



## Guía básica de la política del RDLA: *Antecedentes de los marcos de estimación de valor*

**Información de fondo:** El costo al consumidor de los medicamentos y tratamientos médicos nuevos aprobados por la FDA lo establece el fabricante del producto. No obstante, para determinar si el precio determinado por el fabricante es un precio justo, las partes interesadas (aseguradores, pacientes, proveedores de servicios de salud, etc.) necesitan un método para determinar objetivamente el valor del fármaco. Las estimaciones de valor son marcos para la revisión de medicamentos o tratamientos, su efectividad y el costo en comparación con otros medicamentos o tratamientos similares. Las estimaciones de valor son un concepto relativamente nuevo en los Estados Unidos, y todavía se están desarrollando y puliendo los marcos para determinar la mejor manera de medir el valor de un medicamento.

Uno de los encargados de las estimaciones de valor es el Institute for Clinical and Economic Review (ICER), una organización independiente no partidaria que ha desarrollado un marco para estimaciones de valor basadas en evidencias para tecnologías de la salud nuevas. Por ejemplo, el marco del ICER toma una perspectiva a nivel de población; en lugar de ayudar a cada paciente y a cada proveedor de servicios de salud a decidir si el tratamiento nuevo es útil para ellos, el marco del ICER apunta a brindar una evaluación global de la rentabilidad del medicamento.

El marco actual del ICER incorpora las siguientes consideraciones:

- ¿Cuán eficaz es el medicamento?
- ¿Es mejor que los medicamentos que ya están en el mercado?
- ¿Cuánto dinero invertido en salud puede ahorrar?
- ¿Cuál sería el costo para tratar a todas las personas que lo necesiten?

Además, el marco del ICER incluye las siguientes consideraciones contextuales:

- nivel de gravedad de la enfermedad para el que se usará el tratamiento,
- si es el primer tratamiento para la enfermedad y
- el nivel de incertidumbre en cuanto a los beneficios y/o efectos secundarios al largo plazo del tratamiento

Con estos factores en cuenta, el ICER presenta una recomendación de precio para el tratamiento nuevo.

**Marco del ICER para la revisión de productos para enfermedades extremadamente raras:** En el 2017, los defensores de la comunidad de pacientes con enfermedades raras impulsaron al ICER a reevaluar su marco. Estos defensores estaban preocupados porque el marco no hubiera sido diseñado para generar análisis precisos debido a una falta de sensibilidad a los diseños de ensayos y caminos regulatorios comúnmente aplicados en el desarrollo de productos para pacientes con enfermedades raras. Luego de nueve meses de colaboración con la comunidad de pacientes con enfermedades raras y otras partes interesadas, se publicó un marco del ICER en 2017 y se lo actualizó en 2020 para que incluyera la evaluación de tratamientos de enfermedades extremadamente raras (prevalencia de la enfermedad <200.000).

Rare Disease Legislative Advocates (RDLA, Activistas Legislativos de Pacientes con Enfermedades Raras) es un programa de la fundación para enfermedades raras EveryLife que apoya la defensa de todos los pacientes con enfermedades raras y las organizaciones vinculadas a estas. El programa RDLA tiene el compromiso de desarrollar la comunidad de defensores de los pacientes y trabajar de manera colaborativa para amplificar la voz del paciente para que sea escuchado por los legisladores locales, estatales y federales. Para recibir asistencia, puedes ponerte en contacto con Shannon von Felden, Directora del programa RDLA, a la siguiente dirección de correo electrónico: [svonfelden@everylifefoundation.org](mailto:svonfelden@everylifefoundation.org).

[www.RareAdvocates.org](http://www.RareAdvocates.org)

@RareAdvocates





**Compromiso con la política:** La comunidad de pacientes con enfermedades raras se ha comprometido de manera activa para garantizar que los pacientes, proveedores de salud y organismos decisorios relacionados contaran con recursos basados en evidencias para una toma de decisiones informada sobre qué productos son apropiados para qué pacientes en qué etapa de la enfermedad. Para cumplir con dicho objetivo, las evaluaciones pueden servir como recurso adicional dentro del ecosistema relacionado. No obstante, las estimaciones de valor no deben usarse como única herramienta para que se obstaculice el acceso de los pacientes a los productos aprobados.

La comunidad de pacientes con enfermedades raras está comprometida a trabajar con las partes interesadas y con sus asociados dentro del espacio de estimación de valor para tratar las limitaciones de los marcos actuales para lidiar con los siguientes aspectos:

- **Valor informado por el paciente:** Gracias a décadas de defensa, financiación e innovación, nuestro panorama de salud está cambiando rápidamente. A medida que surgen tratamientos nuevos en el mercado, los pacientes, proveedores de salud y los inversores se enfrentan con desafíos sobre cómo discernir qué tratamientos son los más adecuados para qué pacientes en qué combinaciones y en qué momento. Para facilitar esta toma de decisiones, se intenta definir el 'valor' de las intervenciones específicas. Y en torno a esta definición de 'valor' existe un sector entero. Pero, a la fecha, los marcos y la información utilizados para estimar el valor de un producto no han estado, tradicionalmente, basados en valores que tomen en cuenta la experiencia de las comunidades de pacientes. Se ha criticado a los marcos de estimaciones de valores por la falta de inclusión de información de experiencia de pacientes, incluidos los resultados más relevantes para los pacientes. Los marcos deben incluir los valores de pacientes y cuidadores como elemento central en su modelado, y no tomarlos como simples consideraciones contextuales.
- **Año de vida ajustado por calidad (QALY):** El QALY es una medida económica de salud de resultados considerada por el ICER y otros legisladores como el estándar principal, pero gran parte de la comunidad de pacientes con enfermedades raras la consideran poco ética. El QALY es un cálculo que combina la morbilidad (calidad de vida) con la mortalidad (cantidad de vida) para estimar el valor de intervenciones de salud específicas. Un año de vida en perfectas condiciones equivale a 1 QALY. Un año de vida en un estado inferior a estado de salud perfecto equivale a menos de 1 QALY. La muerte tiene valor 0. Alguien que tiene un diagnóstico que limita su vida o le genera una discapacidad tendrá un valor de QALY inferior a 1, mayor a 0 relativo a una evaluación subjetiva del nivel de discapacidad. El uso del QALY devalúa inherentemente la calidad de vida de las personas con discapacidades al asignar un QALY inferior al de una persona sin discapacidad o enfermedad diagnosticada. El QALY supone que un año de vida de alguien con una enfermedad rara no tiene el mismo valor. El QALY tampoco admite el cambio de preferencias del paciente.

Rare Disease Legislative Advocates (RDLA, Activistas Legislativos de Pacientes con Enfermedades Raras) es un programa de la fundación para enfermedades raras EveryLife que apoya la defensa de todos los pacientes con enfermedades raras y las organizaciones vinculadas a estas. El programa RDLA tiene el compromiso de desarrollar la comunidad de defensores de los pacientes y trabajar de manera colaborativa para amplificar la voz del paciente para que sea escuchado por los legisladores locales, estatales y federales. Para recibir asistencia, puedes ponerte en contacto con Shannon von Felden, Directora del programa RDLA, a la siguiente dirección de correo electrónico: [svonfelden@everylifefoundation.org](mailto:svonfelden@everylifefoundation.org).

[www.RareAdvocates.org](http://www.RareAdvocates.org)

@RareAdvocates

