

Sección: FARMACOECONOMÍA

Título: ANÁLISIS DE LOS RESULTADOS

ANGEL SANZ GRANDA

Consultor de farmacoeconomía

(E-mail: asanzgranda@jazzfree.com)

El aspecto fundamental en toda la evaluación económica es el resultado obtenido después de la aplicación de unos recursos. El tipo de unidad de medición y, principalmente, la calidad de los datos obtenidos marcarán la evaluación farmacoeconómica realizada. Para adaptarse más a la realidad, así como para poder comparar programas heterogéneos de salud se ha recurrido al desarrollo de un concepto que agrupe en uno sólo, la percepción de cantidad y calidad de vida, esto es la Calidad de Vida Relacionada con la Salud.

La comparación económica de dos fármacos exige inexorablemente el análisis de los resultados ofrecidos por cada uno, para que a partir de esos datos, se establezca el coste por cada unidad de resultado. Incluso la legislación española¹ al especificar las normas para la selección de los medicamentos, a efectos de su financiación por el Sistema Nacional de Salud, indica que la comparación entre dos especialidades farmacéuticas, en función del coste del tratamiento, se realizará entre las que tengan efecto terapéutico equivalente. Y en otro apartado completa la idea expresando que para evaluar dicho efecto terapéutico se tendrán en cuenta las indicaciones y los efectos secundarios de cada medicamento.

Medición de los resultados

Existen tres tipos posibles de medidas de *outcome* o resultado:

- No monetarias naturales, como son las medidas clínicas habituales
- no monetarias, tales como años de vida ajustados a calidad (AVAC)
- monetarias, es decir, unidades dinerarias

Esta medida del resultado obtenido marca la clase de evaluación farmacoeconómica que se realizará (Tabla 1).

En el tipo más frecuente, el análisis coste efectividad² (ACE) se emplean desde las medidas intermedias utilizadas de forma usual en la práctica cotidiana tales como disminución de la tasa de colesterol plasmático total o sus fracciones, reducción de los mm de Hg de presión arterial,

hasta otras más elaboradas como el porcentaje de éxito terapéutico conseguido después de un tratamiento aplicado, o el número de días sin sintomatología en el transcurso de una enfermedad crónica, o el número de casos de una enfermedad prevenidos mediante una vacunación.

Medida del resultado	Evaluación
Clínica habitual	Coste - efectividad
Mixta de cantidad y calidad de vida	Coste - utilidad
Monetaria	Coste - beneficio
Equivalencia demostrada	Minimización de costes

Tabla 1.- Distintas medidas de expresión de los resultados y su equivalencia con el tipo de evaluación farmacoeconómica.

Resulta curioso observar que el tipo de resultado medido en los estudios farmacoeconómicos, varía en función de la patología estudiada² (Tabla 2)

Infecciosas	Cáncer	A. Circulatorio	A. Digestivo
Casos prevenidos	Años de vida ganados	Años de vida ganados	Casos prevenidos
Intermedios	AVAC	Intermedios	Intermedios

Tabla 2.- Resultados más frecuentemente utilizados en función de la patología estudiada². (AVAC = años de vida ajustados a calidad)

El análisis coste-utilidad (ACU) es el método más preconizado en la actualidad, habiéndose concluido recientemente por un panel de expertos del Servicio de Salud Pública de EE.UU.³ que la forma estándar de un ACE debería ser el ACU, el cual estima como resultado el número de años de vida ajustados a calidad (AVAC). Este nuevo tipo de medida de resultado combina, en una sola, las características de cantidad y calidad de vida obtenidos mediante la aplicación de una alternativa terapéutica al paciente.

Por último, el análisis coste - beneficio (ACB), propone como medida del efecto conseguido, la unidad monetaria, es decir, valora en unidades dinerarias el resultado alcanzado en una estrategia definida. Una forma de aplicación relativamente nueva es la de medir los resultados mediante la aplicación de del método de disposición a pagar, a través del cual se valora qué cantidad de dinero estaría la persona dispuesta a ofrecer por evitar un problema dado. Dicha forma de proceder se ha establecido para la obtención de valores relativos al soslayar algún problema en la

otitis media aguda⁴ o en la intervención quirúrgica de cataratas⁵.

Obtención de los resultados

Los resultados terapéuticos de las alternativas terapéuticas que entran a formar parte de una evaluación farmacoeconómica se pueden obtener de forma prospectiva o retrospectiva. Una forma alternativa de obtención de resultados, cuando no se dispone de estudios previos realizados o no concuerdan con los objetivos de la evaluación que se desea realizar, es mediante la aplicación de modelos.

El método ideal consiste en el desarrollo de un estudio *prospectivo* diseñado específicamente para este tipo de evaluación, en donde se identifique con certeza el tipo de resultado a obtener, y pueda éste determinarse en todos y cada uno de los pacientes integrantes del estudio, como se verá en algún capítulo posterior.

Estudios experimentales u observacionales

De forma *retrospectiva* se pueden obtener los resultados a partir de dos fuentes principales: los ensayos clínicos experimentales y los estudios observacionales. Ambas formas conllevan ventajas e inconvenientes, derivadas de la naturaleza de las dos clases de estudios^{6,7}. La diferencia principal entre ambos se halla en la validez de los resultados: el ensayo clínico experimental es controlado y randomizado y llevado a cabo mediante un estricto y riguroso control, lo que le hace tener un alto grado de validez interna, o seguridad en las conclusiones obtenidas, a la vez que un bajo grado de validez externa, o de generalización de los resultados.

La eficacia puede definirse como el comportamiento de un tratamiento en circunstancias ideales y controladas. Los estudios experimentales responden a la pregunta acerca de la diferencia entre seguridad y eficacia entre dos tratamientos, A y B, en condiciones óptimas (Tabla 3). La efectividad se refiere al comportamiento de un tratamiento bajo circunstancias habituales o del mundo real, con lo que sacrifican validez interna a expensas de aumentar la externa.

Otro problema de los estudios experimentales es que los *end points* medidos en los mismos pueden ser resultados no relevantes en la evaluación farmacoeconómica. Así la variación de las distintas fracciones de colesterol plasmático pueden tener interés en la determinación de la eficacia de los hipocolesteremiantes, mientras que en farmacoeconomía el resultado más relevante sería el de años de vida ganados o AVAC.

Estudios experimentales	Estudios observacionales
Alta validez interna	Baja validez interna
Baja validez externa	Alta validez externa
<i>End points</i> intermedios	<i>End points</i> finales
Control a corto plazo	Control a mayor plazo
Criterios de participación	Admiten cualquier paciente
Cumplimiento terapéutico estricto	Cumplimiento terapéutico real
Posología invariable	Posología variable
Duración fija del tratamiento	Duración variable del tratamiento

Tabla 3.- Diferencias principales observadas entre los estudios experimentales (búsqueda de la eficacia) y los observacionales (búsqueda de la efectividad)

Otros medios

Los *meta análisis*⁸ son una herramienta muy adecuada para la obtención de resultados, especialmente cuando los estudios de donde parte el mismo, poseen un tamaño de muestra pequeño. Habría que tener muy en cuenta la posible desviación que pudieran conllevar, por ejemplo, por tratarse de resultados clínicos que fueran específicos de un territorio o población determinado, o por desviación en los criterios de inclusión de estudios. Igualmente no deberían tenerse en cuenta meta análisis que combinaran estudios muy heterogéneos.

Las *bases de datos* podrían ser elementos de estudio muy adecuados si se pudieran relacionar diagnósticos con pacientes y tratamientos. Las actualmente existentes obvian generalmente el diagnóstico por lo que con ellas sólo se pueden realizar estudios de consumos, los cuales tienen escaso interés en evaluación farmacoeconómica.

Los *paneles de expertos* es una técnica muy adecuada cuando hay poca o ninguna información publicada en un tema concreto. Si bien presentan grandes ventajas, pueden tener una gran desviación en las respuestas, dada la probabilidad de responder sobre los aspectos ideales (más que los habituales) del tratamiento.

Calidad de vida y salud

El objetivo de cualquier programa de salud es la prevención o restablecimiento de la misma, entendiéndose ésta no sólo como ausencia de enfermedad, sino como un estado completo de bienestar físico, mental y social. La calidad de vida incluye, además del estado de salud, el de la economía, la educación, el ambiente en que se mueve el paciente, etc, factores todos ellos que concluyen en un objetivo: el bienestar del paciente, por lo que no sólo es preciso que el paciente esté sano, sino que disponga de bienestar.

Se hace preciso entonces agrupar estos dos conceptos en uno sólo, y de ahí surge el término de *Calidad de Vida Relacionada con la Salud* (CVRS) que representa la duración de la vida modulado por el grado de bienestar que provoca un tratamiento o patología concreta. Podemos ver claramente este abstracto concepto cuando evaluamos el tratamiento farmacológico de un determinado tipo de cáncer: el grado de bienestar originado por un tratamiento que provoca una mayor supervivencia de un paciente, puede ser menor que el conseguido por otro tratamiento que, aunque el tiempo de supervivencia alcanzado es menor, el bienestar del paciente es mayor, e incluso preferido a aquél, es decir, puede preferir un estado mayor de bienestar durante un corto tiempo que una peor calidad de vida, prolongada durante más tiempo.

Medición de la CVRS

El objetivo final de todo lo expuesto consiste en la adecuada cuantificación de la calidad de vida y la salud, lo que se consigue mediante el uso de los Años de Vida Ajustados a Calidad (AVAC). Para realizar la medición de la CVRS se dispone de distintas técnicas^{9,10} llamadas *instrumentos* y que consisten fundamentalmente en cuestionarios en donde se evalúa el estado del paciente a distintos tiempos, observándose así sus variaciones (Tabla 4).

Instrumentos		
Genéricos	Perfiles de salud	Short-Form (SF-36) Nottingham Health Profile Sickness Impact Profile Darmouth Primary COOP Charts
	Medidas de utilidad	Escala de calidad de bienestar Indice de utilidades de salud EuroQol
Específicos		

Tabla 4.-Distintos tipos de instrumentos de medición de calidad de vida relacionada con la salud (CVRS)

Bibliografía

- 1.- Real decreto 83/1.993 de 22 de Enero, B.O.E. nº 43 de 19 de Enero de 1.993; 5.292-5.295
- 2.- Annell A, Norinder A, Health outcome measures used in cost-effectiveness studies: a review of original articles published between 1.986 and 1.996, health Policy, 2.000; 51; 87-99 (10/9)

- 3.- Siegel J, Weinstein M, Russell L, Gold M, Recommendations for reporting cost-effectiveness analysis. JAMA, 1.996; 276: 1.339-1.341
- 4.- Sorum P, Measuring patient preferences by willingness to pay to avoid: the case of acute otitis media. Med Decis making 1.999; 19; 27-37
- 5.- Bishai D, Lang H, The willingness to pay for reduction: the disutility of queues for cataract surgery in Canada, Denmark and Spain. J Health Economics, 2.000; 19: 219-230
- 6.- Drummond M, Experimental versus observacional data in the economic evaluation of pharmaceuticals. Med Decis Making, 1.998; 18(2)Suppl: S12-S18 (5/12)
- 7.- Revicki D, Frank L, Pharmacoeconomic evaluation in the real world: Effectiveness versus efficacy studies. Pharmacoeconomics, 1.999; 15(5): 423-434 (8/34)
- 8.- Nuijten M The selection of data sources for use in modelling studies. Pharmacoeconomics, 1.998; 12(3): 305-316 (7/30)
- 9.- Conos S, Rao S, Keininger D, Hays R, A comparative review of generic quality of life instruments. Pharmacoeconomics, 2.000; 17(1):13-35 (10/26)
- 10.- Green C, Brazier J, Deverill M, Valuing health related quality of life. A review of health state valuation techniques. Pharmacoeconomics, 2.000; 17(2): 151-165 (10/27)