

ESTANDARIZACIÓN EN EL DISEÑO Y REALIZACIÓN DE EVALUACIONES ECONÓMICAS: RECOMENDACIONES Y GUÍAS EXISTENTES

*Cuanto más grandes somos en humildad,
tanto más cerca estamos de la grandeza.*

Rabindranath Tagore

La evaluación económica de medicamentos y tecnologías sanitarias es una disciplina relativamente nueva, donde confluyen metodologías llegadas de distintas áreas de conocimiento (medicina, farmacia, epidemiología, estadística, psicometría, economía, etc.). Por este motivo, durante un tiempo la metodología y las reglas empleadas en su elaboración y realización han sido un tanto heterogéneas y anárquicas, dado que cada investigador empleaba diferentes criterios y seguía distintas recomendaciones a la hora de diseñar, poner en marcha y analizar las evaluaciones económicas.

La consecuencia más inmediata de esta falta de armonización a la hora de elaborar y efectuar estos análisis ha sido durante mucho tiempo la falta de credibilidad y relevancia de los resultados de estos estudios para los profesionales sanitarios y otros decisores, dado que han sido percibidos como poco objetivos y transparentes al considerarse que faltaba rigor científico en su realización (1,2). Pero, además, esta falta de homogeneidad en su diseño ha motivado que durante años haya sido muy difícil poder comparar los resultados de distintas evaluaciones económicas entre sí, lo que incluso ha complicado más las cosas a los decisores cuando han querido utilizar los resultados de estos estudios para la toma de decisiones (3).

Por estos motivos, poco a poco surgió la necesidad de estandarizar la elaboración, realización y análisis de las evaluaciones económicas, en un intento por disminuir al máximo las discrepancias en los criterios y metodologías empleadas en su diseño, lo que ayudaría a incrementar la objetividad, transparencia y el rigor científico en su realización, paso imprescindible para aumentar su validez, credibilidad y relevancia para los profesionales sanitarios y otros decisores (4,5).

Al final, la estandarización va a establecer unas recomendaciones o directrices que permitan homogeneizar los procedimientos y métodos a emplear en el diseño y puesta en marcha de estos estudios, con el fin último de incrementar la calidad, validez y credibilidad de sus resultados, así como lograr que los resultados de distintas evaluaciones económicas puedan ser comparados entre sí.

**Recomendaciones a seguir
en la elaboración, realización y análisis
de las evaluaciones económicas:
estandarización del proceso**

En la Tabla y Figura I se especifican los criterios a valorar y los pasos sucesivos que deberían

Tabla 1. Criterios a seguir para el diseño y la realización de evaluaciones económicas

- 1) **Objetivo de la evaluación**
 - El objetivo de la evaluación y la hipótesis a contestar deberán estar claramente definidos.
- 2) **Perspectiva del análisis**
 - Deberá estar bien especificada y su elección apoyada con argumentos.
 - Es recomendable adoptar la perspectiva de la sociedad, aunque sea en el análisis de sensibilidad.
- 3) **Elección del comparador**
 - Hay que valorar todas las posibles opciones existentes como comparador, antes de tomar la decisión sobre las que se incluirán en el análisis; siempre hay que justificar la elección.
 - Se incluyen en el estudio las más adecuadas (más eficaces, menos costosas o más empleadas).
 - Los comparadores elegidos disponen de evidencias sólidas sobre los resultados en salud que produce y los costes asociados generados.
- 4) **Diseño metodológico de la evaluación económica**
 - Queda claro si el análisis es prospectivo, retrospectivo o predictivo.
 - Se describe y justifica el horizonte temporal elegido para el estudio y se describen las características de los pacientes que serán evaluados en el mismo.
 - Si es prospectivo, hay que indicar si se va a efectuar a través de un ensayo clínico o un estudio observacional, y hay que describir la metodología y características de éstos.
 - Si es retrospectivo, habrá que especificar la fuente de los datos utilizados: literatura, bases de datos, historias clínicas y/o técnicas cualitativas (métodos Delphi y paneles de expertos).
 - Si es predictivo, es necesario asegurar la calidad del modelo escogido y hay que justificar la elección del tipo de modelo y los parámetros clave que se van a incorporar.
- 5) **Resultados en salud a valorar**
 - Se notifica la unidad de efectividad escogida para evaluar los resultados en salud (vida salvada, año de vida ganado, año de vida ajustado por calidad, complicaciones evitadas, etc.).
 - Si se evalúa la utilidad social, se especifica el método y/o el instrumento empleado para su medición (EuroQoL, HUI-3, SF-6, juego estándar, equivalencia temporal, etc.) y de donde se ha obtenido (pacientes, población general, profesionales sanitarios).
 - Se detallan las fuentes de obtención de los resultados en salud.
 - Se aportan datos y detalles del diseño y resultados de las fuentes empleadas (ensayos clínicos, revisiones sistemáticas, metaanálisis, etc.).
- 6) **Costes incluidos**
 - Se incluyen en el estudio todos los costes relevantes, acorde a la perspectiva y la enfermedad diana; si algún tipo de costes no se ha incluido, se aportan las razones para tal decisión.
 - Se especifica si se han tenido en cuenta los costes futuros, y en caso negativo se aportan las razones para esa decisión.
 - Se especifican las cantidades de recursos empleados, junto con el precio o coste unitario de cada uno de ellos y las fuentes de donde se han obtenido (microcostes, GRD o tarifas).
 - Se detalla la unidad monetaria empleada en la evaluación, la fecha a la que corresponden los precios o costes unitarios utilizados y si se ha efectuado algún ajuste.
- 7) **Tipo de evaluación económica empleada**
 - El tipo de evaluación económica empleada es el más conveniente, acorde a la enfermedad evaluada, las opciones estudiadas y la perspectiva elegida.
 - Se ha realizado un análisis de impacto presupuestario, como un análisis complementario.
- 8) **Ajuste temporal de coste y resultados**
 - Se descuentan tanto los costes como los resultados empleando la misma tasa de descuento, si el horizonte temporal del estudio es superior a un año; en caso negativo, se justifica la decisión.
 - Se indica y justifica la tasa de descuento utilizada.

Tabla I. Continuación**9) Análisis de los resultados de la evaluación económica**

- Se notifican los resultados del análisis del caso base de referencia.
- Se presentan los datos de costes y resultados de manera desagregada.
- Se efectúa un análisis incremental, calculando el cociente coste/efectividad incremental (CCEI) o el cociente coste/utilidad incremental (CCUI).
- Se calculan los CCEI de diferentes subgrupos de pacientes (los más graves, los que mejores resultados presentan, etc.).
- Se expresan los resultados en forma del beneficio neto sanitario de cada opción en estudio.
- Se detallan los resultados del análisis de impacto presupuestario, si se ha realizado.

10) Manejo de la incertidumbre

- Se realiza un análisis de sensibilidad, justificando el tipo (univariante, multivariante, umbral, tornado) y las variables afectadas, así como el rango de valores que se van a modificar.
- Se efectúa un análisis probabilístico, si la evaluación se ha efectuado a través de un modelo, y un análisis de remuestreo (*bootstrap*) si se ha realizado en el seno de un diseño prospectivo.
- Se notifican los intervalos de confianza del CCEI obtenido y se expresan los resultados a través de un análisis de dispersión en el plano coste-efectividad y de la curva de aceptabilidad.
- Se realiza un análisis del valor de la información, calculando el valor esperado de la información perfecta.
- Se elabora una versión interactiva de la evaluación realizada y de sus resultados, de tal manera que cada decisor pueda incorporar sus datos locales y las asunciones más realistas para él.

11) Conclusiones de la evaluación económica

- Las conclusiones responden a la pregunta de investigación planteada y son coherentes con los resultados obtenidos.
- Se presentan las limitaciones y los puntos débiles de la evaluación económica.
- Se valora la validez externa de la evaluación económica efectuada.
- Es posible transferir los resultados a otros contextos y entornos sanitarios.
- Se describe la fuente de financiación de la evaluación económica.
- Se detallan posibles conflictos de intereses de los investigadores que han elaborado el análisis.
- Se sugieren posibles actualizaciones y revisiones de los resultados con el paso del tiempo, con el fin de intentar que no pierdan vigencia.

seguirse y tenerse en cuenta a la hora de diseñar, efectuar y analizar una evaluación económica.

Uno de los puntos clave en el proceso de estandarización de la metodología de las evaluaciones económicas es facilitar la comparación de diferentes evaluaciones realizadas con la misma opción terapéutica o con diferentes alternativas terapéuticas, para lo cual es necesario que se homogenicen muchos de los aspectos metodológicos existentes en su diseño. Con este fin, a mediados de la década de los noventa se creó un panel de coste-efectividad en salud y medicina que publicó una serie de recomendaciones sobre la metodología a seguir a la hora de planear y efectuar evaluaciones econó-

micas (6). Uno de los aspectos más innovadores de sus recomendaciones fue el hecho de definir el denominado “*caso base de referencia*”, conjunto de directrices sobre algunos aspectos clave de estos estudios, tales como: a) perspectiva a elegir; b) evaluación de los recursos consumidos y de los resultados obtenidos; c) tipo de costes a incorporar; d) medición de los resultados obtenidos a través de los años de vida ajustados por calidad, y e) tasa de descuento a aplicar a los costes y resultados. Este punto es un aspecto crítico e importante a la hora de elaborar evaluaciones económicas, por lo que algunos autores han sugerido la posibilidad de que se desarrollase un caso base de referencia

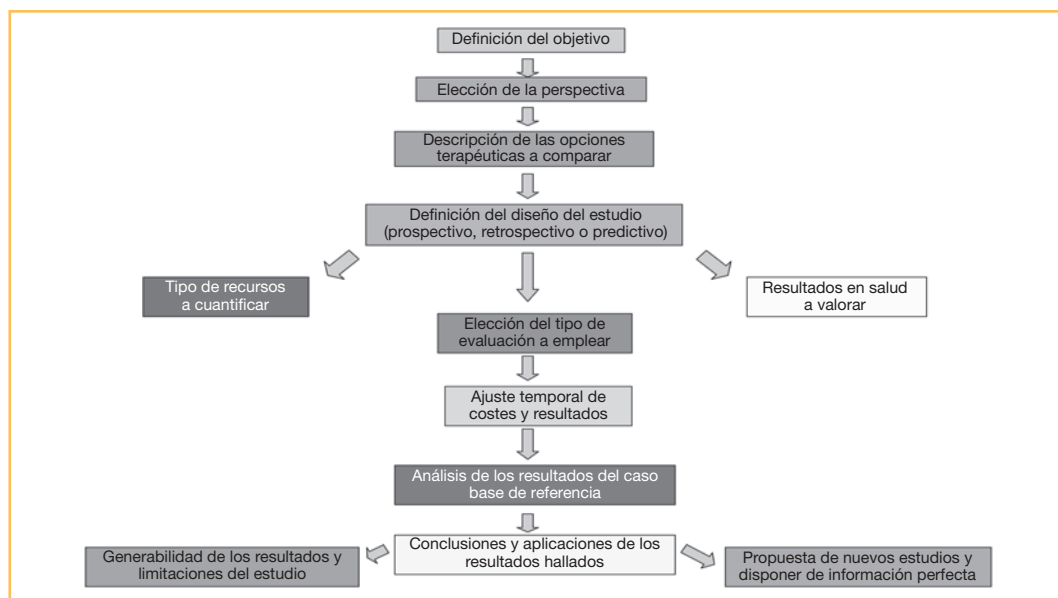


Figura I. Pasos a dar en el diseño y realización de una evaluación económica

para las evaluaciones económicas efectuadas en Europa, lo que crearía una metodología estándar y facilitaría las comparaciones entre diferentes evaluaciones existentes en la literatura (7). En la Tabla II se describen las características esenciales del caso base de referencia.

A continuación, se revisarán los puntos y aspectos que habría que tener en mente a la hora de diseñar una evaluación económica:

Objetivo y definición

El objetivo y propósito de la evaluación deberá estar bien definido, de forma clara, concisa y evaluable. Se deberá describir claramente la hipótesis que se quiere contestar con el estudio o la cuestión que va a abordar la evaluación económica.

Será necesario definir el porqué de la evaluación económica, comentar los antecedentes y proceder a la introducción del problema cuya solución constituye el objetivo del análisis.

Perspectiva a elegir

La perspectiva se refiere al punto de vista desde el que se lleva a cabo la evaluación, identificando al agente social que utilizará los resultados del estudio para tomar decisiones con más información y datos. Dependiendo de la perspectiva elegida, habrá que incluir en el estudio un tipo de coste y de resultados, por lo que al final el resultado del estudio podrá ser diferente según la perspectiva escogida.

Las perspectivas más frecuentemente elegidas son el hospital, la gerencia de atención primaria, el Sistema Nacional de Salud (SNS), una aseguradora privada, la del paciente y la de la sociedad en su conjunto.

Cada perspectiva (o punto de vista) puede tener diferentes necesidades de información y manejar distintos criterios para valorar costes y resultados. Por este motivo, es muy importante definir desde el principio la perspectiva de la evaluación económica, ya que el tipo de costes

Tabla II. Elementos a incluir en el caso base de referencia de una evaluación económica

Elementos de una evaluación económica	Caso base de referencia
Perspectiva	Sociedad
Tipo de evaluación económica	Coste-utilidad
Costes	Directos médicos y no médicos (costes informales) e indirectos Futuros relacionados
Resultados en salud	Años de vida ajustados por calidad (AVAC) Adicionalmente, se pueden emplear otros: eventos evitados, casos curados, años de vida ganados, etc.
Descuento (ajuste temporal)	Costes y resultados en la misma cuantía (3%-5%)
Manejo incertidumbre	Análisis de sensibilidad univariante, multivariante y probabilístico
Comunicación de resultados	Elaboración de un "informe técnico" Notificación para cada alternativa en estudio de: costes totales y AVAC totales Análisis incremental de coste y AVAC entre las opciones en estudio y cociente coste/utilidad incremental entre ellas

a cuantificar, la manera de evaluar los resultados, la forma en que se van a agregar los costes y resultados e incluso, las alternativas que se van a comparar en la evaluación, dependerán de la perspectiva elegida para la evaluación (8).

Aunque un estudio puede ser realizado bajo la perspectiva que el analista considere más adecuada (teniendo en cuenta el tipo de alternativa terapéutica evaluada y la patología diana), se recomienda incorporar siempre en la evaluación la perspectiva de la sociedad en su totalidad, si no en el caso base de referencia, al menos en el análisis de sensibilidad.

En la perspectiva social se incluirán y registrarán todos los costes y resultados sin importar a quien afecten y donde se produzcan, lo que generará resultados más útiles para los decisores sanitarios al reflejar los datos de eficiencia para el global de la sociedad (9). Como ya se ha especificado con anterioridad, para el análisis

del caso base de referencia se recomienda emplear siempre la perspectiva de la sociedad en su conjunto.

Elección del comparador

Toda evaluación económica lleva implícita la comparación de una opción terapéutica respecto de otra u otras (comparadores), con el fin de conocer cuál es la más eficiente. Dependiendo de las alternativas que se escojan como comparadores, el resultado de la evaluación podría variar enormemente, por lo que es básico y crucial elegir el comparador más adecuado.

En teoría, la evaluación económica perfecta requeriría tener en consideración como comparadores a todas las opciones terapéuticas existentes que podrían ser tratamientos alternativos al tratamiento valorado. En la práctica, para la mayoría de las evaluaciones económicas es imposible poder incluir en el estudio a todos los posibles compara-

dores, salvo en aquellas patologías donde existan muy pocas opciones de tratamiento.

Por lo tanto, en cada evaluación económica será necesario incluir los comparadores más relevantes para la toma de decisión, debiendo escoger entre: a) los más baratos; b) los más eficientes; c) los que presentan una mayor eficacia; d) los que más se utilizan en la práctica médica rutinaria (tratamiento estándar), y e) aquéllos a los que, presumiblemente, va a sustituir la nueva opción evaluada. En ocasiones, y dependiendo de la enfermedad diana, habrá que considerar también la posibilidad de incluir como comparador a la opción de no hacer nada. Aunque el caso base de referencia no especifica el tipo de comparador a incorporar en una evaluación económica, los mejores comparadores van a ser o bien los tratamientos más empleados en la práctica diaria, o bien aquéllos a los que va a sustituir la nueva alternativa en estudio, ya que de esta manera los resultados de la evaluación económica serán más útiles para la toma de decisiones.

Siempre habrá que justificar fehacientemente el comparador escogido para incluir en la evaluación económica y dar argumentos sólidos que apoyen esta decisión. Independientemente del comparador elegido, siempre será conveniente realizar un análisis de sensibilidad incorporando los datos de las opciones más efectivas, las más empleadas en la práctica médica y las menos costosas (10).

Una práctica recomendable a la hora de elegir el comparador a incorporar en una evaluación económica es discutir con los decisores que van a emplear sus resultados qué comparador les gustaría que fuera incluido, en un intento por disponer más tarde de los datos de eficiencia más útiles y relevantes para la toma de decisiones.

Diseño metodológico de la evaluación

Es un punto crucial dentro del diseño y elaboración de una evaluación económica, ya que describe la manera en que se obtienen los datos de resultados en salud y costes generados (fuentes de información) y cómo se estructura y efectúa la evaluación. Además, define el horizonte temporal del estudio (período de tiempo durante el cual se valoran los efectos sobre la salud y los recursos consumidos, que debería ser lo suficientemente amplio para poder capturar todos los beneficios terapéuticos de las opciones en evaluación), si se emplean datos primarios o secundarios (a la hora de valorar los resultados en salud) y la población de pacientes a la que se refiere la evaluación (cualquier tipo de pacientes y en cualquier estadio de la enfermedad, o bien sólo un subgrupo que se encuentre en un estadio concreto).

Las fuentes primarias para obtener datos pueden ser estudios descriptivos o analíticos (según si describen o analizan la realidad), estudios transversales o longitudinales (según la temporalidad en la recogida de los datos) y estudios experimentales u observacionales (dependiendo de si se decide de antemano o no la alternativa terapéutica con la que se trate al paciente). Por su parte, las fuentes secundarias para obtener datos pueden ser la revisión de bases de datos existentes o de historias clínicas disponibles, la puesta en marcha de estudios cualitativos (como los métodos Delphi o los paneles de consenso de expertos) o la realización de revisiones sistemáticas y metaanálisis de estudios existentes.

En el caso de que el diseño empleado para efectuar la evaluación económica haya sido un ensayo clínico o un estudio observacional, siempre habrá que describir los detalles meto-

dológicos de estos estudios y los resultados más importantes obtenidos. Además, será necesario valorar si la población incluida en los mismos es similar a la población susceptible de recibir la nueva opción terapéutica en el medio donde se realiza la evaluación económica y, por lo tanto, si se pueden aplicar sus resultados en la toma de decisiones.

Si la evaluación económica se efectúa a través de la realización de un modelo analítico de decisión, es necesario especificar el tipo de modelo a emplear (modelo de decisión simple, modelo de Markov, modelo de simulación de eventos discretos o modelos dinámicos) y hay que describir en detalle las características del mismo y de donde se obtienen los datos que lo alimentan, así como su estructura y horizonte temporal. Como regla general, siempre que se pueda se deben obtener estos datos de ensayos clínicos donde se comparen las opciones terapéuticas en estudio o de metaanálisis de varios ensayos clínicos realizados, aunque a veces es necesario incorporar datos de estudios observacionales o de comparaciones indirectas, debiendo estar seguros de que la metodología empleada ha sido la adecuada, de tal manera que los resultados sean válidos y de calidad (11).

Resultados en salud a valorar

Es imprescindible detallar cómo se van a medir los resultados en salud y cuál será la unidad de efectividad elegida para la evaluación económica. Aunque los resultados en salud se pueden evaluar de múltiples maneras (porcentaje de éxitos o de pacientes curados, complicaciones evitadas, etc.), se aconseja que siempre que se pueda se evalúen en términos de vidas salvadas, años de vida ganados o años de vida ajustados por calidad, ya que son bastante más relevantes para los profesionales sanitarios y

otros decisores. Hay patologías donde se suelen emplear otras unidades para evaluar los resultados, como en oncología donde es frecuente utilizar la supervivencia global, la supervivencia libre de progresión, el año de vida ganado libre de enfermedad o el porcentaje de pacientes libres de efectos adversos (12).

Si los resultados en salud se miden en años de vida ajustados por calidad, será necesario especificar el método empleado para obtener el valor de utilidad social (EuroQoL, HUI-3, SF-6, equivalencia temporal, juego estándar, etc.) y el origen de este dato (pacientes, población general, profesionales sanitarios, familiares, etc.), ya que el valor final podría variar de manera importante dependiendo del método empleado para su obtención y del grupo de donde éste se haya obtenido (13).

Además, será necesario describir las fuentes de origen de estos resultados y comprobar su validez, fiabilidad y calidad. Cuando los resultados en salud se hayan obtenido de un ensayo clínico, será necesario describir su diseño y los principales resultados logrados, lo mismo que cuando los resultados se hayan extraído de un conjunto de estudios ya publicados, a través de la revisión sistemática y metaanálisis realizado. Si se va a emplear algún tipo de panel de expertos u otras técnicas de consenso para obtener algún tipo de resultado, será deseable describir en detalle la metodología seguida.

Aunque en muchos casos los resultados se obtienen de ensayos clínicos y, por lo tanto, serán datos de eficacia, siempre que se pueda se recomienda extraerlos de ensayos clínicos pragmáticos (o naturalísticos) con el fin de disponer de datos de efectividad (y no de eficacia), ya que estos datos van a ser mucho más útiles para tomar decisiones que afectan a la práctica médica diaria (14).

En el caso de que se efectúen extrapolaciones de variables intermedias a variables finales de resultados en salud, se debería describir el método seguido (por ej., datos de un ensayo clínico donde se notifica la reducción de las cifras de tensión arterial con datos a medio-largo plazo de disminución de complicaciones cardiovasculares), lo mismo que si se van a extrapolar los resultados obtenidos durante un corto período de seguimiento (por ej., dos años) a más largo plazo (por ej., 10-15 años), metodología frecuentemente utilizada cuando se efectúan modelos analíticos de decisión con horizontes temporales largos (15).

Costes incluidos

En una evaluación económica pueden distinguirse los siguientes costes:

a) *Costes directos*, que son los relacionados directamente con la atención sanitaria, que se dividen en sanitarios (también llamados médicos) y no sanitarios (también llamados no médicos). En el primer grupo se encuentran los costes de hospitalización, medicamentos, pruebas complementarias, analíticas, etc., mientras que en el segundo grupo se incluye el transporte al hospital, los servicios sociales, los cuidados informales, el pago a cuidadores, etc., que en la mayoría de los casos son financiados por el propio paciente y sus familiares.

b) *Costes indirectos*, que se asocian con el absentismo laboral producido por la pérdida de capacidad productiva (horas/días de baja laboral) derivada de su enfermedad.

c) *Costes intangibles*, asociados al dolor, sufrimiento, ansiedad, temor, etc., que sufre el paciente como consecuencia de su enfermedad. Este tipo de costes no se suele tener en consideración debido a la dificultad para medirlos y cuantificarlos.

Siempre será necesario incluir todos los costes que se consideren relevantes para el estudio (el tipo de evaluación y la perspectiva elegida van a ser clave para la definición de los costes más importantes), justificando el motivo por el cual no se tendrán en cuenta otro tipo de costes. Además, habrá que especificar si se tendrán en consideración los costes futuros y, en caso negativo, habrá que explicar esta decisión.

Por otra parte, es necesario especificar la cantidad de unidades de recursos utilizados en cada grupo en estudio (número de TAC hechos, número de días de ingreso hospitalario, número de analíticas efectuadas, etc.) junto al coste unitario de cada uno de ellos (coste de cada TAC, de cada día de hospitalización, coste de cada analítica, etc.). Además, habrá que detallar la fuente de origen de los valores del coste de cada unidad de recursos consumida, lo mismo que la metodología empleada para conocer el número de unidades de recursos consumidas en cada grupo en estudio (micro-costes, GRD, etc.). De la misma forma, será necesario especificar la unidad monetaria empleada (euros, dólares, libras, etc.), la fecha a la que corresponden los costes unitarios y si se han efectuado ajustes por inflación o por tipo de cambio.

Tipo de evaluación económica empleada

Dependiendo de cómo se vayan a valorar los resultados en salud de las opciones estudiadas en la evaluación económica y de cómo se haya definido la unidad de efectividad a emplear, se elegirá uno u otro tipo de evaluación económica: minimización de coste (si los resultados clínicos de las alternativas son similares o equivalentes); coste-efectividad (si los resultados se cuantifican en unidades físicas habituales: vidas salvadas, años de vida ganados, eventos evitados, etc.);

coste-utilidad (si los resultados se evalúan como años de vida ajustados por calidad); coste-beneficio (si tanto los costes como los resultados se trasladan a unidades monetarias) y coste-consecuencia (si los costes y los resultados se notifican por separado, sin que se relacionen entre sí en el estudio). En los últimos años, cada vez se efectúan más los análisis de impacto presupuestario de manera complementaria, en un intento por conocer el impacto que supondrá en el presupuesto del financiador (SNS, hospital, etc.) la comercialización de una nueva opción terapéutica.

Ajuste temporal de costes y resultados

La sociedad y todos los individuos prefieren disfrutar de los beneficios terapéuticos cuanto antes y diferir los costes lo más posible, esto es, existe una preferencia temporal en relación con los costes y beneficios futuros.

Por lo tanto, parece lógico incorporar esta dimensión temporal de las preferencias a las evaluaciones económicas, introduciendo ajustes sobre las magnitudes futuras que permitan expresarlas en su valor actual, es decir, su valor equivalente en el momento presente. Por este motivo, cuando el horizonte temporal del estudio es superior a un año, es necesario un ajuste temporal (descuento), tanto a los costes como a los resultados en salud, con el fin de actualizarlos y transformarlos a valores del momento presente en el que se efectúa la evaluación económica (16,17). Esta operación de ajuste temporal consiste en aplicar una tasa de descuento a las cantidades futuras (con el fin de convertirlas en valores equivalentes al tiempo presente), a través de la siguiente fórmula:

$$VA = VF / (1+r)^t$$

donde (VA) es el valor actual, (VF) es el valor futuro, (r) es la tasa de descuento en tanto por uno y (t) es el número de años transcurridos desde el mo-

mento presente hasta el momento en que se disfruta de los beneficios o se incurre en los costes.

Mientras que hay unanimidad absoluta a la hora de recomendar el ajuste temporal a los costes, existe diversidad de opiniones a la hora de ajustar los beneficios clínicos. Así, hay investigadores que opinan que los resultados no deberían actualizarse (ya que no entienden que haya que asignar valores diferentes a las mejoras en salud en función del momento en que se disfruten) (18), aunque la tendencia actual es que hay que actualizar tanto los costes, como los resultados clínicos empleando la misma tasa de descuento, y así lo recomiendan la mayoría de las guías existentes para el diseño y realización de evaluaciones económicas (19). El hecho de efectuar ajustes temporales facilita que se puedan comparar los resultados de diferentes evaluaciones económicas realizadas con distintos horizontes temporales, ya que de otra manera no podrían compararse entre sí.

Es recomendable emplear las tasas de descuento que más se han utilizado en la literatura (entre el 3% y el 6%, lo que está en consonancia con el 3% que se recomienda emplear en nuestro país). Y, además, se recomienda que en el análisis de sensibilidad se incluyan valores extremos de tasa de descuento, por ejemplo 0% y 8%.

Análisis de los resultados de la evaluación económica

Con el fin de lograr que las distintas evaluaciones económicas se puedan comparar entre sí y se puedan realizar revisiones sistemáticas de evaluaciones publicadas en la literatura, es deseable que el análisis de los resultados se realice acorde a las especificaciones del caso base de referencia (6,20).

Por otra parte, siempre deberían presentarse los costes y los resultados en salud de

manera desagregada (ya que esto facilita la interpretación de los resultados y añade transparencia a los mismos), además de notificar el análisis incremental efectuado entre las opciones en evaluación, calculando el cociente coste/efectividad (o utilidad) incremental. Cuando se calculen los cocientes coste/efectividad incrementales de subgrupos de pacientes (por ej., en los pacientes con mejores resultados en salud o en los más graves), siempre será necesario razonar apropiadamente la realización de este análisis suplementario.

Con el fin de poder obviar el hecho de que puedan aparecer cocientes coste/efectividad incremental negativos, con la dificultad inherente a la toma de decisión en este caso, ya que tanto las opciones dominadas (no deberían utilizarse) como las opciones dominantes (debería fomentarse su uso) presentan un cociente negativo, en la actualidad se recomienda notificar los resultados también a través del cálculo del beneficio neto sanitario (BNS) aportado por las alternativas en estudio (21).

Como ya se ha dicho anteriormente, cada vez es más frecuente presentar conjuntamente con los resultados de la evaluación económica un análisis de impacto presupuestario (22).

Manejo de la incertidumbre

En cualquier evaluación económica van a existir parámetros en los que desconocemos el verdadero valor de los mismos y, por lo tanto, será necesario intentar conocer cómo las variaciones de estas variables afectan al resultado final de la evaluación. Por este motivo, siempre será necesario efectuar un análisis de sensibilidad, modificando los valores de aquellos parámetros donde exista mayor grado de incertidumbre. Como mínimo, debería efectuarse un análisis de sensibilidad univariante (el

cual se representa como un análisis de tornado), aunque en muchos casos será necesario realizar uno multivariante, modificando a la vez el valor de distintas variables.

Por otra parte, cada vez es más recomendable llevar a cabo un análisis de sensibilidad probabilístico (análisis de Monte Carlo si la evaluación se ha desarrollado a través de un modelo, o análisis de remuestreo, si se ha realizado a través de un diseño prospectivo), lo que permite obtener el intervalo de confianza del cociente coste/efectividad incremental y proporciona una evaluación más detallada de la incertidumbre asociada con los parámetros de la evaluación económica y las posibles interacciones entre ellos. Además, el análisis probabilístico permite valorar la dispersión de los cocientes coste/efectividad incremental en el plano coste-efectividad y la elaboración de la curva de aceptabilidad, que nos indica la probabilidad de que las opciones evaluadas sean coste-efectivas acorde a la disponibilidad a pagar por conseguir una unidad adicional de efectividad (un año de vida ganado, un año de vida ajustado por calidad, un evento evitado, etc.) (23,24).

Siempre existirá una probabilidad de que las alternativas en estudio no sean coste-efectivas (cuando el valor del coste/unidad de efectividad sea más elevado que el valor que se está dispuesto a pagar por cada unidad de efectividad extra), que será de 1 menos la probabilidad de que sea coste-efectivo, que representa el nivel de incertidumbre sobre la decisión a tomar (probabilidad de error). Si finalmente se toma la decisión equivocada (se adopta la nueva opción terapéutica, aunque no sea coste-efectiva), existirá un consumo de recursos extra y no se generarán ciertos resultados clínicos, lo que producirá un coste esperado derivado de la in-

certidumbre de la evaluación económica. Estos costes pueden interpretarse como el valor esperado de la información perfecta (VEIP) (coste que el SNS estaría dispuesto a pagar por obtener evidencias adicionales que ayudasen a disponer de mayor información y poder tomar la decisión correcta en el futuro), ya que la información perfecta eliminaría completamente la posibilidad de tomar una decisión equivocada. Cuando este VEIP es elevado, es esperable que la investigación adicional pueda tener mayores retornos que cuando es bajo (25,26).

Dado que es posible que existan variables que se modifiquen de manera importante en diferentes entornos y contextos (por ej., los costes pueden diferir de manera importante en hospitales terciarios con respecto a los hospitales secundarios o comarcales, o la efectividad clínica podría variar de manera significativa en distintos medios), es altamente recomendable que los resultados de la evaluación económica se puedan presentar en formatos interactivos, donde sea posible modificar los datos introduciendo cifras locales de diferentes parámetros, de tal manera que el decisor pueda valorar los resultados de la evaluación económica con sus propios datos y no con datos provenientes de otros entornos.

Conclusiones de la evaluación económica

Las conclusiones extraídas deberán dar respuesta a la hipótesis testada y ser coherentes y apropiadas según los resultados obtenidos.

Siempre será necesario expresar y discutir las posibles limitaciones, puntos débiles y posibles sesgos de la evaluación económica realizada (26,27), intentando reflejar de manera clara y honesta aquellos aspectos a mejorar para futuros estudios de similares caracterís-

ticas, lo que incrementará la credibilidad de los resultados para cualquier lector. Además, en este apartado deberían discutirse las posibles discrepancias encontradas en esta evaluación con respecto a otras efectuadas con anterioridad.

De la misma manera, siempre habrá que valorar la validez externa de la evaluación económica efectuada, lo que permitirá explorar si son aplicables los resultados encontrados a la práctica médica rutinaria del medio donde se tome la decisión. Este punto es muy importante, ya que si en la evaluación económica se han incorporado datos de eficacia y de consumo de recursos obtenidos de estudios que no representan lo que va a suceder en condiciones de uso habituales, su empleo a la hora de tomar decisiones será muy limitado. Si se prevé que los datos de efectividad y de consumo de recursos de las alternativas evaluadas van a modificarse sustancialmente una vez éstas empiecen a emplearse de forma habitual en el mundo real, será necesario actualizar la evaluación económica una vez se disponga de datos de lo que sucede en condiciones de uso rutinario.

Por otra parte, será imprescindible valorar la transferibilidad y generabilidad de los resultados obtenidos, esto es, la extrapolación o aplicabilidad externa de los resultados de la evaluación (28). En este punto, se necesitará valorar si los resultados clínicos incluidos en la evaluación económica reflejan la efectividad de las opciones en estudio en el medio donde se está realizando y donde se van a emplear los resultados para tomar decisiones. Igualmente, habrá que analizar si los datos de costes son los más apropiados para poder extrapolar los resultados, así como si los grupos de pacientes incluidos en los ensayos clínicos (fuente de los resultados en salud) de los diferentes países

participantes son homogéneos en el momento basal del estudio (29).

En otro orden de cosas, siempre será necesario describir claramente la fuente de financiación de la evaluación y el encargado de su realización, así como especificar la posible existencia de conflicto de intereses entre los investigadores que han participado en el diseño y su realización. De la misma manera, sería deseable que los análisis que han llevado a cabo el estudio expusieran el plan existente para actualizar los resultados de la evaluación económica en el futuro, en un intento por mantener vigentes sus resultados con el paso del tiempo.

Guías existentes en la actualidad para diseñar, realizar y analizar evaluaciones económicas de medicamentos y tecnologías sanitarias

En estos momentos, existen multitud de guías para elaborar evaluaciones económicas, la mayoría de ellas auspiciadas por las administraciones sanitarias de distintos países o por sociedades científicas de distinta índole. Todas persiguen el mismo objetivo: ayudar a aquéllos que diseñan y ponen en marcha una evaluación económica que sea de calidad y válida.

En la Tabla III, se describen las principales características de las guías existentes en la actualidad para elaborar evaluaciones económicas, donde se puede ver que los aspectos metodológicos a seguir son muy parecidos en todas ellas (30). En España, se ha publicado recientemente una propuesta de guía para el diseño, la realización y el análisis de evaluaciones económicas de medicamentos, tecnologías sanitarias y otras intervenciones sanitarias, la cual sigue los mismos principios que la mayoría de las guías existentes (31).

Tabla III. Características más importantes de las principales guías existentes en la actualidad para elaborar y realizar evaluaciones económicas de medicamentos y tecnologías sanitarias										
País	Perspectiva	Comparador	Horizonte temporal	Tipo análisis	Costes a incluir	Valoración resultados	Cálculo de utilidad	Tasa de descuento	Análisis de sensibilidad	CCEI
Hungría	Cualquiera	Terapia que va a ser reemplazada	Hay que especificar	AMC ACE ACU	Según perspectiva	AVAC	EuroQoL	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante	Sí
Austria	Sociedad	Estándar Más usado Más eficaz	Según objetivos	AMC ACE ACU	Relevantes según perspectiva	Depende objetivo	Justificar instrumento empleado	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
Bélgica	Sociedad Financiador	Más usado	Toda la vida Duración enfermedad	ACU	Directos Indirectos	AVG AVAC	Equivalencia temporal Juego estándar	Coste: 3% Resultados: 1,5%	IC CCEI Plano C-E Curva aceptabilidad Tornado Probabilístico	Sí

Tabla III. *Continuación*

País	Perspectiva	Comparador	Horizonte temporal	Tipo análisis	Costes a incluir	Valoración resultados	Cálculo de utilidad	Tasa de descuento	Análisis de sensibilidad	CCEI
Francia	La más amplia	Más usado Estándar	Suficiente para detectar resultados en salud	AMC ACB ACE ACU ACC	Todos los relevantes	Resultados finales	Equivalencia temporal Juego estándar VAS	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante	Sí
Alemania	Sociedad Financiadora	Estándar	Según objetivos	ACE ACU	Relevantes según perspectiva	AVAC Otras medidas también son aceptadas	Se pueden utilizar distintos instrumentos (EuroQoL, HUI-3, SF-6)	Coste: 5% Resultados: 5%	Probabilístico	Sí
Holanda	Sociedad	Más usado Estándar en GT	Más adecuado según tratamientos y patología	ACE ACU	Todos según la perspectiva social	AVG AVAC	Equivalencia temporal Juego estándar VAS	Coste: 4% Resultados: 1,5%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
Reino Unido	Financiadora	Más usado Estándar	Suficiente para detectar costes y resultados	ACU	Directos Indirectos	AVAC	EuroQoL	Coste: 3,5% Resultados: 3,5%	Probabilístico	Sí
Finlandia	Sociedad	Más usado Va a ser reemplazado Más eficaz	Suficiente para detectar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU	Directos Indirectos de manera separada	No notificado	No notificado	Coste: 3% Resultados: 3%	No notificado	Sí
Noruega	Sociedad Financiadora	Más usado Más barato No hacer nada	Período que permita detectar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU	Todos los relevantes	No notificado	No notificado	Coste: 2,5%-5% Resultados: 2,5%-5%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
Suecia	Sociedad	Más usado	Período que permita detectar costes y resultados	ACE ACU	Todos los relevantes	AVAC	Equivalencia temporal Juego estándar EuroQoL	Coste: 3% Resultados: 3%	No notificado	Sí

Tabla III. Continuación

País	Perspectiva	Comparador	Horizonte temporal	Tipo análisis	Costes a incluir	Valoración resultados	Cálculo de utilidad	Tasa de descuento	Análisis de sensibilidad	CCEI
Italia	Sociedad Financiad	Más usado	No notificado	ACE ACU	Directos Indirectos	AVAC Unidades naturales también se aceptan	Equivalencia temporal Juego estándar	Coste: 3% Resultados: 3%	Univariante Multivariante	Sí
Portugal	Sociedad	Más usado Más barato Más eficaz	Período que permita detectar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU	Directos Indirectos	No notificado	Equivalencia temporal Juego estándar EuroQoL	Coste: 5% Resultados: 0%-5%	No notificado	Sí
Canadá	Sociedad	Más usado Más barato	Período que permita detectar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU ACC	Directos Indirectos	AVAC	No notificado	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
Brasil	Sociedad Financiad	Más usado	Suficiente para capturar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU ACC	Directos e indirectos según perspectiva	No notificado	Equivalencia temporal Juego estándar VAS	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
Australia	Sociedad Financiad	Estándar	Según historia enfermedad y propósito del estudio	AMC ACB ACE ACU	Directos Indirectos	Efectividad QoL	No notificado	Coste: 5% Resultados: 0%-5%	Univariante Multivariante	Sí
España	Sociedad Financiad	Más usado	Suficiente para capturar costes y resultados	AMC ACB ACE ACU ACC	Directos e indirectos según perspectiva	AVAC	Cualquier método, si se justifica	Coste: 3% Resultados: 3%	Univariante Multivariante Probabilístico	Sí
México	Financiad	Más relevante Va a ser reemplazado	Suficiente para capturar costes y resultados	ACE ACU	Directos	Efectividad	Cualquier método, si se justifica	Coste: 5% Resultados: 5%	Univariante Multivariante	Sí

AVG = Año de vida ganado; AVAC = Año de vida ajustado por calidad; AMC = Análisis de minimización de costes; ACB = Análisis coste-beneficio; ACE = Análisis coste-efectividad; ACU = Análisis coste-utilidad; ACC = Análisis coste-consecuencia; IC CCEI = Intervalo de confianza del cociente coste/efectividad incremental; Plano C-E = Plano coste-efectividad; GT = Guía terapéutica

1. Rennie D, Luft HS. Pharmacoeconomic analysis. Making them transparent, making them credible. *JAMA* 2000; 283: 2158-2160.
2. Barnes R, Heaton A. Panel 6: addressing questions of bias, credibility, and quality in health economic evaluations. *Value Health* 1999; 2: 99-102.
3. Byford S, Palmer S. Common errors and controversies in pharmacoeconomic analyses. *Pharmacoeconomics* 1998; 13: 659-666.
4. Mullins CD, Ogilvie S. Emerging standardization in pharmacoeconomics. *Clin Ther* 1998; 20: 1194-1202.
5. Rovira J. Standardization of the economic evaluation of health technologies: European developments. *Med Care* 1996; 34 (Suppl1) DS13-DS22.
6. Siegel JE, Torrance GW, Russell LB, Luce BR, Weinstein MC, Glod MR. Guideline for pharmacoeconomics studies. Recommendation from the Panel on Cost-Effectiveness in Health and Medicine. *Pharmacoeconomics* 1997; 11: 159-168.
7. Jönsson B. Time for a common standard for cost-effectiveness in Europe? *Eur J Health Econ* 2006; 7: 223-224.
8. CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technology in Health). Guidelines for the economic evaluation of health technologies, 3rd Edition, 2006 (<http://www.cadth.ca>).
9. Jönsson B. Ten arguments for a societal perspective in the economic evaluation of medical innovations. *Eur J Health Econ* 2009; 10: 357-359.
10. Task Force on Principles for Economic Analysis of Healthcare Technology. Economic analysis of healthcare technology: a report on principles. *Ann Intern Med* 1995; 122: 61-70.
11. Song F, Altman DG, Glenny A-M, Deeks JJ. Validity of indirect comparison for estimating efficacy of competing interventions: empirical evidence for published meta-analyses. *BMJ* 2003; 326: 472.
12. Tappenden P, Chilcote J, Ward S, Eggington S, Hind D, Hummel S. Methodological issues in the economic analysis of cancer treatments. *Eur J Cancer* 2006; 42: 2867-2875.
13. McDonough CM, Tosteson ANA. Measuring preferences for cost-utility analysis. *Pharmacoeconomics* 2007; 25: 93-106.
14. Revicki DA, Frank L. Pharmacoeconomic evaluation in the real world. *Pharmacoeconomics* 1999; 15: 423-434.
15. Drummond M, Sculpher M. Common methodological flaws in economic evaluations. *Med Care* 2005; 43: 115-114.
16. Katz DA, Welch HG. Discounting in cost-effectiveness analysis of health care programmes. *Pharmacoeconomics* 1993; 3: 276-285.
17. Severens J, Milne RJ. Discounting health outcomes in economic evaluation: the ongoing debate. *Value Health* 2004; 7: 397-401.
18. Bos JM, Postme MJ, Annemans L. Discounting health effects in pharmacoeconomic evaluations: current controversies. *Pharmacoeconomics* 2005; 23: 639-649.
19. Graf von der Schulenburg JM, Hoffman C. Review of European guidelines for economic evaluation of medical technologies and pharmaceuticals. *HEPAC* 2000; 1: 2-8.
20. Weinstein MC, Siegel JE, Gold MR, Chalet MS, Russell LB, for the panel on cost-effectiveness in health and medicine. Recommendations of the panel on cost-effectiveness in health and medicine. *JAMA* 1996; 276: 1253-1258.
21. Stinnett A, Mullahy J. Net health benefits: a new framework for the analysis of uncertainty in cost-effectiveness analysis. *Med Dec Making* 1998; 18: S68-S80.
22. Trueman P, Drummond M, Hutton J. Developing guidance for budget impact analysis. *Pharmacoeconomics* 2001; 19: 609-621.
23. Briggs AH. Handling uncertainty in cost-effectiveness models. *Pharmacoeconomics* 2000; 17: 479-500.

24. Fenwick L, Claxton K, Sculpher M. Representing uncertainty: the role of cost-effectiveness acceptability curves. *Health Econ* 2002; 10: 779-789.
25. Sculpher M, Claxton K. Establishing the cost-effectiveness of new pharmaceuticals under conditions of uncertainty-when is there sufficient evidence? *Value Health* 2005; 8: 433-446.
26. Claxton K, Sculpher M. Using value of information analysis to prioritise health research. Some lessons from recent UK experience. *Pharmacoeconomics* 2006; 24: 1055-1068.
27. De Graeve D, Nonneman W. Pharmacoeconomic studies: pitfalls and problems. *Int J Technol Assess Health Care* 1996; 12: 22-30.
28. Klepser DG. Pitfalls associated with commonly used methods for pharmacoeconomics analyses. *Pharmacotherapy* 2002; 22(2 Pt 2): 35S-38S.
29. Sculpher MJ, Drummond MF. Analysis sans frontiers: can we ever make economic evaluations generalisable across jurisdictions? *Pharmacoeconomics* 2006; 24: 1087-1099.
30. International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR). Pharmacoeconomic guidelines around the world (www.ispor.org).
31. López Bastida J, Oliva J, Antoñanzas F, García-Altés A, Gisbert R, Mar J, et al. Propuesta de guía para la evaluación económica aplicada a las tecnologías sanitarias: una guía práctica. *Gac Sanit* 2010; 24: 209-214.

Evaluación económica de medicamentos y tecnologías sanitarias:

Principios, métodos y aplicaciones en política sanitaria

Soto Álvarez, J.

2012, VIII, 320 p. 44 illus., 2 illus. in color., Softcover

ISBN: 978-84-940346-1-9