



EN AUSENCIA DE DIFERENCIAS EN GRAVEDAD, COSTE O EFECTIVIDAD DE LOS TRATAMIENTOS, LOS NORUEGOS NO MUESTRAN UNA MAYOR DISPONIBILIDAD A PAGAR EN LAS ENFERMEDADES RARAS

RESUMEN

Objetivo

Conocer si la sociedad noruega tiene unas preferencias por el tratamiento de las enfermedades raras sobre las frecuentes que justifiquen la aceptación de umbrales coste-efectividad más altos para fármacos huérfanos.

Diseño

Encuesta transversal, mediante cuestionario web, a una muestra aleatoria de 1547 noruegos (n=6000; tasa de respuesta del 26%) de 40 a 67 años de edad.

Medida de resultado principal

Elección, ante dos escenarios, entre financiar el tratamiento de una enfermedad rara y una frecuente (coste idéntico del tratamiento por paciente para ambos tipos de enfermedad y coste de las raras cuatro veces más alto que el de las frecuentes).

Resultados

En el escenario de igual coste de tratamiento por paciente, el 11,2% (IC95%: 9,6-12,8) de los encuestados escogieron tratar las enfermedades raras, 24,9% (21,7-26,0) las frecuentes, y 64,9% (62,6-67,3), se mostraron indiferentes. Las actitudes expresadas (escala Likert de 1 a 5; 5 = completamente de acuerdo)

revelaron un fuerte respaldo a las afirmaciones los pacientes con enfermedades raras tienen derecho a tratamiento incluso si éste es más caro (media=4,5; DS=0,86) y deben destinarse recursos para proporcionar los mayores beneficios posibles para la salud (3,9; DS=1,23).

Conclusiones

A pesar de la opinión general de que el derecho al tratamiento de los pacientes con enfermedades raras es el mismo que el de aquellos con enfermedades frecuentes, la preferencia social por las raras se debilita si su tratamiento se financia a expensas de las frecuentes.

Financiación:

Norwegian Research Council y Health Economics Research Programme (HERO) de la University of Oslo.

Conflicto de intereses:

ninguno declarado.

Correspondencia:

a.s.desser@medisin.uni.no.

COMENTARIO

El debate en torno a las enfermedades raras aumenta y se acalora. La comercialización de un número creciente de fármacos huérfanos, el notable incremento del gasto y su impacto presupuestario lo espolean. Cabe esperar que se intensifique: se desarrollan y pretenden comercializar más métodos de diagnóstico genético, aunque pocas solicitudes de autorización alcanzan estándares mínimos de validez analítica, validez clínica y utilidad clínica, y muchas pruebas incumplen los criterios para ser aceptadas como métodos de cribado (1); con fármacos comercializados para enfermedades frecuentes se encuentran nuevas indicaciones para raras; varias enfermedades frecuentes se fragmentan en diversos trastornos cuya menor prevalencia las convierte en huérfanas; se investigan tratamientos encaminados a una medicina personalizada; mejora el conocimiento de las más de 6.000 enfermedades raras existentes. En países que disponen de sistemas razonablemente sólidos y transparentes de aprobación y financiación de medicamentos crece la presión por establecer umbrales de coste-efectividad más altos que para el resto de medicamentos apelando a la regla del rescate, a la escasez de tratamientos, y a su gravedad y rareza. Los que se oponen a conferir estatus especial a estas enfermedades sugieren, por añadidura a su grávido argumentario, que sólo puede justificarse dicho estatus si se demuestra una preferencia expresa de la sociedad por priorizarlas y tratarlas (2-4). Pero desconocemos esas preferencias que, hasta la fecha, sólo se han podido barajar como supuestos.

Este estudio se halla entre los primeros que intentan conocerlas y en ello estriba su principal aportación a la controversia, no obstante sus limitaciones (los métodos usados para exteriorizar preferencias y encuadrar el problema pueden dirigir las respuestas; el borroso campo semántico del término indiferente; es difícil discernir preferencia por rareza de preferencia por justicia en el segundo escenario planteado, al igual que extrapolar las preferencias de los noruegos a las de personas de otros países; la baja tasa de respuesta pone en entredicho la representatividad de la muestra; el coste del tratamiento de muchos medicamentos huérfanos supera con mucho en 4 veces el de las frecuentes, y otras). Pero queda claro que, en ausencia de otras diferencias (gravedad, efectividad de los tratamientos, coste) no han detectado preferencia social por la rareza.

Ni esperar resultados de más estudios sobre preferencias ni el creciente gasto en medicamentos huérfanos, su escasa eficacia (y altas razones de coste-efectividad), el riesgo global de insolvencia del sistema, ni la resolución del servido debate justifican la inacción. Como medidas a corto plazo se ha propuesto mejorar los mecanismos de fijación de precios, que los fármacos huérfanos se excluyan de los esquemas de financiación especial (el retorno de inversión ya lo garantizan sus indicaciones para enfermedades frecuentes), que la efectividad como uno de los criterios rectores de la práctica clínica deje paso a las razones de coste-efecti-

vidad y a la dimensión social de la eficiencia, y que la mejora de variables intermedias como criterio de aprobación de fármacos (muchas son bioquímicas en ensayos clínicos para medicamentos huérfanos) haga lo propio con las de resultado clínico.

A largo plazo, urge que las enfermedades raras se adapten a los modelos ya empleados con las enfermedades olvidadas (*neglected*) de asociación entre los sectores público y privado y la sociedad civil, y a fomentar el diálogo preventivo (5). Por imperativos de equidad, eficiencia y de orden moral, no deben tomarse decisiones haciendo caso omiso de su coste de oportunidad. Lo inadmisibles sería que, *ceteris paribus* (o *mutatis mutandis* con fines precipitados y reformistas que yerran el tiro) el coste del tratamiento de pocas víctimas identificables absorbiera los recursos destinados a sufragar el de muchos desconocidos.

REFERENCIAS:

- (1) Annes JP, Giovanni MA, Murray MF. Risks of presymptomatic direct-to-consumer genetic testing. *NEJM*. 2010;363:1100-1.
- (2) McCabe C, Claxton K, Tsuchiya A. Orphan drugs and the NHS: should we value rarity? *BMJ*. 2005;331:1016-9.
- (3) Hughes DA, Tunnage B, Yeo ST. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *QJM*. 2005;98:829-36.
- (4) National Institute for Health and Clinical Excellence. Response to Sir Ian Kennedy's Report Appraising the value of innovation. London: NICE; 2009.
- (5) McCabe C, Stafinski T, Menon D. Is it time to revisit orphan drug policies? *BMJ*. 2010;341:c4777.

Carlos Campillo Artero

Servei de Salut de les Illes Balears

REFERENCIAS

- Desser AS, Gyrd-Hansen D, Olsen JA, Grepperud S, Kristiansen IS. Societal views on orphan drugs: cross-sectional survey of Norwegians aged 40 to 67 *BMJ* 2010;341:c4715.