

PROPUESTAS PARA LA MEJORA DE LA EVALUACIÓN FÁRMACO-ECONÓMICA DE NUEVOS MEDICAMENTOS

Raquel Tárrega López

Lara Tobías Peña

Alfonso Camba Crespo¹

Comisión Nacional de los Mercados y la Competencia (CNMC)

RESUMEN

El presente artículo revisa la situación actual de la evaluación fármaco-económica de los medicamentos innovadores, un aspecto clave para la progresiva mejora de la salud de la población. Partiendo del análisis realizado por la CNMC en 2022, estudiamos, en primer lugar, la evaluación actual de los medicamentos innovadores mediante un análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPTs) publicados desde la introducción de nuevos criterios de evaluación económica en febrero de 2020. En segundo lugar, examinamos las opciones para ajustar adecuadamente dicha evaluación a lo largo del tiempo. Del análisis se concluye, por un lado, que resulta recomendable incrementar los recursos y herramientas para agilizar los plazos de elaboración de los IPTs. Por otro lado, se debe seguir desarrollando y generalizando el sistema de información Valtermed y, además, permitir que esté ampliamente disponible para su aprovechamiento por las distintas administraciones competentes en materia sanitaria.

1. INTRODUCCIÓN

La enorme importancia del sistema sanitario público a nivel individual y colectivo en nuestro país está fuera de toda duda, incluyendo lo que respecta al acceso a los medicamentos. Por eso, la CNMC ha prestado particular atención a este ámbito, publicando dos estudios sobre la materia (CNMC, 2015; y CNMC, 2022) en los que se plantea cuáles podrían ser las mejores normativas para proteger la salud pública, la sostenibilidad del sistema y el interés general. Una de las cuestiones analizadas, en concreto en el estudio CNMC (2022), es cómo llevar a cabo la evaluación fármaco-económica de los medicamentos que se introducen por primera vez en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (SNS), llamados ‘medicamentos innovadores’, protegidos por patente, y, además, en qué medida se podría adoptar un sistema que permita hacer ajustes en dicha valoración cuando sea recomendable, por ejemplo, por ampliación de indicaciones o por alteración de los resultados esperados.

La investigación, desarrollo e introducción de medicamentos innovadores en nuestros sistemas sanitarios es esencial para seguir avanzando en la protección de la salud de la población. Es una cuestión

¹ Raquel Tárrega López: Diplomada Comercial del Estado y Jefa de Servicio en la Subdirección de Estudios e Informes de la CNMC.

Lara Tobías Peña: Técnico Comercial y Economista del Estado y Jefa de Área en la Subdirección de Estudios e Informes de la CNMC.

Alfonso Camba Crespo: Técnico Comercial y Economista del Estado, Doctor en Economía y Subdirector en la Subdirección de Estudios e Informes de la CNMC.

Las opiniones del artículo pertenecen a los autores y no representan necesariamente la posición de la institución en la que trabajan.

clave a nivel individual, más aún en estos momentos en los que caminamos hacia el paradigma de la medicina personalizada, y también a nivel colectivo, ya que una sociedad saludable es vital para lograr altos niveles de bienestar, existiendo, además, una fuerte vinculación entre salud y prosperidad, como ha quedado patente con especial claridad durante la pandemia.

No obstante, la introducción de estos fármacos innovadores no está exenta de retos, muchos de los cuales se encuentran ligados a las particulares características y elevada regulación del ámbito sanitario. En primer lugar, establecer una evaluación fármaco-económica de un medicamento innovador no resulta sencilla: el precio debe cubrir razonablemente los costes de desarrollo y producción, en ocasiones de difícil obtención, y, a la vez, debe evitar cargas excesivas que penalicen innecesariamente la sostenibilidad y capacidad del sistema de salud. Por otro lado, una vez el innovador ha sido evaluado inicialmente e introducido, el incremento de los datos disponibles o la aparición de otros tratamientos, entre otros motivos, pueden hacer aconsejable realizar ajustes en su evaluación fármaco-económica y precio.

Las autoridades sanitarias, buenas conocedoras de estos retos, han estado trabajando para mejorar los procedimientos actuales de valoración inicial y evaluación posterior de los medicamentos innovadores, lo que está dando lugar a avances significativos y debates sobre cómo continuar progresando. En el estudio de la CNMC (2022) se identifica la existencia de un importante margen de mejora, y se aportan una serie de recomendaciones sobre estas dos cuestiones con el objetivo de ayudar a identificar qué reformas podrían ser de utilidad.

A partir de lo anterior, y siguiendo el análisis contenido en el citado estudio de la CNMC (2022), en el presente artículo examinamos, en primer lugar, el estado de situación de la evaluación de los medicamentos innovadores, enfocándonos especialmente en una revisión de los informes de evaluación publicados desde la introducción de nuevos criterios económicos en febrero de 2020. Igualmente, en una segunda parte del artículo, analizamos las opciones para revisar a lo largo del tiempo la evaluación de los medicamentos innovadores para adaptarla a la aparición de nueva información o, en general, a cambios relevantes de circunstancias. Por último, cerramos el artículo con una breve exposición de las conclusiones de nuestro análisis.

2. VALORACIÓN DE LA EVALUACIÓN ECONÓMICA DE LOS MEDICAMENTOS INNOVADORES EN LOS INFORMES DE POSICIONAMIENTO (IPTS)

En 2013, se crearon los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) con el propósito de proporcionar información objetiva sobre la posición de los nuevos medicamentos en el mercado en comparación con otros medicamentos o medidas de salud ya existentes. Aunque los IPTs han sido una referencia en el campo de la salud desde su creación, también se han identificado fórmulas para mejorar su proceso de elaboración y estructura. Una de las principales carencias de los IPTs es la escasez de información que permitiera determinar el valor económico del medicamento y la falta de concreción en cuanto al posicionamiento terapéutico exacto respecto de tratamientos o fármacos comparadores. En 2020, el Ministerio de Sanidad lanzó un [Plan de Acción para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico \(IPTS\)](#), que tenía como objetivo abordar estas carencias. Mediante este plan de acción se incorporaron criterios de evaluación económica en los IPTs, basados en guías nacionales e internacionales² y en la [Guía del Grupo Génesis de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria \(SEFH\)](#) de 2016. Esta guía proporciona recomendaciones para la evaluación de aspectos clave, como los costes, la revisión crítica de evaluaciones económicas publicadas, la selección del tipo de evaluación económica más adecuada, el cálculo del impacto presupuestario y los resultados poblacionales en salud.

La CNMC, en su [Estudio sobre la Distribución Mayorista de Medicamentos](#) en España, concluyó que la metodología propuesta por el Plan de Acción era clara y adecuada, aunque no exenta de problemas. En particular, la propuesta del Plan de Acción para la Consolidación de los IPTs no detalla

² Alemania, Bélgica, Francia, Países Bajos, Reino Unido, Suecia, Canadá o Australia, entre otros.

suficientemente la evaluación económica de medicamentos disruptivos, ni aclara los criterios que se utilizarán en las evaluaciones económicas, ni el contenido que finalmente se incorporará en los IPTs al respecto. Esta falta de información genera dudas sobre la implementación del Plan y sobre la calidad y transparencia de la evaluación económica que se incluirá en los IPTs.

Con el fin de valorar, hasta la fecha, el impacto que ha tenido el Plan de Acción para Consolidación de los IPTs, y en concreto la evaluación económica incluida en dichos informes, hemos revisado todos los informes de posicionamiento terapéutico elaborados desde la publicación del Plan de Ministerio de Sanidad, analizando todas las evaluaciones económicas que han sido incorporadas en los IPTs publicados. Los resultados de esta revisión se muestran a continuación.

2.1. Método

A partir de la aprobación y publicación del Plan de Acción para la Consolidación de Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT), la Red de Evaluación de Medicamentos (REvalMed), encargada de la elaboración de los IPTs de los medicamentos, resolvió incluir un apartado de evaluación económica en determinados IPTs, a modo de “Prueba Piloto” de evaluación económica. La selección de IPTs que incluirían un apartado de evaluación económica se hizo pública a través de las actas de las reuniones del Grupo de Coordinador de REvalMed, publicadas en la página web de la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS).

Desde el 3 de febrero de 2020, fecha en que se aprobó el Plan de Acción para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico, hasta el 28 de febrero de 2023, la AEMPS ha publicado 199 Informes de Posicionamiento Terapéutico de fármacos innovadores. Del total de estos 199 IPTs, tan solo 13 han sido incluidos en la “Prueba Piloto” de evaluación económica. Los IPTs seleccionados para incluir una evaluación económica corresponden a los siguientes medicamentos:

1. Recarbrio® (imipenem/cilastatina/relebactam)³.
2. Tecartus® (células CD3+ autólogas transducidas anti-CD19)⁴.
3. Edistride®/Forxiga® (Dapagliflozina)⁵.
4. Opdivo® (nivolumab)⁶.
5. Enhertu® (trastuzumab deruxtecan)⁷.
6. Tukysa® (tucatinib)⁸.
7. Sogroya® (somapacitan)⁹.
8. Ontozry® (cenobamato)¹⁰.
9. Evrysdi® (risdiplam)¹¹.
10. Tecentriq® (atezolizumab)¹².
11. Adtralza® (tralokinumab)¹³.

³ En el tratamiento de la neumonía adquirida en el hospital/neumonía asociada a ventilación mecánica con o sin bacteriemia y en el tratamiento de infecciones debidas a organismos aerobios Gram-negativos en adultos con opciones de tratamiento limitada.

⁴ En el tratamiento de pacientes con linfoma de células del manto en recaída o refractarios tras dos o más líneas de tratamiento sistémico que incluyan un inhibidor de la tirosina quinasa de Bruton (BTK).

⁵ En el tratamiento de la insuficiencia cardíaca crónica sintomática con fracción de eyección reducida en pacientes adultos.

⁶ En carcinoma de células escamosas de esófago avanzado, recurrente o metastásico irsecable tras una quimioterapia previa de combinación basada en fluoropirimidina y platino.

⁷ En el tratamiento de pacientes adultos con cáncer de mama HER-2 positivo, localmente avanzado o metastásico que han recibido dos o más pautas previas dirigidas a HER2.

⁸ En el tratamiento de pacientes adultos con cáncer de mama HER-2 positivo, localmente avanzado o metastásico.

⁹ En la deficiencia de hormona del crecimiento en adultos.

¹⁰ En el tratamiento concomitante de las crisis de inicio focal con o sin generalización secundaria en adultos con epilepsia que no han sido controlados de forma adecuada a pesar del tratamiento previo con al menos 2 antiepilépticos.

¹¹ En atrofia muscular espinal.

¹² En monoterapia para el tratamiento de primera línea de pacientes adultos con CPNM metastásico.

¹³ En Dermatitis atópica.

12. Evrenzo® (roxadustat)¹⁴.
13. Lorviqua® (lorlatinib)¹⁵.

2.2. Resultados

De los 13 IPTs analizados, tan solo 8 de ellos incluyeron una evaluación económica *ex novo* en el informe de posicionamiento terapéutico. En el resto de los casos (5), o bien no se consideró apropiado hacer una evaluación económica por falta de datos fiables o disponibles, o bien se citaron evaluaciones económicas previas, sin realizar ninguna aportación, o análisis económico nuevo, al respecto. El detalle de la realización de una evaluación económica para cada uno de los fármacos incluidos en la “Prueba Piloto” se muestra en la siguiente tabla 1.

Tabla 1: Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPTs) con Evaluación Económica de medicamentos

Informe de Posicionamiento Terapéutico	Incluye Evaluación Económica	Razón para no realizar una Evaluación Económica
Recarbrio® (imipenem / cilastatin / relebactam)	SÍ	-
Opdivo® (nivolumab)	SÍ	-
Tukysa® (tucatinib)	SÍ	-
Sogroya® (somapacitan)	SÍ	-
Tecentriq® (atezolizumab)	SÍ	-
Adtralza® (tralokinumab)	SÍ	-
Evrenzo® (roxadustat)	SÍ	-
Lorviqua® (lorlatinib)	SÍ	-
Tecartus® (células CD3+ autólogas transducidas anti CD-19)	NO	Ausencia de Datos
Edistride®/Forxiga® (dapagliflozina)	NO	Evaluación Económica Previa
Enhertu® (trastuzumab deruxtecan)	NO	Ausencia de Datos
Ontozry® (cenobamato)	NO	Evaluación Económica Previa
Evrysdi® (risdiplam)	NO	Ausencia de Datos

Fuente: Resumen de las reuniones del Grupo Coordinador de REValMed, de febrero de 2020 a febrero de 2023 e IPTs publicados por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

Cabe destacar, no obstante, que la ausencia de datos fiables o disponibles para la realización de una evaluación económica, en el caso de los medicamentos Tecartus® y Enhertu®, podría deberse a la Fase temprana de ensayo en la que se encontraban ambos medicamentos. Los datos facilitados por el laboratorio para la elaboración del IPT eran de Fase II, es decir, carecían de los datos de Fase III del ensayo clínico. Ello podría dar lugar, bien a una falta de datos fiables o comparables para realizar una correcta evaluación económica, bien a una elevada incertidumbre de los resultados, de forma que no fuera posible realizar una evaluación económica robusta.

En el caso de Tecartus®, por ejemplo, el propio IPT hace referencia a la falta de evidencia sobre la eficiencia del fármaco:

"En relación con la evaluación económica, la ausencia de datos fiables que puedan ser incorporados como medidas de efecto en un análisis coste-efectividad, nos impiden poder generar evidencia certera sobre la eficiencia del producto frente a los tratamientos actuales."

Asimismo, en el caso de Enhertu®, el IPT subraya la ausencia de datos disponibles para realizar comparaciones debido a que el fármaco tan solo había realizado una Fase II de ensayo:

¹⁴ En anemia sintomática asociada a enfermedad renal crónica.

¹⁵ En cáncer de pulmón no microcítico ALK positivo en primera línea.

"Dado que es un ensayo Fase II parcialmente inmaduro, de un solo brazo, no se considera apropiado realizar una evaluación económica (coste efectividad o coste utilidad), debido a la ausencia de comparaciones directas y la imposibilidad de hacer comparaciones indirectas, que obligarían a adoptar asunciones que incrementarían la incertidumbre de los resultados."

En cuanto a los medicamentos Edistride®/Forxiga® y Ontozry®, la razón por la que no se incluyeron evaluaciones económicas nuevas en los IPTs fue por la existencia de evaluaciones económicas previas que ya habían sido publicadas con anterioridad. Sin embargo, si bien en el caso del IPT de Edistride®/Forxiga® sí se realizó un análisis crítico de las evaluaciones económicas publicadas, tal y como se preveía en el Plan de Acción para la Consolidación de los IPTs, en el caso de Ontozry® no se realiza análisis crítico alguno de la/s evaluación/es económicas anteriores, ni se explican las razones por las que se ha decidido no realizar una evaluación económica propia. Es decir, el IPT no explica por qué el hecho de tener una evaluación económica anterior es razón suficiente para no realizar una nueva evaluación económica propia del fármaco, ni tampoco se dan pautas sobre en qué casos las evaluaciones económicas anteriores son suficientemente rigurosas y completas como para apoyarse en ellas sin tener que realizar evaluaciones económicas nuevas.

En relación con los 8 IPTs (de los 13) que sí incluyeron una evaluación económica propia (o nueva) del fármaco, la evaluación económica realizada no fue homogénea. Así, en 3 de los IPTs se incluyó un análisis de minimización de costes (“AMC”), en otros 3 IPTs un análisis de Coste-Utilidad, en un IPT se realizó un análisis Coste-Efectividad del medicamento, mientras que en el último IPT se incorporaron dos tipos de análisis de evaluación económica (un análisis de Coste-Efectividad y otro de minimización de costes).

En la tabla 2 siguiente se detalla qué tipo de análisis económico se incluyó en cada uno de los IPTs:

Tabla 2: Análisis de Evaluación Económica incluidos en IPTs

Informe de Posicionamiento Terapéutico	Tipo de Evaluación Económica
Recarbrio® (imipenem / cilastatin / relebactam)	Análisis de Coste-Efectividad y Análisis de Minimización de Costes (AMC)
Opdivo® (nivolumab)	Análisis de Coste-Utilidad
Tukysa® (tucatinib)	Análisis de Coste-Utilidad
Sogroya® (somapacitan)	Análisis de Minimización de Coste (AMC)
Tecentriq® (atezolizumab)	Análisis de Coste-Utilidad
Adtralza® (tralokinumab)	Análisis de Minimización de Coste (AMC)
Evrenzo® (roxadustat)	Análisis de Minimización de Coste (AMC)
Lorviqua® (lorlatinib)	Análisis de Coste Efectividad

Fuente: Resumen de las reuniones del Grupo Coordinador de REvalMed, de febrero de 2020 a febrero de 2023, e IPTs publicados por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

En aquellos IPTs donde la evaluación económica incluida se limitó a la elaboración de un Análisis de Minimización de Costes (“AMC”) se justificó la falta de una evaluación económica de acuerdo con otros modelos, tales como un análisis de Coste-Utilidad o Coste-Efectividad, en la ausencia valor terapéutico añadido por parte del medicamento que se evaluaba. En otras palabras, el IPT concluía que no existía un valor terapéutico añadido de estos fármacos respecto a sus alternativas disponibles en el mercado, de modo que se optó por comparar los costes de las alternativas, en vez de realizar una evaluación económica nueva del fármaco, para posicionar de forma preferente el medicamento que generara un menor coste.

Por el contrario, en los IPTs donde se incluyó una evaluación económica propia basada en modelos de Coste-Utilidad (en concreto mediante el modelo “partitioned survival”) o Coste-Efectividad,

no se ha encontrado discusión alguna sobre el porqué se seleccionó una metodología de análisis frente a otra. Es decir, ninguno de los IPTs analizados incluye justificación para la elección del método de análisis más allá de decir que “de acuerdo con los resultados de la evaluación farmacoterapéutica, se ha realizado un análisis de coste-utilidad” o que se ha llevado a cabo un análisis de Coste-Efectividad.

En suma, parece que la implementación del Plan de Acción para la Consolidación de los IPTs ha sido limitada y heterogénea hasta la fecha. No solo el número total de IPTs que han incorporado un apartado de evaluación económica es reducido (13), sino que de esos 13 tan solo 8 han incorporado un análisis económico *ex novo*. En los 5 IPTs restantes, o bien se han citado análisis económicos externos y anteriores, sin justificar la falta de análisis económico propio, ni incluir un análisis crítico de la evaluación económica realizada por terceros, o bien no se ha incluido ningún análisis económico. Por otro lado, la metodología de análisis económico utilizada en los IPTs que sí han incluido una evaluación económica propia no ha sido adecuadamente justificada.

Por todo ello, y pese a los avances realizados, tras la revisión de los IPTs realizada y en línea con la recomendación de la CNMC incluida en el citado Estudio de Distribución Mayorista de Medicamentos, se considera que sería necesario seguir progresando en el desarrollo ulterior de la evaluación económica de los fármacos, con el fin de incorporar criterios objetivos sobre la metodología a utilizar, discutir los métodos alternativos, clarificar cuándo es necesario realizar un análisis económico nuevo o en qué casos la existencia de evaluaciones económicas anteriores es suficiente, así como explicar cómo realizar una evaluación económica cuando la evidencia disponible sea escasa, o no existan comparadores válidos. Todo ello en aras de una mayor transparencia y homogeneidad de los análisis. Asimismo, es necesario incrementar el número de IPTs que incorporan un apartado de evaluación económica, dado que este tipo de evaluación se ha incluido solamente en 13 IPTs hasta la fecha, correspondiendo al 6,5% del total de IPTs publicados desde la aprobación del Plan de Acción del Ministerio de Sanidad.

Por último, es necesario destacar el tiempo de elaboración de los IPTs que fueron incluidos en la “Prueba Piloto” de evaluación económica. En la siguiente tabla 3 se incluye el tiempo de elaboración para cada uno de los 13 IPTs analizados. Para ello, se han revisado todas las actas de las reuniones del Grupo Coordinador de REvalMed de cara a determinar en qué fecha se aprobó la elaboración de cada uno de los IPTs incluidos en la “Prueba Piloto”, tomando como fecha de finalización de los IPTs el día de su publicación.

Tabla 3: Tiempo de Elaboración de los IPTs incluidos en la “Prueba Piloto”

Informes de Posicionamiento Terapéutico	Fecha de Inicio	Fecha publicación	Días
Recarbrio® (imipenem / cilastatin / relebactam)	17/11/2020	11/07/2022	601
Tecartus® (células CD3+ autólogas transducidas anti CD-19)	17/11/2020	29/06/2022	589
Edistride®/Forxiga® (dapagliflozina)	17/11/2020	24/02/2022	464
Opdivo® (nivolumab)	17/11/2020	28/03/2022	496
Enhertu® (trastuzumab deruxtecan)	15/12/2020	07/07/2022	569
Tukysa® (tucatinib)	15/12/2020	29/06/2022	561
Sogroya® (somapacitan)	04/02/2021	28/03/2022	417
Ontozry® (cenobamato)	04/02/2021	24/10/2022	627
Evrysdi® (risdiplam)	04/03/2021	07/03/2022	368
Tecentriq® (atezolizumab)	08/04/2021	29/06/2022	447
Adtralza® (tralokinumab)	29/04/2021	05/07/2022	432
Evrenzo® (roxadustat)	30/06/2021	24/10/2022	481
Lorviqua® (lorlatinib)	21/12/2021	27/10/2022	310

Fuente: Resumen de las reuniones del Grupo Coordinador de REvalMed, de febrero de 2020 a febrero de 2023, e IPTs publicados por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

Tal y como muestra la tabla anterior, el tiempo de elaboración de los IPTs analizados ha sido de 310 a 627 días. Teniendo en cuenta que, en teoría, el tiempo de elaboración de los IPTs debería ser de 3 meses y que uno de los objetivos del Plan de Acción para la Consolidación de los IPTs del Ministerio de Sanidad es la reducción del tiempo total de elaboración de los IPTs, parece razonable concluir que el plazo de elaboración de estos IPTs se ha dilatado significativamente. En este sentido, la CNMC recomienda apoyar la agilización de la elaboración de los IPTs, ya sea mediante la adición de recursos o nuevas herramientas de análisis, de manera que los IPTs puedan elaborarse en un plazo razonable y los fármacos puedan llegar de forma más rápida a los pacientes. Recordemos que los IPTs se utilizan para la toma de decisión de financiación y precio de los medicamentos, siendo su publicación necesaria para poder decidir sobre la inclusión del fármaco, o no, en la cartera común de medicamentos del Sistema Nacional de Salud y, con ello, llegar a los pacientes a través de su prescripción por parte de los profesionales sanitarios y centros de salud.

3. LA EVALUACIÓN TERAPÉUTICA Y ECONÓMICA DE LOS MEDICAMENTOS INNOVADORES A LO LARGO DEL TIEMPO

Uno de los ámbitos de mejora identificados en el estudio de la CNMC es la evaluación terapéutica y económica de los medicamentos innovadores a lo largo del tiempo. Actualmente, el principal instrumento de evaluación de estos medicamentos, una vez han sido comercializados, son los ensayos clínicos en fase IV o Estudios de Seguimiento o post-comercialización. Se trata de estudios realizados en gran parte por los laboratorios farmacéuticos, en los que se examinan los efectos a largo plazo de determinados medicamentos. Su particularidad, a diferencia de las fases anteriores de los ensayos clínicos, es que la muestra de población sobre la que se recogen datos es muy superior, por lo que permiten obtener información más próxima a la efectividad a nivel general, identificando beneficios, efectos adversos o interacciones con otros medicamentos no observados en fases anteriores, así como evaluar su desempeño a lo largo del tiempo. Sin embargo, en su gran mayoría siguen siendo análisis realizados sobre una muestra de población y de medicamentos y por parte del mismo laboratorio que los comercializa.

La principal fuente de datos sobre la efectividad de los medicamentos en la práctica real no es otro que la propia práctica clínica de los profesionales sanitarios recogida en las historias clínicas de los pacientes. La cantidad de información con la que cuenta el Sistema Nacional de Salud (SNS), a través de las historias clínicas de los pacientes, es de tal magnitud y de tal calidad que el SNS podría realizar sus propias evaluaciones, en solitario o en colaboración con la academia. Para ello, es necesario recopilar la información de manera sistemática y ordenada, mediante sistemas estandarizados y automatizados, que permitieran la construcción de sólidas bases de datos, con información estructurada y explotable. Sin embargo, todavía queda camino por recorrer.

La principal iniciativa en este sentido es Valtermed, un sistema de información del SNS lanzado en 2019 para medir los resultados en salud de los medicamentos de alto impacto sanitario y económico en la práctica clínica real. A fecha de marzo de 2023, incluye datos de 15 protocolos fármaco-clínicos, correspondientes a 15 fármacos o combinaciones de fármacos, aunque su vocación es incorporar más con el tiempo. Consiste en un registro donde los médicos y farmacéuticos de los hospitales del SNS vuelcan datos de carácter administrativo, clínico y terapéutico sobre el estado inicial y la evolución de un paciente tras iniciar un tratamiento farmacológico con alguno de los medicamentos incluidos. Es una herramienta de enorme potencial, pero con un alcance todavía muy limitado. Además, es una base de datos estanca, donde los hospitales solo tienen acceso a sus propios datos, las CC.AA. a los datos de toda su comunidad, pero no a los de otras, y el Estado a toda la información.

La construcción de bases de datos sólidas (donde Valtermed, aunque insuficiente, es un buen primer paso) y el uso de las herramientas del *big data* por parte de la Administración son imprescindibles para generar datos económicos y de efectividad terapéutica de los medicamentos con los que tomar mejores decisiones en términos de tratamiento, financiación y precio, colaborando en proporcionar una asistencia sanitaria de mayor calidad a los pacientes y a la vez apoyando la sostenibilidad del SNS. Estas

decisiones deberían reevaluarse periódicamente en base a datos de efectividad reales, pues no siempre se corresponden con los observados durante los ensayos clínicos.

Disponer de información en cantidad y calidad suficiente, así como de las herramientas humanas y tecnológicas necesarias para explotarla, reportaría enormes ventajas para el SNS:

- Mejoraría la toma de decisiones de financiación y precio de medicamentos innovadores al permitir reevaluarlas de forma continua en el tiempo, allanando las negociaciones en caso de resultados clínicos, en términos terapéuticos y/o económicos, distintos respecto a los resultados de los ensayos. Es decir, posibilitaría la introducción de precios dinámicos, que varíasen a lo largo del tiempo según la efectividad terapéutica real.
- Facilitaría la práctica clínica, permitiendo ajustar los criterios de inicio o suspensión de la medicación, introducir mecanismos de ajuste de tratamiento o criterios de sustitución de un medicamento por otro más efectivo cuando la efectividad en determinados pacientes o subgrupos de población no sea la esperada.
- Favorecería la negociación, aplicación y seguimiento de acuerdos de riesgo compartido, en los que el SNS y el laboratorio comercializador se reparten el riesgo asociado a los medicamentos innovadores y de gran impacto presupuestario. Estos acuerdos pueden adoptar la forma de un esquema de pagos por resultado, cuando existe incertidumbre respecto a la efectividad del medicamento; o de acuerdos de precio-volumen, de techo de gasto, o una combinación de ellos, cuando la incertidumbre afecta al presupuesto o al número de pacientes a tratar. La información juega un papel crucial en estos acuerdos, cuyas condiciones pueden modificarse a lo largo del tiempo.

La importancia del desarrollo de bases de datos y el uso de las herramientas de *big data* se refleja también en iniciativas a nivel europeo, como la red DARWIN EU, lanzada por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) en 2022. DARWIN EU, que previsiblemente estará plenamente operativa en 2024, pretende ser una red federada de bases de datos, que dé apoyo a la Red Europea de Regulación del Medicamento (compuesta por las autoridades nacionales competentes de los Estados Miembros de la UE, la EMA y la Comisión Europea), dándole acceso a los resultados del análisis de bases de datos sanitarias reales de toda la UE para así apoyar la toma de decisiones durante el ciclo de vida del medicamento.

Igualmente, es relevante que continúen desarrollando las acciones que se contemplan en la Estrategia de Salud Digital del Sistema Nacional de Salud 2021-2026¹⁶ que impulsan el Ministerio de Sanidad y las Comunidades Autónomas en cuanto al establecimiento de un Espacio de Datos de Salud sobre el que se aplicarían herramientas de análisis masivo de los datos y de Inteligencia artificial. Este Espacio de Datos de Salud, permitirá un uso secundario de los datos bajo las estrictas condiciones que determine el Reglamento del Espacio de Datos de Salud europeo, en discusión en estos momentos.

En este marco, la CNMC recomienda continuar desarrollando Valtermed, generalizando su uso y aporte de información para un elevado número de medicamentos innovadores, integrando la información de la base de datos con la contenida en las historias clínicas de los pacientes y permitiendo su retroalimentación automática, de forma que los datos comunes se muestren simultáneamente en las bases de datos e historias clínicas. De este modo, se facilitaría la labor de los clínicos, tanto en la recogida y subida de datos, como en su consulta, elemento esencial para garantizar el éxito de la iniciativa. Asimismo, se recomienda que las administraciones competentes (Ministerio, AEMPS y CC.AA.) y los profesionales de la salud tengan acceso a toda la información incluida en Valtermed, eliminando las barreras existentes en la actualidad. En cuanto al acceso a la información, debería respetar las normativas de protección de datos y, especialmente, la confidencialidad de la información asociada a los pacientes mediante su anonimización o agregación. Todo ello permitiría, entre otros, reconocer problemas en la

¹⁶ La Estrategia de Salud Digital 2021 – 2026 se encuentra disponible en:
https://www.sanidad.gob.es/ciudadanos/pdf/Estrategia_de_Salud_Digital_del_SNS.pdf

práctica clínica *ex-ante*, identificar subgrupos clínicos con menor o mayor efectividad o caracterizar la incertidumbre o el resultado a largo plazo de los tratamientos por tipo de paciente. Sin embargo, para ello sería necesario avanzar en la integración y normalización de los sistemas de salud de las distintas CC.AA., aspecto en el que actualmente tanto el Ministerio de Sanidad como las comunidades autónomas se encuentran trabajando con la constitución de la Oficina del Dato del SNS.

4. CONCLUSIONES

El presente artículo revisa la situación actual de la evaluación fármaco-económica de los medicamentos innovadores. En primer lugar, estudiamos su evaluación inicial a partir de un análisis de la parte económica de los IPTs publicados desde la introducción de nuevos criterios de evaluación económica en febrero de 2020. En segundo lugar, examinamos las opciones para ajustar dicha evaluación a lo largo del tiempo según varíen las circunstancias o aumente la información sobre el innovador en cuestión.

Del análisis efectuado se pueden concluir, en primer lugar, que resulta recomendable agilizar los plazos de elaboración de los IPTs, en línea con lo propuesto por la CNMC (2022), con el objetivo de lograr que los nuevos medicamentos lleguen rápidamente a los pacientes. A tal fin, se debe considerar la adición de recursos o de nuevas herramientas de análisis. Asimismo, debe realizarse un mayor esfuerzo en términos de transparencia y homogeneidad de la evaluación económica incluida en los IPTs. En segundo lugar, y de nuevo de forma coherente con el informe de la CNMC (2022), es importante seguir progresando con el desarrollo de Valtermed y que se adopte de forma generalizada para el grueso de los medicamentos innovadores. Además, sería positivo que las administraciones competentes (Ministerio de Sanidad, AEMPS y Comunidades Autónomas) sigan trabajando en el Espacio de Datos de Salud, que recoja, entre otros aspectos, información clínica y de medicamentos, para establecer así un sistema de uso secundario de los datos que permita un acceso y análisis adecuado en lo que respecta a la información sobre medicamentos innovadores y sus resultados en la vida real, siempre respetando los imprescindibles criterios de privacidad de los pacientes.

5. BIBLIOGRAFÍA

- CNMC (2015) ‘Estudio sobre el Mercado de Distribución Minorista de Medicamentos en España’, Colección Estudios de Mercado, E/CNMC/003/15, Madrid.
- CNMC (2022) ‘Estudio sobre el mercado de distribución mayorista de medicamentos’, Colección Estudios de Mercado E/CNMC/002/17, Madrid.
- Génesis (Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria) (2016) ‘Guía de Evaluación económica e impacto presupuestario en los informes de evaluación de medicamentos’.
- Ministerio de Sanidad (2019). Preguntas y respuestas frecuentes sobre el sistema de información para determinar el valor terapéutico en la práctica clínica real de los medicamentos de alto impacto sanitario y económico en el Sistema Nacional de Salud (VALTERMED).
- Ministerio de Sanidad (2020) ‘Plan para la Consolidación de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de los medicamentos en el Sistema Nacional de Salud’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Recarbrio® (imipenem/cilastatina/relebactam) en el tratamiento de la neumonía adquirida en el hospital/neumonía asociada a ventilación mecánica con o sin bacteriemia y en el tratamiento de infecciones debidas a organismos aerobios Gram-negativos en adultos con opciones de tratamiento limitada’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Tecartus® (células CD3+ autólogas transducidas anti-CD19) en el tratamiento de pacientes con linfoma de células del manto en recaída o refractarios tras dos o más líneas de tratamiento sistémico que incluyan un inhibidor de la tirosina quinasa de Bruton (BTK)’.

- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Edistride®/Forxiga® (Dapagliflozina en el tratamiento de la insuficiencia cardiaca crónica sintomática con fracción de eyección reducida en pacientes adultos’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Opdivo® (nivolumab) en carcinoma de células escamosas de esófago avanzado, recurrente o metastásico irreseccable tras una quimioterapia previa de combinación basada en fluoropirimidina y platino’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Enhertu® (trastuzumab deruxtecan) en carcinoma de células escamosas de esófago avanzado, recurrente o metastásico irreseccable tras una quimioterapia previa de combinación basada en fluoropirimidina y platino’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Tukysa® (tucatinib) en el tratamiento de pacientes adultos con cáncer de mama HER-2 positivo, localmente avanzado o metastásico’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Sogroya® (somapacitan) en el tratamiento de pacientes adultos con cáncer de mama HER-2 positivo, localmente avanzado o metastásico’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Ontozry® (cenobamato) en el tratamiento concomitante de las crisis de inicio focal con o sin generalización secundaria en adultos con epilepsia que no han sido controlados de forma adecuada a pesar del tratamiento previo con al menos 2 antiepilépticos’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Evrysdi® (risdiplam) en atrofia muscular espinal’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Tecentriq® (atezolizumab) en atrofia muscular espinal’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Adtralza® (tralokinumab) en Dermatitis atópica’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Evrenzo® (roxadustat) en anemia sintomática asociada a enfermedad renal crónica’.
- Ministerio de Sanidad (2022), Red de Evaluación de Medicamentos SNS (REvalMed) ‘Informe de Posicionamiento Terapéutico de Lorviqua® (lorlatinib) en cáncer de pulmón no microcítico ALK positivo en primera línea’.