sus familias. El segundo día estuvo más centrado en la parte social y asociativa, abordando herramientas de participación en las asociaciones y avances sobre modelos de atención, intercambio de buenas prácticas del movimiento asociativo, así como, en transparencia y recomendaciones de mejora en entidades de enfermedades raras.

En paralelo al congreso, se programaron talleres sobre innovaciones en comunicación con apoyo tecnológico, derecho a un acceso temprano a la comunicación e inclusión educativa en enfermedades raras.

MEDICAMENTOS

DESTACADOS

WAYLIVRA® (VOLANESORSÉN) PARA EL TRATAMIENTO DEL SÍNDROME DE QUILOMICRONEMIA FAMILIAR

Mayo 2019

El 3 de mayo de 2019, la Comisión Europea concedió a Waylivra® (Volanesorsén) la autorización de comercialización condicional como complemento de la dieta en pacientes adultos con síndrome de quilomicronemia familiar (FCS), considerada una enfermedad ultra-rara causada por el mal funcionamiento de la enzima lipoproteína lipasa (LPL) y caracterizada por un alto riesgo de pancreatitis, en quienes la respuesta a la dieta y al tratamiento de reducción de triglicéridos no ha sido suficiente. Se calcula que hay entre 3.000 y 5.000 personas que sufren FCS en todo el mundo, de las que aproximadamente 1.000 viven en Europa.

Volanesorsén es un oligonucleótido antisentido diseñado por Ionis y desarrollado conjuntamente por Akcea e Ionis para reducir la producción de ApoC-III, una proteína que regula los triglicéridos plasmáticos. Volanesorsén es una solución inyectable por vía subcutánea autoadministrable en una jeringa precargada de un solo uso.

Esta autorización se produce tras el dictamen favorable que recomendaba la aprobación del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA. Como parte de la autorización de comercialización condicional, Akcea e Ionis realizarán un estudio de seguridad postautorización no intervencionista basado en un registro.

La autorización de comercialización de volanesorsén por la CE se basa en los resultados del estudio de fase 3 APPROACH y del estudio de extensión abierto en marcha del mismo, siendo respaldada por los resultados del estudio de fase 3 COMPASS. Los resultados del ensayo APPROACH, el más amplio realizado en pacientes con FCS, muestran que, en comparación con placebo, el tratamiento con volanesorsén logra una reducción clínica y estadísticamente significativa de los triglicéridos durante el período de estudio. Un análisis de los pacientes con antecedentes de episodios recurrentes de pancreatitis (2 episodios en los cinco años previos al inicio del estudio) mostró una reducción considerable de las pancreatitis en pacientes tratados con volanesorsén en comparación con los tratados con placebo. Los acontecimientos adversos más frecuentes en el estudio APPROACH fueron reacciones en la zona de inyección y descensos del recuento de plaquetas. Además del estudio de extensión abierto, también están en curso programas internacionales de acceso precoz a volanesorsén.

PALYNZIQ® PARA TRATAR LA FENILCETONURIA

Mayo 2019

El 6 de mayo, la EMA aprobó Palynziq®, la primera terapia de sustitución enzimática diseñada para abordar la causa subyacente de la fenilcetonuria (PKU) en pacientes adultos o adolescentes de 16 años o más. La PKU es una afección rara y genética que amenaza el cerebro marcada por la incapacidad de procesar el aminoácido fenilalanina de la proteína dietaria, lo que provoca problemas en el sistema nervioso. Si no se trata, los altos niveles de Phe pueden volverse tóxicos para el cerebro y pueden conducir a problemas neurológicos y neuropsiquiátricos graves, que afectan la forma en que una persona piensa, siente y actúa.

Palynziq® se utiliza en pacientes cuyo nivel de fenilalanina en sangre no se han controlado de forma adecuada con otros tratamientos. Es una solución inyectable por vía subcutánea autoadministrada una vez al día, clínicamente probada para reducir los niveles de Phe en sangre en adultos con PKU que tienen niveles de Phe en sangre no controlados en el tratamiento existente. Cada jeringa precargada es para un solo uso.

La aprobación de Palynziq® se ha basado en los resultados de dos ensayos clínicos: uno abierto, en el que se inyectaron 20 o 40 mg al día, y uno con placebo, en el que se estudió el rechazo al medicamento en pacientes previamente tratados con Palynziq®. Ambos ensayos mostraron que, aunque el fármaco reducía significativamente los niveles de Phe en sangre en la mayoría de los casos, en algunos también producía reacciones adversas.

ZYNTEGLO® PARA EL TRATAMIENTO DE BETATALASEMIA

Mayo 2019

La EMA autorizó el 19 de mayo de 2019 la comercialización de Zynteglo®, la primera terapia génica de Bluebird Bio para el trastorno de la sangre. Zynteglo® es un medicamento que se utiliza para tratar un trastorno de la sangre conocido como betatalasemia en pacientes a partir 12 años de edad que necesitan frecuentes transfusiones de sangre. Las personas que padecen esta enfermedad genética no pueden segregar suficiente betaglobina, un componente de la hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta oxígeno en el organismo. Por consiguiente, estos pacientes presentan niveles bajos de glóbulos rojos y necesitan frecuentes transfusiones de sangre.

Zynteglo® está indicado en pacientes que son aptos para el trasplante de células madre, pero carecen de un donante compatible con el que estén emparentados. Zynteglo® contiene, como principio activo, células madre extraídas de los pacientes y que se han modificado genéticamente para que contengan un gen funcional de betaglobina. Se administra como una infusión (goteo) en una vena y la dosis depende del peso corporal del paciente.

Antes de administrar Zynteglo®, el paciente recibirá un tratamiento de quimioterapia de acondicionamiento para limpiar las células de la médula ósea.

ULTOMIRIS® (RAVULIZUMAB), PARA EL TRATAMIENTO DE PACIENTES ADULTOS CON HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA

Julio 2019

El 2 de julio de 2019, la Comisión Europea autorizó Ultomiris® (Ravulizumab) para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN), una enfermedad extremadamente rara y grave que, si no se trata, puede causar un amplio espectro de síntomas y complicaciones debilitantes, incluida la trombosis.

Ultomiris® es el primer y único inhibidor de la proteína C5 del complemento de acción prolongada autorizado para la HPN; se administra una vez cada dos meses y reduce la carga del tratamiento para los pacientes.

El medicamento está aprobado en la UE para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna con hemólisis con síntomas clínicos indicativos de alta actividad de la enfermedad y también para pacientes adultos clínicamente estables después de haber sido tratados con SOLIRIS® (eculizumab) durante al menos los últimos seis meses.

XOSPATA® (GILTERITINIB) PARA EL TRATAMIENTO DE PACIENTES ADULTOS CON LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA RECURRENTE O REFRACTARIA CON UNA MUTACIÓN FLT3

Octubre 2019

El 24 de octubre de 2019, el CHMP de la Agencia Europea de Medicamentos recomendó otorgar una autorización de comercialización para Xospata® (gilteritinib), de Astellas Pharma, para el tratamiento de pacientes adultos con leucemia mieloide aguda (LMA) recurrente o refractaria con una mutación FLT3, un tipo de cáncer que afecta a los glóbulos blancos.

Xospata® se utiliza cuando la LMA ha reaparecido o no ha mejorado después del tratamiento previo y solo se administra a pacientes cuyas células cancerosas presentan un cambio particular (mutación) en el gen de la proteína denominada FLT3.

Se trata de un fármaco que se administra por vía oral una vez al día, como monoterapia. La dosis inicial recomendada es de 120 mg de gilteritinib (tres comprimidos de 40 mg) una vez al día. El tratamiento debe continuar hasta que el paciente ya no obtenga beneficio clínico o hasta que aparezca toxicidad inaceptable. La respuesta puede ser tardía, por lo tanto, se debe considerar la continuación del tratamiento a la dosis prescrita hasta 6 meses, para dar tiempo a la aparición de la respuesta clínica.

El fármaco constituye uno de los pocos avances para el tratamiento de la leucemia mieloide aguda conseguidos en Europa en los últimos 40 años.

GOBIERNO

OLGA DELGADO, NUEVA PRESIDENTA DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA DE FARMACIA HOSPITALARIA

Octubre 2019

Olga Delgado, jefa de Servicio de Farmacia del Hospital Son Espases de Palma de Mallorca, ha sido nombrada nueva presidenta de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH) por los socios, durante el 64 Congreso Nacional de la Sociedad celebrado el pasado mes de octubre en Sevilla. Sucederá así a Miguel Ángel Calleja, tras doce años trabajando para la Sociedad, estando los 4 últimos como presidente.

La candidatura de Olga Delgado se completa con: Jordi Nicolás, jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Mutua de Terrassa, quien será vicepresidente; José Antonio Marcos, facultativo especialista en Farmacia Hospitalaria del Hospital Virgen de la Macarena de Sevilla, tesorero; y Cecilia Martínez, del Área de Pediatría del Hospital Gregorio Marañón, secretaria.

De esta forma, Olga Delgado se convierte en la segunda mujer que ocupa la presidencia de la sociedad: "represento a ese 75% de mujeres que conforman nuestra profesión" – declaraba la Sra. Delgado. De cara al futuro, Delgado, ha señalado que "ahora toca construir y seguir avanzando, poniendo el foco directamente en los pacientes, propiciando la escucha y actuando al respecto".

Las líneas estratégicas de su programa son:

- Las **alianzas** con los pacientes.
- **Evidencia**: el conocimiento al servicio del quehacer diario.
- **Investigación**: para seguir creciendo y generando evidencia.
- **Optimización**: potenciando el uso de la tecnología para generar valor.
- **Unión**: por parte de todos los farmacéuticos sin importar el ámbito de trabajo.
- Elaborar un código ético como sociedad
- Ser reconocidos por socios y empresas.

EL GOBIERNO APRUEBA 2,8 MILLONES DE EUROS PARA LAS ENFERMEDADES RARAS Y NEURODEGENERATIVAS

Diciembre 2019

La Ministra de Sanidad, Consumo y Bienestar Social, María Luisa Carcedo, ha aprobado en el Consejo de Ministros un presupuesto de 2.818.070 euros destinado a desarrollar actuaciones de vigilancia de la salud e iniciativas encuadradas dentro de las Estrategias de Enfermedades Raras y neurodegenerativas, incluida la esclerosis lateral amiotrófica (ELA).

Esto supondrá llevar a cabo todos aquellos proyectos que se han presentado con dos objetivos:

- Habilitar información sobre los recursos disponibles para la atención a las personas con estas patologías y sus familias.
- Obtener información epidemiológica necesaria que permita el desarrollo de políticas sociales, sanitarias e investigación.

Este presupuesto se dividirá en tres partidas, la estrategia en enfermedades raras, las enfermedades neurodegenerativas encaminadas a su detección precoz para la mejora de la atención integral de estos pacientes, sus familias y cuidadores, y la vigilancia en salud, en la que se desarrollarán herramientas que faciliten la transmisión de información epidemiológica de las comunidades autónomas al Nodo de la Red Nacional de Vigilancia Epidemiológica.

Estos fondos se distribuirán entre todas las comunidades autónomas, excepto País Vasco, Navarra, Ceuta y Melilla, según las cifras del padrón publicadas en el Real Decreto 1458/2018, de 14 de diciembre, por el que se declaran oficiales las cifras referidas al 1 de enero de 2018.

PUBLICACIONES CIENTÍFICAS

LISTADO DE ENFERMEDADES RARAS Y SUS SINÓNIMOS

Enero 2019

Orphanet publica dos veces al año un listado detallado de las enfermedades raras en Europa. Este registro se define teniendo en cuenta la homogeneidad clínica, independientemente de su etiología o del número de genes causantes identificados y, de acuerdo con la legislación europea, que establece un límite de prevalencia de no más de 5 casos por cada 10.000.

La mayoría de los registros descritos en el inventario son artículos sometidos a revisión por pares, con al menos dos casos que confirman que los signos clínicos no están asociados de forma casual. Sin embargo, también se han incluido algunas enfermedades con un único caso descrito.

El registro de estas enfermedades aparece con el nombre preferente y todos los sinónimos posibles, así como un identificador único (el número ORPHA), asignado al azar por la base de datos de cada enfermedad, de manera única y exclusiva. Tanto los nombres como los sinónimos están ordenados alfabéticamente.

Este inventario es un ente vivo que se va actualizando periódicamente a través de dos fuentes no exclusivas, como son las fuentes documentales y/o el asesoramiento de expertos. El conocimiento científico se controla a través de tres procedimientos:

- El análisis bimensual de un conjunto definido de revistas científicas revisadas por expertos internacionales.
- Un algoritmo de búsqueda mensual en Medline.
- Consultas específicas en Medline de los expertos, usuarios de la base de datos o de los servicios registrados en el portal de Orphanet.

Las posteriores actualizaciones serán evaluadas por un comité médico y científico dentro de Orphanet para pasar posteriormente a validación por los expertos consultados.

AELMHU PRESENTA LOS DATOS DE ACCESO A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA

Octubre 2019

El análisis de datos se ha basado en el estudio comparativo de los medicamentos autorizados por la EMA con designación huérfana vigente, con respecto a su autorización y comercialización en España. La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) ha presentado los datos de acceso en España a los medicamentos huérfanos autorizados por la EMA.

Con esta iniciativa, AELMHU, busca "facilitar toda la información posible con respecto a la situación de acceso a los medicamentos huérfanos en España, con el objetivo de lograr un mejor conocimiento sobre el contexto de las enfermedades raras y sus tratamientos en nuestro país" además de "visibilizar a todas aquellas personas con enfermedades raras, de cara a ayudar a mejorar la situación de los pacientes y su acceso a los tratamientos disponibles", según señala la directora ejecutiva de AELMHU, Rosabel Arce. Los datos del trabajo muestran que España solo comercializa un 54% de los medicamentos huérfanos con autorización de comercialización de la Unión Europea. Es decir, 58 de 108, según un análisis de AELMHU. Además, el tiempo transcurrido desde la asignación del Código Nacional hasta la comercialización efectiva ha empeorado en 3,8 meses más (media) y 3,5 meses más (mediana), en comparación con el dato de 2018. No obstante, a pesar de ese incremento, en septiembre de 2019 se han comercializado más medicamentos huérfanos (10) que en todo el año 2018 (8).

Por último, al diferenciar entre medicamentos oncológicos y no oncológicos, el 29% de los medicamentos huérfanos autorizados en Europa son oncológicos. En España, suponen el 38% de los medicamentos comercializados. El tiempo que transcurre entre la obtención del Código Nacional y la comercialización es ligeramente superior para los medicamentos huérfanos no oncológicos, aunque no suponga una variación significativa.

LISTADO DE MEDICAMENTOS PARA ENFERMEDADES RARAS EN EUROPA

Octubre 2019

El portal de Orphanet pone a disposición de los usuarios un listado actualizado de todos los medicamentos huérfanos que, hasta la fecha, han recibido una autorización de comercialización europea. Actualmente, ya es accesible en algunos países europeos. La disponibilidad de un medicamento en un determinado país va a depender de la estrategia que afronte el laboratorio y la decisión que tomen las autoridades sanitarias nacionales respecto al reembolso.

Este listado de medicamentos huérfanos se obtiene cruzando el siguiente par de listados:

- Medicamentos que han recibido una designación huérfana: (http://ec.europa.eu/health/documents/communityregister/html/alforphreg.htm)
- Medicamentos que han recibido una autorización de comercialización:

(http://ec.europa.eu/health/documents/communityregister/html/ alfregister.htm)

Ambos están disponibles para su consulta en el sitio web de la Dirección General de Sanidad y Seguridad Alimentaria de la Comisión Europea.

Puede localizar información adicional de cada producto en la pestaña "Medicamentos huérfanos" del sitio web Orphanet (www.orphanet.es) o en la página de la Agencia Europea de Medicamentos

(Enlace: https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/ES/listado_de_medicamentos_huerfanos_in_Europa.pdf)

LA SEFH DESARROLLA UNA METODOLOGÍA DE EVALUACIÓN QUE INTEGRA LA VISIÓN DE LOS PACIENTES

Enero 2020

El Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar – SEFH) ha adaptado la metodología de Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA) para poder utilizarla en la evaluación en España de los medicamentos huérfanos autorizados por la Agencia Europea del Medicamentos (EMA).

"El MCDA puede ser una herramienta muy útil para establecer el valor real de estos fármacos y dar soporte a la toma de decisiones sobre su posicionamiento terapéutico". "Esta metodología nos ayuda a obtener el valor del medicamento de forma ordenada, objetiva, pragmática y transparente", indica José Luis Poveda, coordinador de Orphar-SEFH.

Con esta metodología se alcanza una aproximación analítica con la que, además de comparar distintos fármacos y recoger la perspectiva de los pacientes, se aplican tanto criterios técnicos como, por ejemplo, los datos de eficacia, como criterios no técnicos, como serían los aspectos relacionados con el contexto social y geográfico.

Teniendo en cuenta la heterogeneidad de las enfermedades raras, así como el reducido número de personas que las padecen y, en el caso de los fármacos huérfanos, en los que la evaluación y aprobación supone importantes desafíos, el MCDA es una herramienta muy útil.

A raíz de las incertidumbres, Poveda detalla que "los evaluadores tengan que aplicar consideraciones éticas y jurídicas" en el proceso de toma de decisiones, resaltando la necesidad de "establecer un sistema de evaluación que complemente al ya existente y facilite una mejor toma de decisiones".

De modo que, si bien en un principio el precio del tratamiento no se incluirá en la evaluación del valor real del fármaco (los costes médicos directos e indirectos, sí), la propuesta de Orphar – SEFH es la actualización de este informe de evaluación MCDA con la inclusión de esta cifra una vez el medicamento huérfano haya obtenido la aprobación final de precio y financiación en España.

Por último, cabe señalar que, a nivel regional, el Servicio catalán de salud (CatSalut) ha sido el servicio de salud elegido para poner en marcha un proyecto piloto destinado a probar la utilidad del MCDA. A nivel hospitalario, se desarrolló un marco MCDA para la evaluación de fármacos huérfanos en el Comité Farmacoterapéutico del Hospital Universitario Virgen de la Macarena de Sevilla.

RARE FILM FESTIVAL

El próximo 10 de febrero del 2020, entre las 18:30 y las 22:00 horas, se celebrará el primer festival de cine en Reino Unido, Rare film festival, con el objetivo de crear conciencia sobre las enfermedades raras.

Se espera que organizaciones benéficas, empresas, cineastas independientes, estudiantes o cualquier persona interesada envíe su película al festival para que posteriormente un jurado pueda valorar entre las más creativas e inspiradoras y que después serán proyectadas en una Ceremonia de entrega de premios en Regent Street Cinema frente a diferentes partidos de enfermedades raras, organizaciones benéficas, pacientes, investigadores y profesionales de la salud, entre otros.



Fecha: 10 de febrero, 2020
Lugar: Londres, Inglaterra
Web: raredisease.org.uk/rarefilmfestival/about
Precio inscripción: 35 € - 94 €
Compra en: eventbrite.co.uk/e/rare-film-festival-2020.tickets-86127113515

Secretaría Técnica
Email: rarefilmfestival@geneticalliance.org.uk

DÍA MUNDIAL DE LAS ENFERMEDADES RARAS

El 29 de febrero de 2020, se celebra la 13ª edición del Día Mundial de las Enfermedades Raras. Un evento abierto para todos: pacientes, organizaciones de pacientes, profesionales de la salud, investigadores, representantes de la salud pública y público en general. Como cada año, se pretende sensibilizar a la sociedad y a las instituciones nacionales e internacionales sobre estas enfermedades, especialmente a empresas y laboratorios que dedican su esfuerzo para investigar y desarrollar tratamiento para estas enfermedades.



En otras ocasiones se han celebrado conciertos, conferencias, seminarios centrados en la investigación a nivel internacional y la proyección de documentales que ilustran las dificultades que experimentan las personas que viven con alguna enfermedad rara.

Fecha: 29 de febrero, 2020
Web: https://www.rarediseaseday.org/
Programa: https://rarediseases.infectiousconferences.com/scientific-program
Eventos en España: https://www.rarediseaseday.org/country/es/spain

VI INTERNATIONAL CONGRESS OF RESEARCH ON RARE AND ORPHAN DISEASES

La Fundación Blackswan y el Consorcio Internacional de Investigación de Enfermedades Raras (IRDiRC), presentan la sexta edición del Congreso RE (ACT) y la cuarta Conferencia IRDiRC, que tendrá lugar en Berlín, el próximo mes de marzo del 2020.

Este congreso está organizado conjuntamente por el Programa Europeo de Enfermedades Raras (EJP RD), en asociación con la Alianza Europea de organizaciones de pacientes (Eurordis) y con la Alianza global de personas que viven con una enfermedad rara (RDI – Rare Diseases International).

Su objetivo es reunir a expertos, líderes y jóvenes científicos de una variedad de campos para intercambiar ideas y discutir políticas relacionadas con la investigación de enfermedades raras, así como, pacientes y organizaciones de pacientes comprometidas con la investigación, que compartirán sus experiencias y perspectivas.

Durante los cuatro días se desarrollarán varias sesiones y workshops, en las que se hablará de la metodología de evaluación de los diagnósticos y las terapias en pacientes con EERR, y la guía de desarrollo de medicamentos huérfanos. También habrá un apartado en el que se hable de nuevas tecnologías e inteligencia artificial, así como de terapias avanzadas y etiología molecular. El congreso finalizará con varias intervenciones en las que se hablará de la participación del paciente en el desarrollo de fármacos y ensayos clínicos.

Fecha: 11 - 14 de marzo, 2020
Lugar: Berlín, Alemania
Web: react-congress.org
Precio inscripción: 450 € - 700 €
Fecha límite de envio de abstracts: 3 de febrero
Información para el envío de Abstracts: https://www.react-congress.org/attendees/abstract-information/
Formulario de inscripción: react-congress.org/form

Secretaría Técnica
Email: congress@react-congress.org
Telf.: 91 921 38 12

V CONVOCATORIA DE AYUDAS A LA INVESTIGACIÓN DE FEDER

La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) lanza la quinta convocatoria de ayudas a la investigación, consolidando en esta ocasión los esfuerzos que desde FEDER y su Fundación vienen destinando, durante estos últimos años, a la investigación.

En esta ocasión, con ayudas de 100.000 euros, se han incrementado hasta en un 20% los fondos, lo que significa hasta 20.000 euros más respecto al año anterior para la investigación de estas patologías. Los proyectos sobre los que se centrará esta convocatoria serán el diagnóstico y tratamiento de estas patologías. Estos serán evaluados, como en la edición anterior, por el Instituto de Salud Carlos III.

FEDER apoyará un total de 6 proyectos. La novedad en esta convocatoria está en la apuesta que hace la Fundación FEDER por los jóvenes talentos y la Universidad. Y, además, se contará con una plataforma que, gracias a la Fundación Inocente Inocente, agilizará la recogida de proyectos.

Fecha límite para solicitarlas: 21 marzo 2020
Link Bases de la Convocatoria: https://enfermedades-raras.org/images/2019_Bases_V_Convocatoria_investigacin.pdf
Link Modelo de declaración responsable del representante de la entidad de pacientes que apoya la candidatura: https://enfermedades-raras.org/images/Modelo_Declaracin_Responsable_representante_entidad_pacientes_candidatura.pdf
Link Modelo de autorización del centro a presentarse a la candidatura del IP: https://enfermedades-raras.org/images/Modelo_Autorizacin_centro_convocatoria_IP.pdf
Link Ayudas a la investigación: https://ayudas.enfermedades-raras.org/entidades/es/cargarAplicacionPreregistroOngBreve.do?idEdicion=5

X EUROPEAN CONFERENCE ON RARE DISEASES & ORPHAN PRODUCTS

Durante dos días, Estocolmo acogerá el X Congreso Europeo de enfermedades raras y medicamentos huérfanos, que reunirá a más de 850 profesionales de la industria de la salud, pacientes, investigadores, médicos y funcionarios públicos, entre otros, con un

profundo interés en las enfermedades raras. Los seis temas que se tratarán son los siguientes:

1/ **El futuro del diagnóstico, nuevas esperanzas, promesas y desafíos.** Los recientes desarrollos científicos y tecnológicos han significado que el diagnóstico de enfermedades raras ha mejorado considerablemente en los últimos años. Durante estas sesiones se examinará el panorama actual y debatirá las tendencias y escenarios futuros.

2/ **Nuestros valores, nuestros derechos, nuestro futuro: paradigmas cambiantes hacia la inclusión.** La evidencia muestra que las personas que viven con una enfermedad rara y sus familias continúan enfrentando serios desafíos diarios para su inclusión social. Las enfermedades raras a menudo provocan un alto nivel de vulnerabilidad psicológica, social y económica y son perjudiciales para la participación activa de las personas en la sociedad.

3/ **Compartir, cuidar, curar: cuidado transformador para enfermedades raras para 2030.** Los sistemas de salud y bienestar no serán inmunes a todos los cambios que la sociedad actual ya está viviendo. La transformación digital de la atención médica tiene el potencial de brindar grandes beneficios para la comunidad de enfermedades raras, pero también creará nuevos desafíos.

4/ **Cuando las terapias satisfacen las necesidades: permitiendo un enfoque centrado en el desarrollo terapéutico del paciente.** Se analizarán las innovaciones científicas recientes, la investigación clínica, las soluciones reguladoras, los obstáculos y los desafíos para desarrollar terapias que satisfagan las necesidades de los pacientes. También consideraremos formas de incorporar evidencia de la vida real en los procesos de desarrollo terapéutico.

5/ **Logros para el 2030: accesibilidad, disponibilidad y asequibilidad. Tratamientos para personas que viven con una enfermedad rara** ¿Cómo podemos mejorar colectivamente el funcionamiento del sistema para 2030? ¿Cuáles son las soluciones para garantizar el desarrollo sostenible de terapias que estén realmente disponibles para todos? Este tema examinará los diferentes aspectos de los sistemas que necesitan un cambio significativo.

6/ **La revolución de la salud digital: expectativa vs realidad.** Se analizará cómo la tecnología puede apoyar la inclusión social de las personas que viven con una enfermedad rara. Este tema examinará las innovaciones tecnológicas que sustentan la interrupción en la medicina y la ciencia, así como los fundamentos legales, éticos y políticos que pueden enmarcar los resultados futuros en esta área.

Fecha: 15-16 mayo, 2020
Lugar: Estocolmo, Suecia
Web: https://www.rare-diseases.eu/programme/
Precio inscripción: Entre 125 € y 1950 €
Inscripciones con descuento: Hasta el 20 de marzo, incluido.
Formulario de inscripción: http://www-eur.cvent.com/events/10th-european-conference-on-rare-diseases-orphan-products-2020/event-summary-03c5479e63944269952feea11e2f169a.aspx

Secretaría Técnica:
Email: sharon.ashton@eurordis.org / martina.bergna@eurordis.org

II WORLD CONGRESS ON RARE DISEASES

El segundo congreso mundial sobre enfermedades raras se celebrará en Estambul, Turquía. En esta ocasión, el tema central del Congreso será: "El futuro del desarrollo de medicamentos para enfermedades raras".

El programa se compone de conferencias magistrales y sesiones orales sobre las últimas investigaciones y problemas actuales. En él participarán asistentes de diferentes continentes: Norte y Sur de

América, Asia, Pacífico y medio Oriente, así como, de Europa y Reino Unido.

Desde la página web del congreso, en el apartado de "Sessions & tracks" los asistentes podrán enviar su resumen para los siguientes temas propuestos:

1. Enfermedades Raras.
2. Futuro de la Investigación en Enfermedades raras.
3. Desafíos de vivir con enfermedades raras.
4. Medicamentos huérfanos
5. Enfermedades infecciosas
6. Enfermedades genéticas raras
7. Enfermedades tropicales
8. Enfermedades raras pediátricas
9. Enfermedades raras genéticas endocrinas
10. Enfermedades raras hematológicas
11. Enfermedades raras de la piel
12. Enfermedades raras autoinmunes
13. Investigación clínica y tratamientos
14. Diagnóstico de enfermedades raras.

Fecha: 23 y 24 de noviembre, 2020
Lugar: Estambul, Turquía
Web: https://rarediseases.infectiousconferences.com/
Programa: https://rarediseases.infectiousconferences.com/scientific-program
Precio inscripción: Entre 270 € y 1080 €
Fecha de inscripción con descuento: Antes de febrero del 2020
Fecha límite de inscripción en el Congreso: 23 de noviembre del 2020 **Secretaría Técnica**
Formulario de inscripción: https://rarediseases.infectiousconferences.com/registration.php

Secretaría técnica:
Email: finance@conferenceseries.com / stevenparker@memeetings.net





SERVICIO DE INFORMACIÓN Y ORIENTACIÓN SOBRE ENFERMEDADES RARAS DE FEDER

TIPO: Página web
CATEGORÍA: General
SUBCATEGORÍA: Diagnóstico

DESCRIPCIÓN: FEDER ha puesto a disposición de las personas con enfermedades poco frecuentes en España, una línea de atención gratuita para atender todas las dudas que cualquier persona con diagnóstico o sospecha de él pueda utilizar.

CONTENIDO: Este servicio va destinado tanto a personas como a organismos e instituciones:

- Personas afectadas por una ER codificada.
- Personas afectadas por una ER sin código.
- Personas sin diagnóstico.
- Familiares.
- Asociaciones de FEDER.
- Familias acogedoras de niños afectados por ER.
- Otras Asociaciones.
- Estudiantes.
- Profesionales.
- Organismos relacionados con las ER.

El objetivo del SIO es poder orientar, acompañar e informar a los afectados por enfermedades raras, para evitar el desconocimiento de la enfermedad, el sentimiento de soledad o desamparo tanto por parte de la sociedad como de los especialistas médicos y, mejorar la calidad de vida de los afectados por ER y sus familias facilitando el acceso a información de calidad. Desde el SIO se fomenta la visibilidad y el sentimiento de pertenencia en algún colectivo en contra de la exclusión.

Servicio de Información y Orientación en enfermedades raras:
Email: sio@enfermedades-raras.org
Teléfono: 91-8221725

ENLACE: https://enfermedades-raras.org/index.php/servicio-de-informacion-y-orientacion



APLICACIÓN MÓVIL DE ORPHANET

TIPO: Aplicación
CATEGORÍA: Política y acceso al mercado
SUBCATEGORÍA: Política de medicamentos

DESCRIPCIÓN: Para mejorar la accesibilidad y el conocimiento de las enfermedades raras, Orphanet pone a disposición de los usuarios una aplicación gratuita para descargar en App store. Estará disponible para Iphone / iPad y en seis idiomas: español, alemán, francés, inglés, italiano y portugués.

CONTENIDO: Este recurso cuenta con una base de datos de enfermedades raras, su descripción y los recursos asociados a la misma. Además, puede localizar los datos de contacto de centros de expertos, así como de profesionales. La aplicación cuenta con una "Biblioteca" personalizable por el usuario, donde de una manera intuitiva puede guardar páginas y documentos, seleccionar como "favorito" información de interés a la que poder recurrir y consultar de una manera más ágil, así como hacer anotaciones en algunas de las páginas.

Desde Orphanet recomiendan actualizar la aplicación regularmente con el objetivo de aprovechar al máximo todos los servicios disponibles y acceder a los datos más recientes.

Las principales herramientas que recoge "Orphanet Journal of Rare Diseases", permiten buscar y compartir artículos, realizar búsquedas avanzadas y visualizar detalles, incluyendo resúmenes de los documentos.

REQUISITOS DE LA APLICACIÓN: Compatible con iPhone 3GS, iPhone 4, iPhone 4S, iPhone 5, iPod touch (tercera generación), iPod touch (cuarta generación), iPod touch (quinta generación) y iPad. Requiere iOS 6.0 o posterior. Esta app está optimizada para iPhone 5.

Esta revista podrá ser descargada en formato Pdf desde: www.newsrare.es
La versión interactiva está disponible a través de la APP: *WEBER*
Síguenos en twitter: *@revistanewsRARE*

AKCEA THERAPEUTICS™
ACTELION
A JANSSEN PHARMACEUTICAL COMPANY OF Johnson&Johnson