

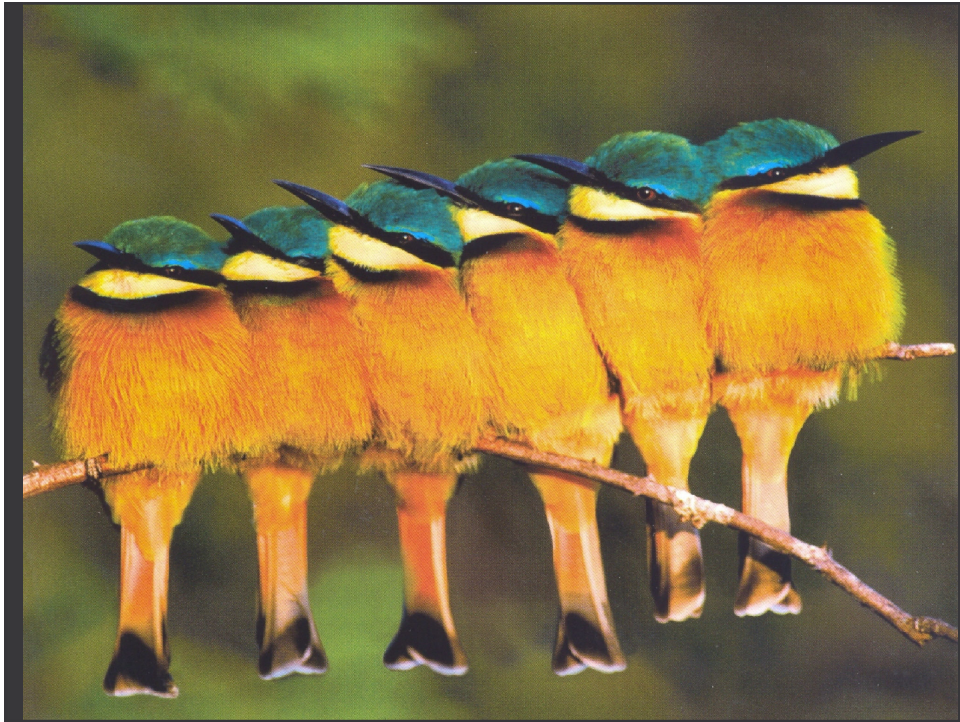
NICE y su papel en la selección y evaluación de medicamentos

Dra Amanda Burls, Directora
West Midlands Health Technology Assessment Collaboration
University of Birmingham



Método de la sesión

- ❖ Toda la sesión será interactiva
 - Hablaré sobre un tema y podéis interrumpirme en cualquier momento
 - Habrá una oportunidad más formal para hacer preguntas o aportaciones después de cada tema
- ❖ Con el café habrá sesión de trabajo en grupos pequeños
- ❖ Terminaremos con discusión en sesión plenaria



Abordaje y estructura de la charla

1. ¿Qué es NICE?
Antecedentes, estructura, productos, actividades
2. ¿Por qué es importante la evaluación económica?
3. ¿Cómo se elaboran las evaluaciones que informan las decisiones de NICE?
4. Evolución, contexto e impacto de NICE
5. Límites, futuras direcciones y dudas

Abordaje y estructura de la charla

1. ¿Qué es NICE?
Antecedentes, estructura, productos, actividades
2. ¿Por qué es importante la evaluación económica?
3. ¿Cómo se elaboran las evaluaciones que informan las decisiones de NICE?
4. Evolución, contexto e impacto de NICE
5. Límites, futuras direcciones y dudas

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

1. ¿Qué es NICE?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

1. ¿Qué es NICE?

❖ **NICE** es el

National **I**nstitute *for Health* and
Clinical **E**xcellence

*(Instituto Nacional para la Salud y
Excelencia Clínica)*

❖ 1999

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Antecedentes históricos

- ❖ Ante problemas similares diversas personas responden de manera diferente
- ❖ Las investigaciones de buena calidad tardan en alcanzar e instalarse en la práctica clínica
- ❖ Hay muchas intervenciones y prácticas cotidianas que no han sido evaluadas o, peor todavía, que han sido evaluadas y son ineficaces o causan daño
- ❖ Un aumento exponencial de nuevos tratamientos
- ❖ → La medicina basada en la evidencia

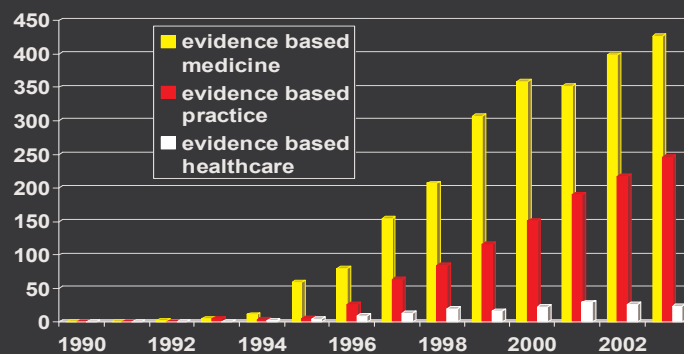
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Medicina Basada en la Evidencia

”La Medicina Basada en la Evidencia (MBE) es el uso consciente, explícito y juicioso de la mejor y más actualizada evidencia disponible para la toma de decisiones en la asistencia sanitaria.”

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

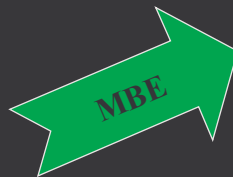
Medline – empleo de términos



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

¿Qué es la MBE?

Conocimiento
fisiopatológico
o adquirido
personalmente
o opinión



Conocimiento
adquirido en la
investigación

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Por qué es importante basar las
decisiones en la evidencia?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Hay variaciones en la práctica médica

- ❖ No explicables por diferencias en las necesidades, recursos o valores
- ❖ Superior a la esperable por azar
- ❖ Conclusión: mucho del ejercicio médico no puede estar basado en la mejor evidencia disponible

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Wennberg 1997

“Lo que cambió fue el concepto de que existía un centro en medicina con sólidas bases científicas. Siempre se ha sabido de la existencia de algunas personas [outliers] que practican erróneamente la medicina, pero lo que empezó a entenderse es que el problema afectaba a la tendencia central. Todo variaba.”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Discrepancias en la práctica clínica



“ Te comento que solamente uno de cada diez médicos lo recomienda ”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Un ejemplo concreto
(no farmacéutico)...

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Si sufrieras un accidente de tráfico que preferirías?

¿Qué el equipo utilice los métodos de soporte vital avanzado y te estabilicen en la calle?

“quedar y jugar”



o

¿Qué te lleven a un centro de trauma lo más pronto posible aplicando sólo soporte vital básico?

“recoger y correr”

Revisión sistemática de ATLS vs BLS

- ❖ Liberman et al J Trauma 2000 49(4):584-599
- ❖ 174 artículos identificados
- ❖ 15 con información sobre la mortalidad
- ❖ Dirección del resultado por calidad:-

Metodología	ATLS	BLS
▪ Regular	1	5
▪ Bueno	1	1
▪ Excelente	1	6

- ❖ Meta-análisis
 - OR 2.92
 - OR ajustado por la calidad 2.59

¿Por qué es importante basar las decisiones en la evidencia?

- ❖ Si hay variación en la práctica clínica que no es explicable por diferencias en las enfermedades, recursos o valores, algunas personas no están haciendo lo mejor para sus pacientes
- ❖ Las intervenciones no evaluadas pueden hacer más daño que bien

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Podéis pensar en algunos ejemplos donde hemos hecho más daño que bien?

- ❖ flecainamida
- ❖ albúmina (en lugar de cristaloides)
- ❖ oxígeno en los neonatos prematuros
- ❖ aconsejar a las madres que los bebés duerman boca abajo
- ❖ COXII Inhibitors
- ❖ mastectomía radical

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Por qué no hemos hecho lo mejor para los pacientes?

- ❖ Falta de investigación científica (“es obvio”)
- ❖ Falta de divulgar los resultados
- ❖ Ignorancia de la evidencia
- ❖ Falta de revisar sistemáticamente la evidencia
- ❖ Coste

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Mastectomía radical

"Es un escándalo que los médicos hayamos mutilado sistemáticamente a miles de mujeres sin la menor evidencia que fuéramos a hacerlas más bien que daño"

Iain Chalmers



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Revisión sistemática del reposo absoluto

- ❖ 10 ensayos del reposo en la cama después de punción lumbar
 - no había diferencia en dolor de cabeza
 - el dolor de espalda aumentó

Allen, Glasziou, Del Mar. Lancet, 1999

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Qué ocurre en la práctica?

- ❖ 80% de los protocolos en las unidades de neurología en el Reino Unido recomiendan reposo después de PL

Serpell M, BMJ 1998;316:1709–10

...las pruebas de daño fueron disponibles 17 años antes...

- ❖ ¡Seguimos con el reposo! (25 años)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

“Los pacientes deben recibir la atención fundamentada en el mejor conocimiento científico disponible. El cuidado de la salud no debe variar ilógicamente de clínico a clínico o de lugar a lugar...”

Committee on Quality of
Health Care in America
2001

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Razón para NICE

“Actualmente no hay una aproximación coherente a la evaluación crítica de la evidencia y la producción de guías para la práctica clínica. NICE acabará con esta confusión proveyendo un enfoque simple y nacional”



A First Class Service 1998

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Las funciones de NICE

- ❖ Guías:
 - Evaluaciones de tecnologías
 - Guías clínicas y auditoría
 - Evaluación de procedimientos intervencionistas
- ❖ Protocolos de interconsulta
- ❖ Investigaciones confidenciales
- ❖ Health Protection Agency (Agencia para la Protección de la Salud)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Tecnologías:

- ❖ Medicamentos
- ❖ Técnicas diagnósticas
- ❖ Procedimientos quirúrgicos
- ❖ Actividades para la promoción de la salud
- ❖ Organización de servicios
- ❖ Medical devices

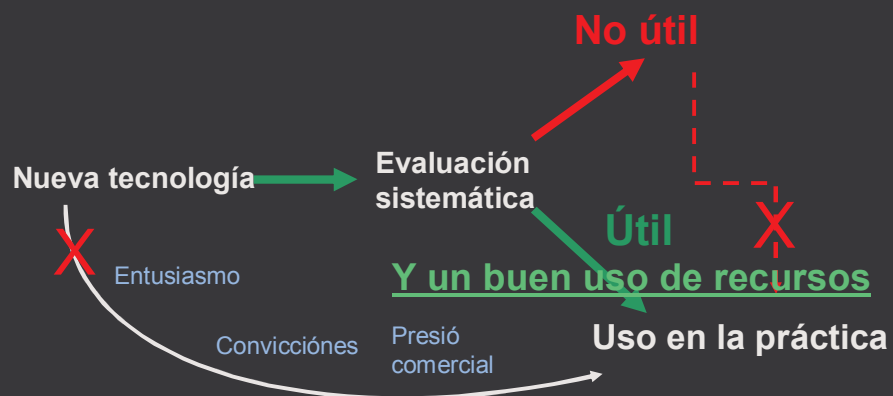
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Tecnologías:

- ❖ Medicamentos
- ❖ Técnicas diagnósticas
- ❖ Procedimientos quirúrgicos
- ❖ Actividades para la promoción de la salud
- ❖ Organización de servicios
- ❖ Medical devices

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Evaluación de nuevas tecnologías sanitarias



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Productos de NICE

“El principal producto de la evaluación crítica será que NICE aconseje sobre la circunstancias en las cuales la intervención es recomendada para uso rutinario en el Sistema de Salud.”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Ejemplo del producto: Una guía



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

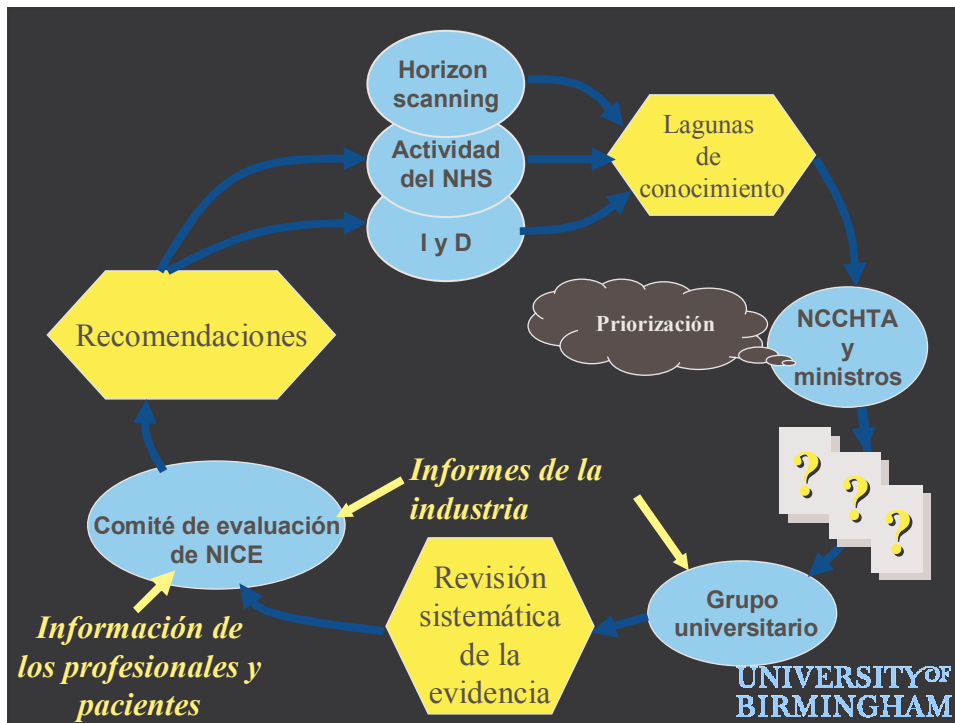
Nivel de evidencia

Hierarchy of evidence	
Grade	Type of evidence
Ia	Evidence from a meta-analysis of randomised controlled trials
Ib	Evidence from at least one randomised controlled trial
IIa	Evidence from at least one controlled study without randomisation
IIb	Evidence from at least one other type of quasi-experimental study
III	Evidence from observational studies
IV	Evidence from expert committee reports or experts
Grading of recommendation	
Grade	Evidence
A	Directly based on category I evidence
B	Directly based on category II evidence or extrapolated from category I evidence
C	Directly based on category III evidence or extrapolated from category I or II evidence
D	Directly based on category IV evidence or extrapolated from category I, II or III evidence

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

El proceso y estructura de NICE

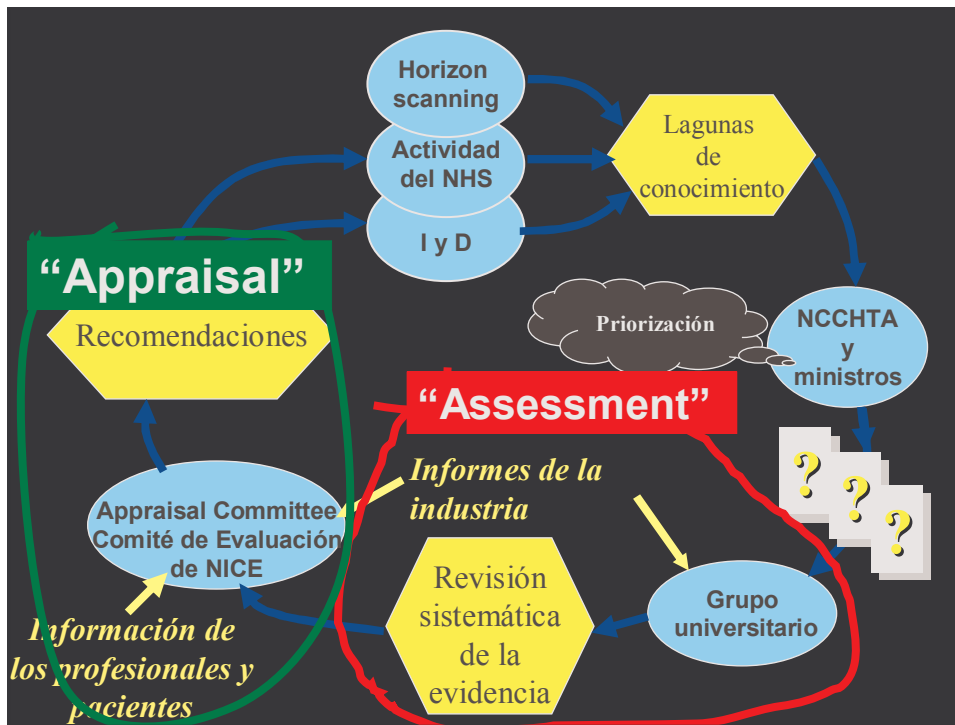
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



El Comité de Evaluación ("Appraisal")

"...un comité independiente que incluye profesionales de salud que trabajan dentro del servicio nacional de salud (NHS) y personas con conocimiento de los intereses y problemas que afectan a los pacientes y sus familias y cuidadores"

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



Abordaje y estructura de la charla

1. ¿Qué es NICE?
Antecedentes, estructura, productos, actividades
2. ¿Por qué es importante la evaluación económica?
3. ¿Cómo se elaboran las evaluaciones que informan las decisiones de NICE?
4. Evolución, contexto e impacto de NICE
5. Límites, futuras direcciones y dudas

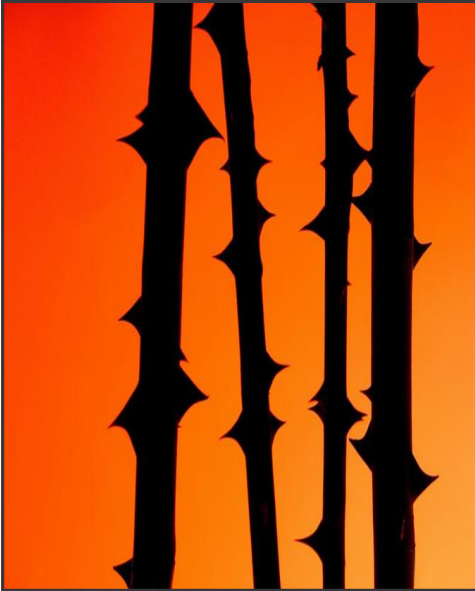
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Evaluación de nuevas tecnologías sanitarias



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Estás de acuerdo?



“Cualquier tratamiento que hace más bien que mal debe ser pagado por el servicio de salud, si el paciente y su médico lo quieren usar, pese a lo que cueste.”

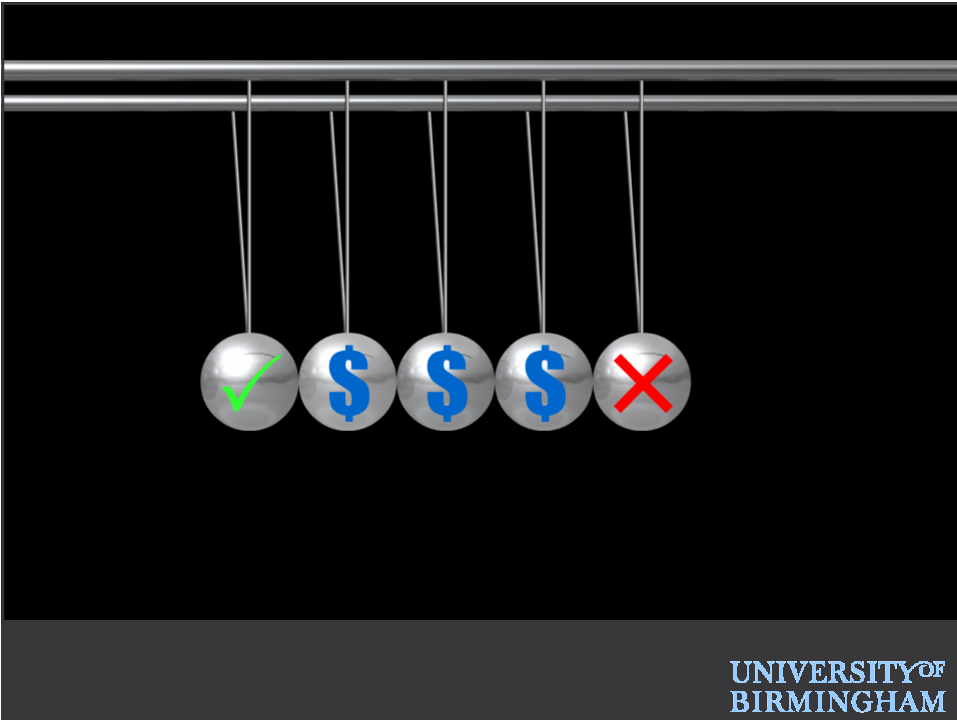
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



Individo vs Población



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Veamos un ejemplo real...

Una droga aprobada hace un año pasado por la FDA
fue:

tadalafil
(Cialis™)

Compañía: Eli Lilly
Tratamiento de: Disfunción eréctil

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Una pregunta

- ❖ ¿Debería el servicio de salud público financiar el tadalafil?
- ❖ ¿Qué información necesitarías para tomar una decisión razonable y juiciosa?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Información útil

- ❖ ¿Funciona?
- ❖ ¿Cuán bien funciona?
- ❖ ¿Es seguro?
- ❖ ¿Se tolera bien?
- ❖ ¿Merecen la pena los beneficios sobre los riesgos y los daños?
- ❖ ¿Está disponible?
- ❖ ¿Cuánto cuesta?
- ❖ ¿Ahorra dinero?
- ❖ ¿Hay tratamientos alternativos?
- ❖ Si los hay, ¿cómo se comparan con el tadalafil?
- ❖ ¿El nuevo tratamiento merece la pena?
- ❖ ¿Nos los podemos permitir?
- ❖ ¿Encaja en las prioridades sociales?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Primera consideración

¿Es

- ❖ Eficaz? (no inútil)
- ❖ Seguro? (sin daño excesivo)
- ❖ Disponible? (factibilidad)

(Papel de las agencias reguladoras: EMEA, FDA)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Segunda consideración

- ❖ ¿Cuáles son los beneficios clínicos y los riesgos probables?
- ❖ ¿Cómo se comparan con los tratamientos alternativos?
- ❖ Conocido esto, ¿al menos algunos médicos y pacientes desearían utilizarlo? (Valores)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Tercera consideración

- ❖ Dado que algunos les gustaría usarlo, ¿puede (o debe) el servicio de salud financiarlo?
 - ¿Merece la pena?
 - ¿Nos lo podemos permitir?
 - ¿Encaja con nuestras prioridades sociales?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Conceptos importantes:

- ❖ Tipos de evaluación económica
- ❖ Perspectiva
- ❖ Coste incremental
- ❖ Descuento
- ❖ Análisis de sensibilidad

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Deberíamos usar las drogas siguientes?

- ❖ Una nueva droga es igual de efectiva y tiene un perfil de efectos adversos similar a la vieja droga pero cuesta menos
- ❖ Una nueva droga es igualmente efectiva y tiene un perfil de efectos adversos similar a la vieja droga pero cuesta más

“Análisis de coste-minimización”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Deberíamos usar las drogas siguientes?

- ❖ Droga A es más efectiva y tiene un perfil de efectos adversos similar a droga B y cuesta lo mismo
- ❖ Droga A es menos efectiva y tiene un perfil de efectos adversos similar a droga B y cuesta lo mismo

“Análisis de coste-efectividad”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Cuándo los costes y la efectividad son diferentes?

Antigüina®
(€100/persona tratada)
Cura 10 / 20

Nuevofol®
(€120/persona tratada)
Cura 11 / 20

La compañía dice
“Nuevofol® es más efectiva y sólo marginalmente más cara”

¿Estás de acuerdo?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



¿Cuál es la diferencia en coste medio por paciente curado?

Nuevofol® (€120/Rx): Cura 11/ 20

Antigüina® (€100/Rx): Cura 10 / 20

- ❖ Nuevofol® Coste/paciente curado
= $(€120 \times 20)/11$ = €218
- ❖ Antigüina® Coste/paciente curado
= $(€100 \times 20)/10$ = €200
- La diferencia en coste medio/paciente curado = €18

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

€218 vs €200/paciente curado
(<10% más!)

La compañía farmacéutica:

“Nuevofol® es más efectiva y sólo marginalmente más cara”

¿Estás de acuerdo?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Qué significa una diferencia
media de €18?

- ❖ Los costes medios y las diferencias en costes medios no son muy informativos
- ❖ Es mucho más importante conocer cuánto necesitaríamos gastar para curar un paciente adicional con la nueva droga
- ❖ Es decir, ¿cuál es el **coste incremental** de Nuevofol®?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Cuál es el coste de curar 1 paciente extra? (Coste Incremental)

Nuevofol® (€120/Rx): Cura 11/ 20

Antigüina® (€100/Rx): Cura 10 / 20

Coste de curar 11 pacientes con Nuevofol® = €2400

Coste de curar 10 pacientes con Antigüina® = €2000

• • Curar un paciente más cuesta = €400

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

€400 por paciente extra curado
(El doble del coste actual/paciente curado)

Compañía farmacéutica:

“Nuevofol® es más efectivo y sólo marginalmente más caro”

¿Estás de acuerdo?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Análisis del impacto presupuestario

(Disponéis de un presupuesto fijo de €2400)

- ❖ Presupuesto = €2400
- ❖ Antigüina® puede tratar 24 pacientes
- ❖ 12 se beneficiarán
- ❖ Presupuesto = €2400
- ❖ Nuevofol® puede tratar 20 pacientes
- ❖ 11 se beneficiarán

Con un presupuesto fijo de €2400, usando Antigüina® curaremos más gente que con Nuevofol®

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Entonces ¿cuál es la verdad?

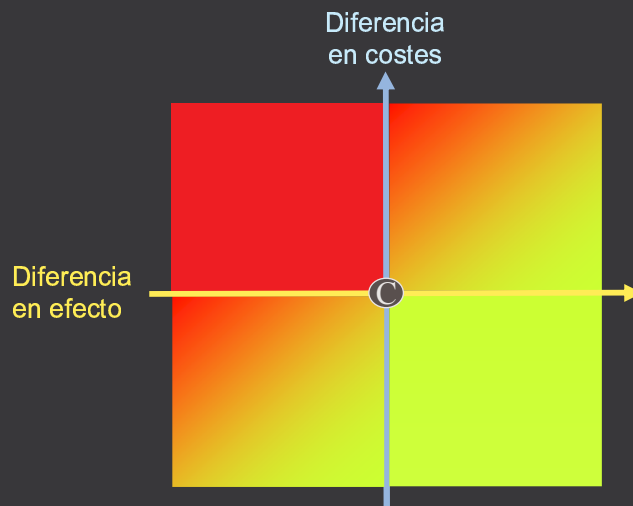
“Nuevofol® es más efectiva y sólo marginalmente más cara”

Recuerda:

Si el coste incremental por unidad de salud ganada con el nuevo tratamiento es mayor que el coste por unidad de salud ganada con el viejo tratamiento, el cambio producirá una **menor** ganancia en salud para un presupuesto dado

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Cost-effectiveness plane



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Problema: comparación de diferentes outcomes o enfermedades

- ❖ Artritis
- ❖ Diabetes
- ❖ Insuficiencia renal
- ❖ Depresión
- ❖ La muerte
- ❖ Días sin fiebre

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Se requieren outcomes medidos en unidades comparables

- ❖ Si dos tratamientos reducen la mortalidad los años de vida ganados (AVG) pueden ser usados para comparaciones entre enfermedades.
 - Ojo: No tiene en cuenta CdV
- ❖ Si tratamientos modifican CdV necesitamos conocer cuán importantes son los outcomes para el paciente, es decir, su *utilidad* para el paciente, para poder compararlos
 - La utilidad se mide en una escala de 0 (muerte) a 1 (salud plena)
- ❖ Se requiere una medición combinada para tratamientos que alargan la vida y afectan a la CdV

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

QALY (AVAC)

- ❖ **Quality-Adjusted Life Year**
- ❖ Se basa en la idea de que la gente está dispuesta a cambiar duración por calidad de vida
- ❖ 0 = muerte, 1 = año con salud plena
- ❖ Ejemplo: 1.5 AVAC puede ser 18 meses con salud plena o 3 años con un estado de salud con utilidad 0.5
- ❖ El coste incremental per AVAC (**ICER**) permite comparaciones entre enfermedades y estados de salud

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Tipos de estudios



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM



Abordaje y estructura de la charla

1. ¿Qué es NICE?
Antecedentes, estructura, productos, actividades
2. ¿Por qué es importante la evaluación económica?
3. ¿Cómo se elaboran las evaluaciones que informan las decisiones de NICE?
4. Evolución, contexto e impacto de NICE
5. Límites, futuras direcciones y dudas

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



Reunir toda la información pertinente



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Aplicación de criterios de inclusión y exclusión



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Extracción los datos



Peinar para separar lo que es
fiable de la basura



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Extraer los resultados



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Combinar los resultados



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Pasos necesarios para poder usar la evidencia

1. Systematic review of scientific evidence
2. Decide implication for policy decision
(Move from systematic review to health technology assessment)
3. Make policy decision
4. Implement policy decision

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Usar la evidencia para hacer algo útil



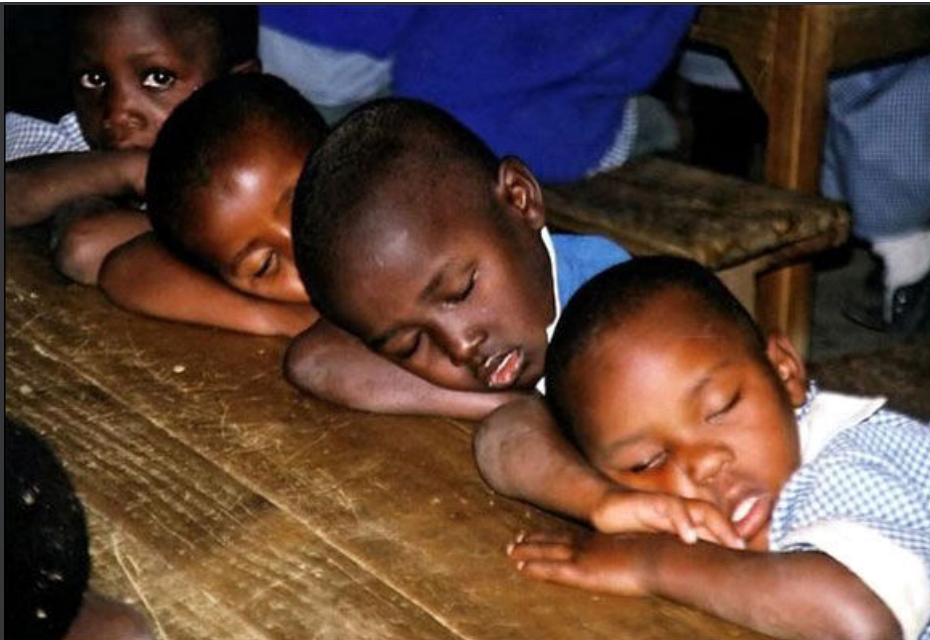
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Usar la evidencia para hacer algo útil (Health technology assessment)



**Requiere el uso
de modelos
(¡y sabiduría!)**

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

En grupos pequeños discutir

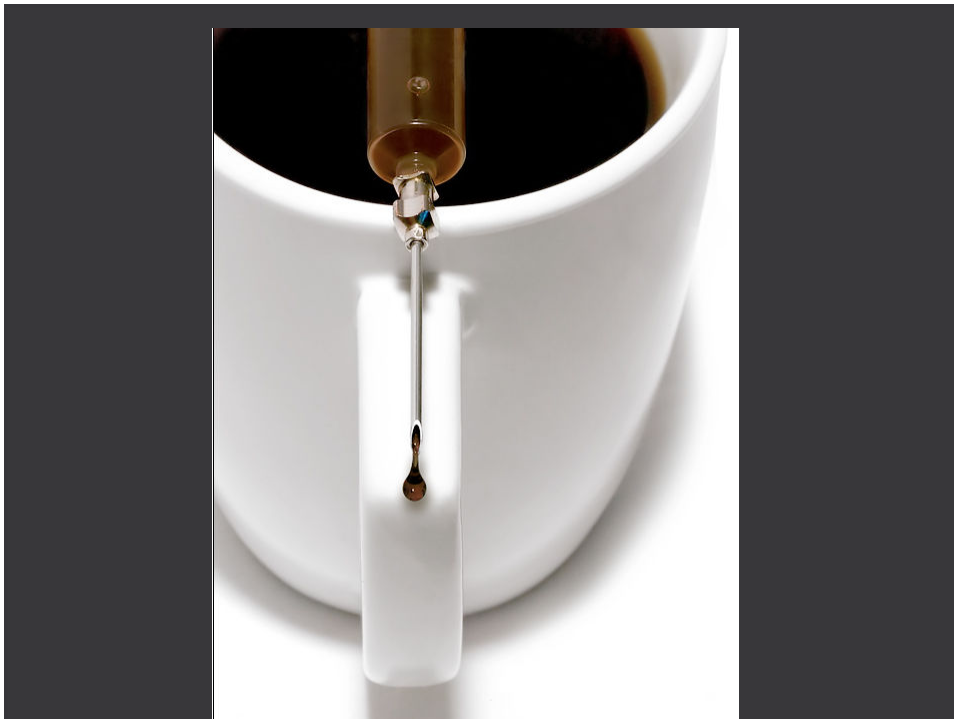
❖ Sobre NICE

- Las ventajas
- Desventajas
- Dudas
- Problemas anticipados
- Dirección en que NICE debe desarrollar
- ¿Se debe hacer en España? – ¿cómo adaptarías el sistema?

❖ ¿Cómo se debe priorizar estos servicios?

1. Terapia de reemplazamiento enzimático en la enfermedad de Gaucher
2. Etanercept para el artritis reumatoide
3. Diálisis en fallo renal
4. Tratamiento de la disfunción eréctil
5. Prótesis de cadera
6. Servicios podológicos para la tercera edad

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



¿Cómo se debe priorizar estos servicios?

1. Terapia de reemplazamiento enzimático en la enfermedad de Gaucher
2. Etanercept para el artritis reumatoide
3. Diálisis en fallo renal
4. Tratamiento de la disfunción eréctil
5. Prótesis de cadera
6. Servicios podológicos para la tercera edad

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Priorización usando ICERs - método que maximiza la ganancia en salud

- ❖ Todos los tratamientos evaluados en cuanto a su coste-efectividad incremental (ICER)
- ❖ Tratamientos ordenados por ICER
- ❖ Comprar primero aquellos con ICER más favorable
- ❖ Continuar bajando en la lista hasta que se acabe el presupuesto

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

ICERs

1. Servicios podológicos para la tercera edad (5K€)
2. Prótesis de cadera (7K€)
3. Tratamiento de la disfunción eréctil (10K€)
4. Diálisis en fallo renal (45K€)
5. Etanercept para el artritis reumatoide (75K€)
6. Terapia de reemplazamiento enzimático en la enfermedad de Gaucher (600K€)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Abordaje y estructura de la charla

1. ¿Qué es NICE?
Antecedentes, estructura, productos, actividades
2. ¿Por qué es importante la evaluación económica?
3. ¿Cómo se elaboran las evaluaciones que informan las decisiones de NICE?
4. Evolución, contexto e impacto de NICE
5. Límites, futuras direcciones y dudas

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Issues

- ❖ Interferencia política
- ❖ Médicos no hacen caso
- ❖ Debates éticos
- ❖ Involucrando el paciente
- ❖ Métodos cada día más exigentes y complejos
- ❖ Burocracia
- ❖ Poder de la industria
- ❖ Falta de coraje
- ❖ Inhibición de la innovación
- ❖ STAs
- ❖ Obligatorio
- ❖ Citizen's panel
- ❖ Más dinero
- ❖ Mejor formación
- ❖ Cortar el presupuesto
- ❖ Estándares
- ❖ Feasibility study
- ❖ Consultaciones (p.e. sobre priorización, STAs)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM





Interferencia política

- ❖ Beta interferon en esclerosis múltiple
- ❖ Un ejemplo concreto

Un ejemplo reciente (2005)

- ❖ Trastuzumab (Herceptin™) para cáncer de mama temprana que es HER2 positivo

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Criterios para decidir si se financia

- ❖ Eficaz
- ❖ Relativamente seguro (beneficios > daños)
- ❖ Buen uso de recursos
- ❖ Ético (p.e. nadie perjudicado)
- ❖ Aceptable (los pacientes lo quieren)
- ❖ Encaja con las prioridades/valores públicos
- ❖ Asequible

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Criterios para decidir si se financia

- ❖ Eficaz
- ❖ Relativamente seguro (beneficios > daños)
- ❖ Buen uso de recursos
- ❖ Ético (p.e. nadie perjudicado)
- ❖ Aceptable (los pacientes lo quieren)
- ❖ Encaja con las prioridades/valores públicos
- ❖ Asequible

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Todavía no sabemos si es seguro

Roche acaban de hacer la solicitud para Herceptin al EMEA este mes. Un decisión está anticipada en julio 2006 o más tarde.

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

“Cancer drug woman wins mums award”

“A former nurse who battled to get the breast cancer drug Herceptin prescribed on the NHS has been honoured in special recognition for her achievement in forcing a change in government policy over the drug.”



BBC News Sunday, 15 January 2006

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Punto de vista de la paciente

“I can't believe that I have been put through all this just so the health authority can balance the books. Human life cannot and should not be measured in pounds.”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Punto de vista poblacional

NHS: *"At this stage the evidence that Herceptin is a cost-effective use of the finite health resources is not confirmed. It would therefore be premature to agree to introduce it as a routine treatment. To do so could seriously affect the availability of care to other patients, including those with other cancers."*

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Presión para el uso de Herceptin

- ❖ Secretary of State for Health:
"Herceptin should not be refused on the grounds of cost."
- ❖ The Lancet: *"claims over the effectiveness and safety of Herceptin should be treated with caution."*



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

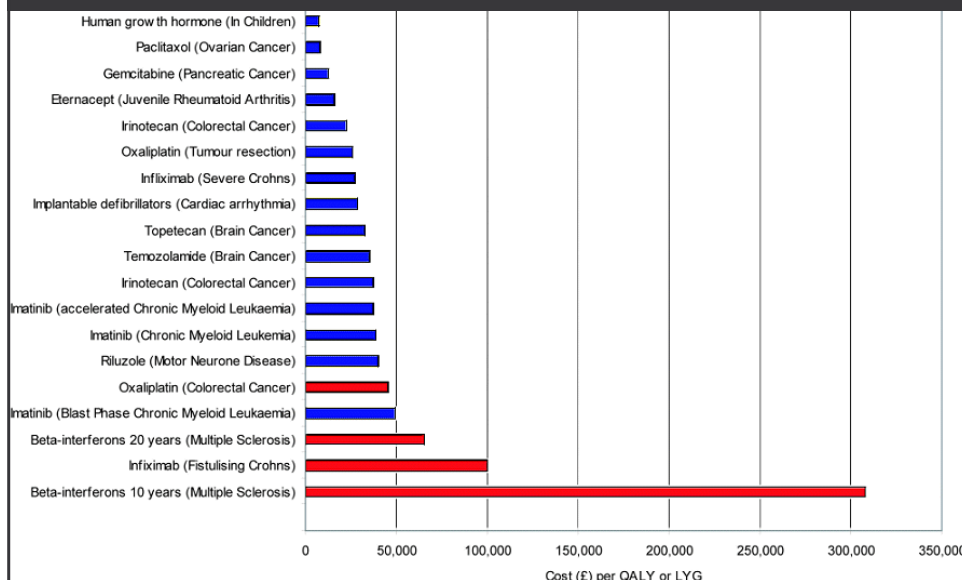
Criterios para decidir si se financia

- ❖ Eficaz
- ❖ Relativamente seguro (beneficios > daños)
- ❖ Buen uso de recursos
- ❖ Ético (p.e. nadie perjudicado)
- ❖ Aceptable (los pacientes lo quieren)
- ❖ Encaja con las prioridades/valores públicos
- ❖ Asequible

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

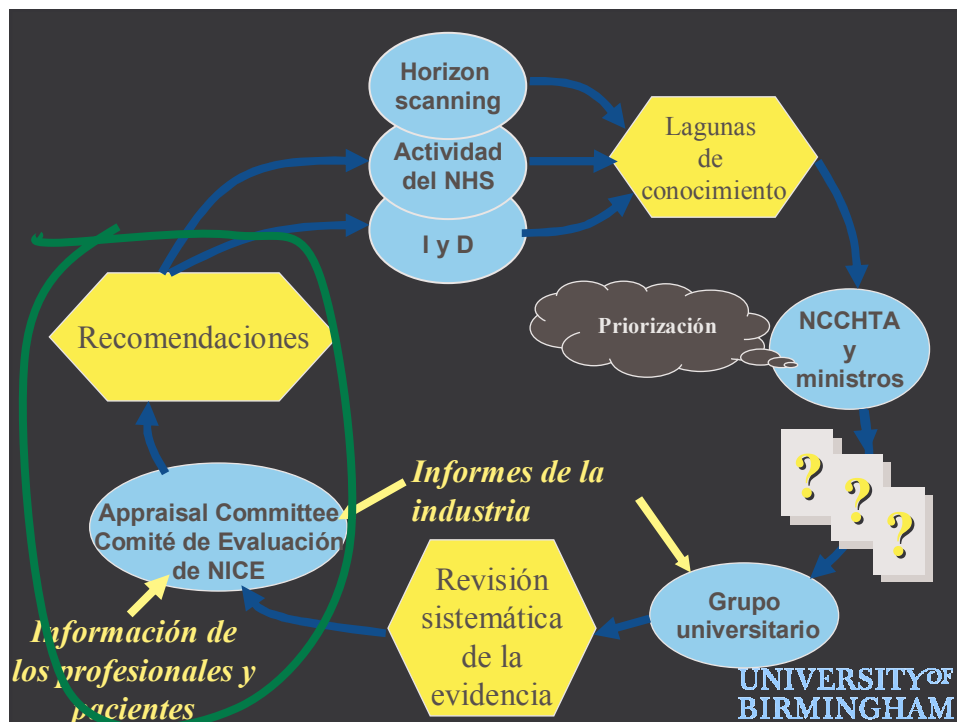


Medicamentos huérfanos considerados por NICE



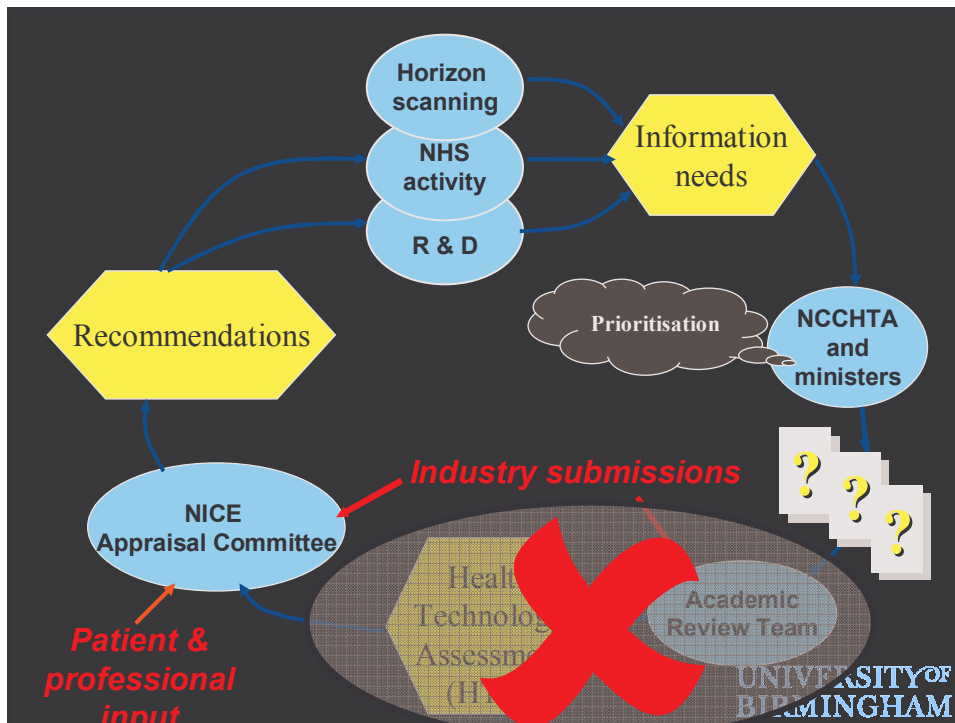
Pasos necesarios para la toma de decisiones sanitarias basadas en la evidencia

1. Systematic review of scientific evidence
2. Decide implication for policy decision
(Move from systematic review to health technology assessment)
3. Make policy decision
4. Implement policy decision



Abril 2006 → STAs

- ❖ Single Technology Assessments
- ❖ Los primeros este abril
- ❖ Informes hechos por la compañía farmacéutica que gana del uso del medicamento

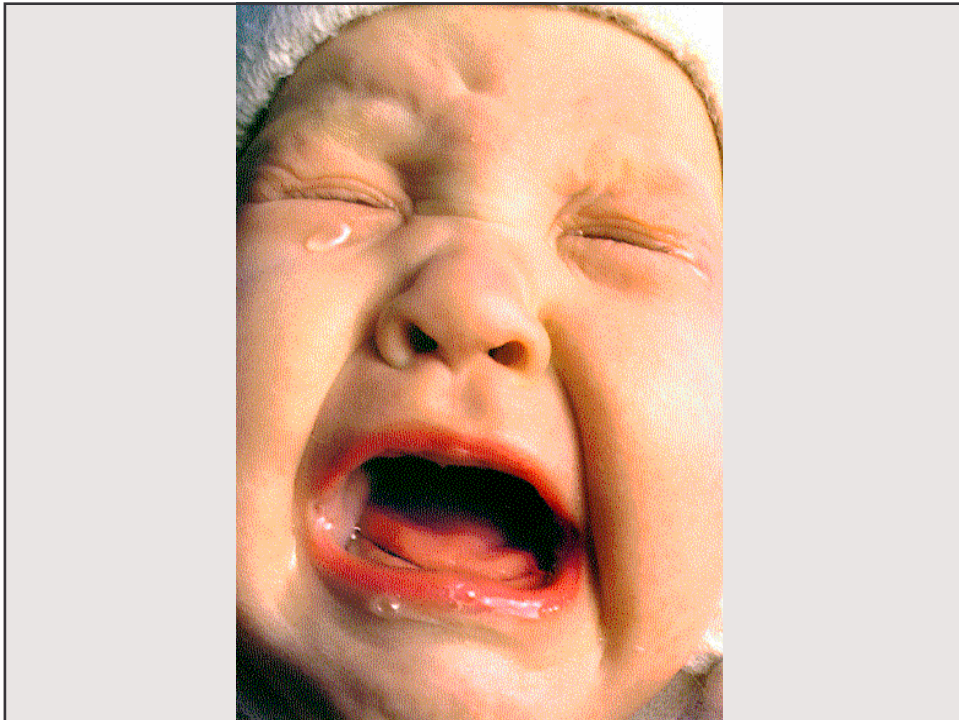


Pasos necesarios para la toma de decisiones sanitarias basadas en la evidencia

1. Systematic review of scientific evidence
2. Decide implication for policy decision
(Move from systematic review to health technology assessment)
3. Make policy decision
4. Implement policy decision

*¿Cómo están respondiendo
los profesionales?*

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

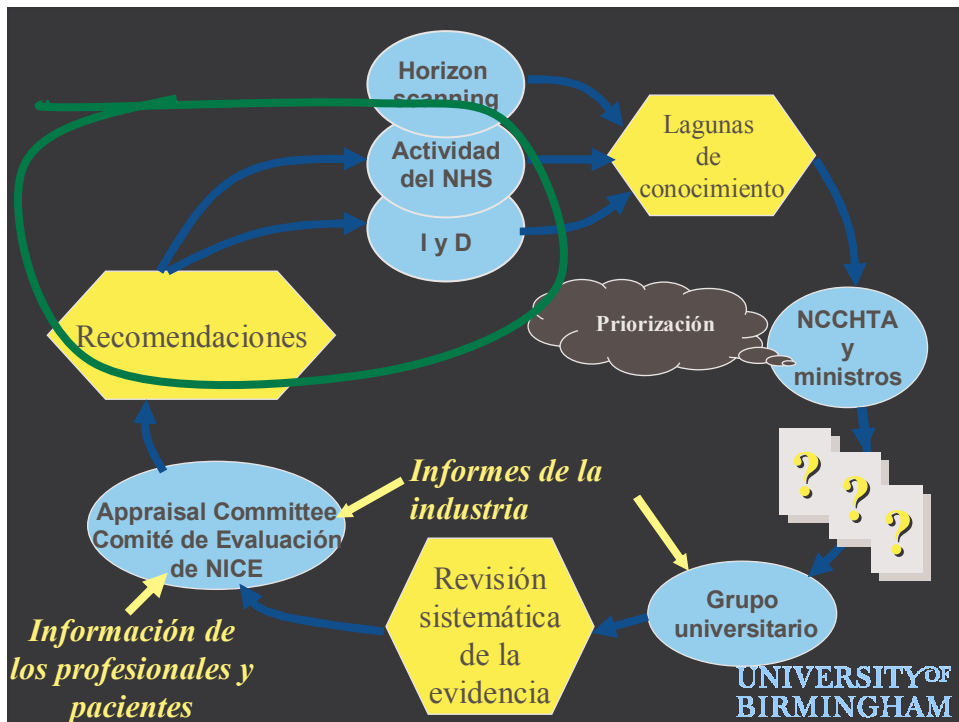


¿La Santa Inquisición?



“Supongo que sabes que lo estas haciendo es totalmente equivocado”

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

Tecnologías evaluadas

Number	Title
1	Wisdom teeth - removal (No. 1)
2	Hip disease - replacement prostheses (No. 2)
3	Ovarian cancer - taxanes (No. 3) - obsolete, replaced by No. 55
4	Ischaemic heart disease - coronary artery stents (No. 4) - obsolete, replaced by No. 71
5	Cervical cancer - liquid based cytology (No. 5) - obsolete, replaced by No. 69
6	Breast cancer - taxanes (No. 6) - obsolete, replaced by No. 30
7	Dyspepsia - proton pump inhibitors (No. 7, - obsolete, updated by and incorporated into the guideline on dyspepsia, no. CG17)
8	Hearing disability - hearing aids (No. 8) - obsolete, withdrawn
9	Diabetes (type 2) - rosiglitazone (No. 9) - obsolete, replaced by No. 63
10	Asthma (children under 5) - inhaler devices (No. 10)
11	Arrhythmias - implantable cardioverter defibrillators (ICDs) (No. 11)
12	Acute coronary syndromes - glycoprotein IIb/IIIa inhibitors (No. 12) - obsolete, replaced by No. 47
13	Attention deficit hyperactivity disorder (ADHD) - methylphenidate (No. 13)
14	Hepatitis C - alpha interferon and ribavarin (No. 14)
15	Flu - zanamivir (No. 15) - obsolete, replaced by No. 58
16	Knee joints (defective) - autologous cartilage transplantation (No. 16)
17	Colorectal cancer - laparoscopic surgery (No. 17)
18	Hernia (inguinal) - laparoscopic surgery (No. 18)
19	Alzheimer's disease - donepezil, rivastigmine and galantamine (No. 19)
20	Motor neurone disease - riluzole (No. 20)
21	Diabetes (type 2) - pioglitazone (No. 21) - obsolete, replaced by No. 63
22	Obesity - orlistat (No. 22)
23	Brain cancer - temozolomide (No. 23)
24	Wound care - debriding agents (No. 24)
25	Pancreatic cancer - gemcitabine (No. 25)
26	Lung cancer - docetaxel, paclitaxel, gemcitabine and vinorelbine (No. 26)
27	Osteoarthritis and rheumatoid arthritis - cox II inhibitors (No. 27)
28	Ovarian cancer - topotecan (No. 28)
29	Leukaemia (lymphocytic) - fludarabine (No. 29)
30	Breast cancer - taxanes - review (No. 30)
31	Obesity - sibutramine (No. 31)

Tecnologías evaluadas

71	Ischaemic heart disease -coronary artery stents (No. 71)	54	Breast cancer - vinorelbine (No. 54)
72	Rheumatoid arthritis - anakinra (No. 72)	55	Ovarian cancer - paclitaxel (review) (No. 55)
73	Angina and myocardial infarction - myocardial perfusion scintigraphy (No. 73)	56	Stress incontinence - tension-free vaginal tape (No. 56)
74	Trauma - fluid replacement therapy (No. 74)	57	Diabetes (type 1) - insulin pump therapy (No. 57)
75	Hepatitis C - pegylated interferons, ribavarin and alfa interferon (No. 75)	58	Flu - zanamivir (review), amantadine and oseltamivir (No. 58)
76	Epilepsy (adults) - newer drugs (No. 76)	59	Electroconvulsive therapy (ECT) (No. 59)
77	Insomnia - newer hypnotic drugs (No. 77)	60	Diabetes (types 1 and 2) - patient education models (No. 60)
78	Menstrual bleeding - fluid-filled thermal balloon and microwave endometrial ablation (No. 78)	61	Colorectal cancer - capecitabine and tegafur uracil (No. 61)
79	Epilepsy (children) - newer drugs (No. 79)	62	Breast cancer - capecitabine (No. 62)
80	Acute coronary syndromes - clopidogrel (No. 80)	63	Diabetes (type 2) - gliitazones (review) (No. 63)
81	Atopic dermatitis (eczema) - topical steroids (No. 81)	64	Growth hormone deficiency (adults) - human growth hormone (No. 64)
82	Atopic dermatitis (eczema) - pimecrolimus and tacrolimus (No. 82)	65	Non-hodgkin's lymphoma - rituximab (No. 65)
83	Hernia - laparoscopic surgery (review) (No. 83)	66	Bipolar disorder - new drugs (No. 66)
84	Sepsis (severe) - drotrecogin (No. 84)	67	Flu - amantadine and oseltamivir (No. 67)
85	Renal transplantation - immuno-suppressive regimens (adults) (No. 85)	68	Macular degeneration (age related) - photodynamic therapy (No. 68)
86	Gastro-intestinal stromal tumours (GIST) - imatinib (No. 86)	69	Cervical cancer - cervical screening (review) (No. 69)
		70	Leukaemia (chronic myeloid) - imatinib (No. 70)

Guias publicadas 2000-2004

Post MI	Head injury	Caesarean section
Pressure ulcers	Infection control	Familial breast cancer
Electronic fetal monitoring	Preoperative tests	Colorectal (CSG)
Induction of labour	Chronic heart failure	Self-harm
Type 2 diabetes - renal disease	Antenatal care	Type 1 diabetes
Type 2 diabetes - retinopathy	Haemato-oncology (CSG)	Dyspepsia
Breast (CSG)	Pressure relieving devices	Hypertension
Type 2 diabetes - blood glucose	Multiple sclerosis	Dental recall
Urological (CSG)	Eating disorders	Epilepsy
Type 2 diabetes - management of blood pressure and blood lipids	Type 2 diabetes - footcare	Falls
Schizophrenia	Chronic obstructive pulmonary disease	Head and neck (CSG)
	Fertility	Anxiety
	Supportive and palliative care (CSG)	Depression

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Interventional procedures

Showing 161 to 170 of 173 results. Click page numbers to navigate
... 9 10 11 12 13 14 15 16 17 18

Guidance Title	Disease Area	Specialty	Status
Interstitial laser therapy for fibroadenomas of the breast	Miscellaneous	General Surgery	In Progress
Artificial trapeziometacarpal (TMC) joint replacement for osteoarthritis	Musculo-skeletal	Trauma & Orthopaedics	In Progress
Laparoscopic nephrectomy	Renal and urinary	Urological Surgery	In Progress
Automated percutaneous mechanical lumbar discectomy	Musculo-skeletal	Trauma & Orthopaedics	In Progress
Division of ankyloglossia (tongue tie) for babies with difficulty breastfeeding	Dental, oral and facial	Paediatrics	In Progress
Radiofrequency energy for gastro-oesophageal reflux disease	Gastrointestinal	Gastroenterology	In Progress
Implanted urethral compression sling for male stress urinary incontinence	Renal and urinary	Urological Surgery	In Progress
Metatarsal phalangeal joint replacement	Musculo-skeletal	Trauma & Orthopaedics	In Progress
Laparoscopic retroperitoneal lymph node dissection for testis cancer	Cancer	Urological Surgery	In Progress
Cryosurgery for malignant endobronchial obstruction	Respiratory	Thoracic Surgery	In Progress

SITY OF
GHAM

Protocolos de interconsulta

Dermatology

- Psoriasis
- Childhood eczema
- Acne

Orthopaedics

- Back ache
- Osteoarthritis of the hip
- Osteoarthritis of the knee

ENT

- Recurrent tonsillitis
- Glue ear

General surgery

- Varicose veins

Gastroenterology

- Dyspepsia

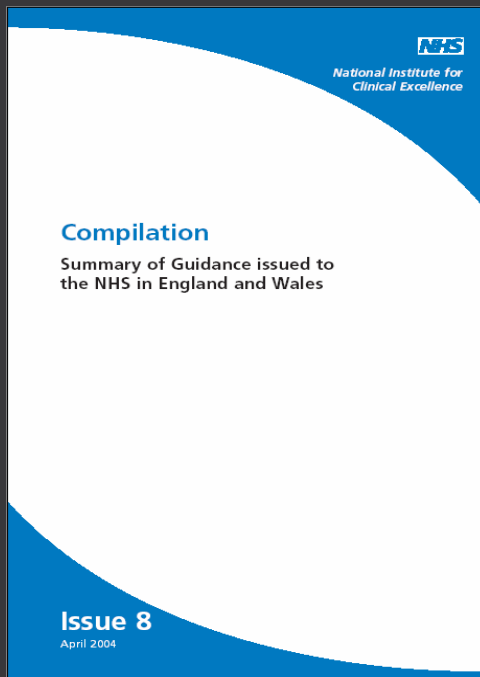
Urology

- Urinary outflow obstruction
- Cancer
- Rectal bleeding
- Breast lumps
- Urinary tract outflow obstruction

Obstetrics & Gynaecology

- Menorrhagia

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



¡Más de 500
páginas de
sumarios!

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Guia sobre la hipertensión 35 páginas

Key priorities for implementation	6
1 Guidance	8
1.1 Measuring blood pressure	8
1.2 Lifestyle interventions	12
1.3 Estimating cardiovascular risk	15
1.4 Pharmacological interventions	16
1.5 Continuing treatment	20
2 Notes on the scope of the guidance	22
3 Implementation in the NHS	22
3.1 In general	22
3.2 Audit	23
4 Research recommendations	23

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Auditoría (utilizando datos rutinarios)

1. Number of patients (and practice prevalence) of persistent raised blood pressure.
2. Proportion of patients in (1) with a previously completed cardiovascular risk assessment.
3. Proportion of patients in (1) given lifestyle advice in the last year including (as appropriate) smoking cessation, diet and exercise.
4. Proportion of patients in (1) prescribed a thiazide in the last 6 months.
5. Proportion of patients in (1) prescribed a beta-blocker in the last 6 months.
6. Proportion of patients in (1) prescribed an ACE-inhibitor in the last 6 months.
7. Proportion of patients in (1) prescribed a calcium-channel blocker in the last 6 months.
8. Proportion of patients in (1) prescribed an angiotensin receptor blocker in the last 6 months.
9. Proportion of patients in (1) prescribed another antihypertensive drug in the last 6 months.
10. Proportion of patients in (1) prescribed no medication in the last 6 months.
11. Proportion of patients in (10) with recorded refusal to accept medication.
12. Proportion of patients in (1) prescribed aspirin in the last 6 months.
13. Proportion of patients in (1) prescribed an alternative antiplatelet in the last 6 months.
14. Proportion of patients in (1) prescribed a statin in the last 6 months.
15. Proportion of patients in (1) prescribed an alternative lipid reducing agent in the last 6 months.
16. Proportion of patients in (1) with latest systolic BP reading less than or equal to 140 mmHg.
17. Proportion of patients in (1) with latest diastolic BP reading less than or equal to 80 mmHg.
18. Proportion of patients in (1) with latest systolic BP reading less than or equal to 140 mmHg and diastolic BP reading less than or equal to 80 mmHg.
19. Proportion of patients in (1) without a BP reading in the last year.

Dirección



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Evaluación de NICE por el OMS, Verano 2003

“En sólo cuatro años NICE ha adquirido la reputación, bien merecida, para la innovación y avances metodológicos que representan un modelo importante para la evaluación de tecnologías internacionalmente”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Cómo están respondiendo los profesionales?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

STAs

- ❖ Single Technology Assessments
- ❖ Sólo usando informes hechos por las compañías farmacéuticas

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

¿Se puede fiar de los informes de las compañías farmacéuticas?

Conflicto de Interés

Friedberg et al 1999 *JAMA* 282:1453-7

	Industria farmacéutica	Autores independientes
Conclusiones		
❖ Favorable	60%	42%
❖ Neutral	35%	21%
❖ Desfavorable	5%	36%
Sobre explotación de resultados cuantitativos	30%	13%

h

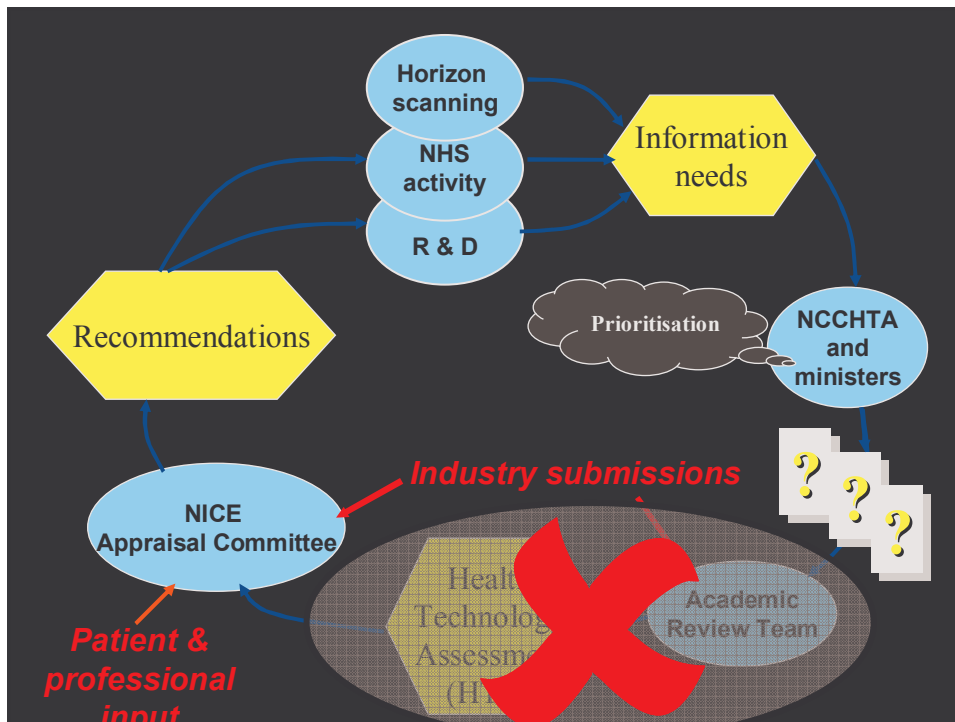
UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

Can we tell when industry is pulling the wool over our eyes?



¿podemos distinguir cuando nos engañen?

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM



Cómo hacer una sumisión contundente

How to make a compelling submission to NICE: tips for sponsoring organisations

A Burls, J Sandercock
BMJ 2003;**237**:1446-8

- Pelham Barton
- Stirling Bryan
- Fujian Song
- Yen Fu Chen
- Chris Hyde
- Martin Connock,
- Catherine Meads



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Nuestras “sugerencias”

1. Make your technology look effective
 - Generating the evidence
 - Reporting the evidence
2. Minimise the possibility of independent evaluation of the evidence
3. Make your technology seem cost-effective
 - Choosing the right inputs
 - The structure is important too

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Generando la evidencia

“Compare your intervention with an inactive control; placebo-controlled trials are ideal for circumventing clinically relevant head-to-head comparisons.”

Example – drugs for rheumatoid arthritis (RA):

- There are at least 8 DMARDs used to treat RA
- “Do nothing” is rarely clinically appropriate
- Patients are usually treated sequentially or concurrently with different DMARDs
- Trials of etanercept, infliximab and anakinra, at the time of assessment, were predominantly against placebo

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

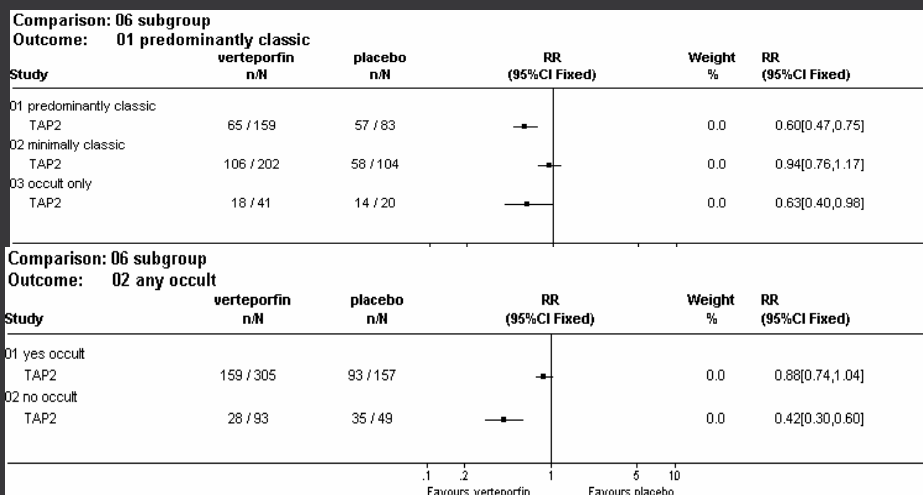
Generando la evidencia

“Do not be unduly upset if no outcome on its own is statistically significant.... With a little creativity you will almost certainly be able to find a subgroup of patients with especially good results.”

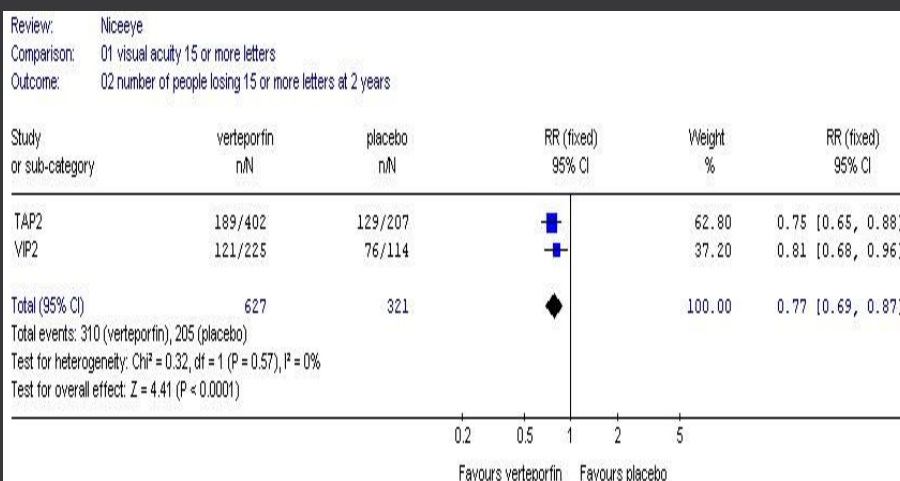
Example: Verteporfin for treatment of age-related macular degeneration

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Claimed sub-group effects in TAP Effect size in trial was RR=0.75 (95%CI 0.65-0.88)



Subsequent VIP2 trial



¿Cual de las estimaciones de eficacia fue utilizado por la compañía farmacéutica en su evaluación económica?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Presentación de la evidencia

“Place most emphasis on the outcome in the trial that produces the most significant results.”

- ❖ Publication of statistically significant studies:
pooled odds ratio 2.54
Dickersin K *AIDS Educ Prev.* 1997;**9**:15-21
- ❖ Reporting of statistically significant results:
pooled odds ratio 2.4 (95% CI 1.4-4.0)
Chan A *et al JAMA* 2004;**291**,20:2457-65

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Ejemplo información sesgada de la industria farmacéutica

“If some of your trials come out with unfavourable results: do not report them...”

Anakinra

- <1000 patients in total in 3 phase III randomised placebo-controlled trials in highly selected RA population
- >1000 patients in a randomised placebo-controlled phase IV safety trial in a typical rheumatology clinic population

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Amgen: *“Clinical effectiveness outcomes were not measured in the safety trial”*

“Suppress the original protocols for trials (‘commercial in confidence’ is an established justification for this) - this prevents independent reviewers from detecting whether your reported outcomes are results driven...”



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Amgen justificó la supresión de los datos porque la población era heterogenea

" The trial ... was designed to evaluate the overall safety in patients in the average clinical practice to contrast against the more controlled patient populations enrolled in previous studies..."

Amgen justificó la supresión de los datos porque la población era heterogenea

"... it would be inappropriate and misleading to draw any conclusions from any efficacy assessments ... confounding factors such as disease duration, concomitant medications and co-morbid conditions make it difficult to define discrete patient populations in whom efficacy could be assessed and even where this is possible, the low numbers of patients in such analyses renders any clinical or statistical assessment invalid."

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Minimizar la posibilidad de una evaluación independiente

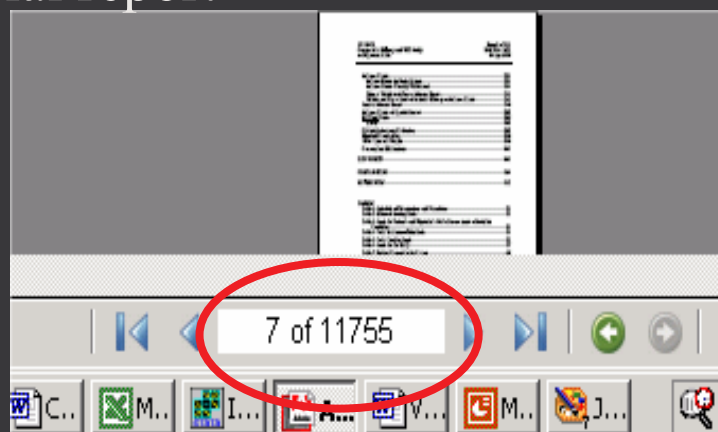
“Overwhelm independent reviewers by submitting large volumes of data. Aim for 10000 pages as a minimum.... Ensure that data are delivered at the last possible moment.”

Example: Cox II Inhibitors



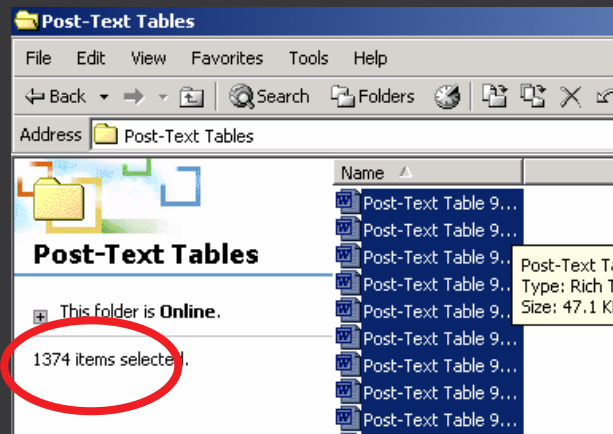
UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

Número de páginas en solo un trial report



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

¡Número de tablas en un informe de un COX2 Inhibitor!



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Copia electrónica vs papel

- ❖ One company's submission came in a trunk and stacked over 2 metres high!



Seleccionar una utilidad baja para la enfermedad no tratada

“Use a very low utility estimate for the untreated disease state. A negative utility (that is, a state worse than death) has successfully been used even for relatively mild illnesses.”

Examples:

- Influenza (utility = - 0.88)
- Imatinib for GIST (more complex!)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Usen datos observacionales preferentemente no un ensayo clínico controlado

- ❖ Treated cohort
 - All start on imatinib - if disease progressing patient comes off treatment
- ❖ Non-treated cohort (historical)
 - All have progressive disease
 - $t_{1/2}$ to death = 19 months

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

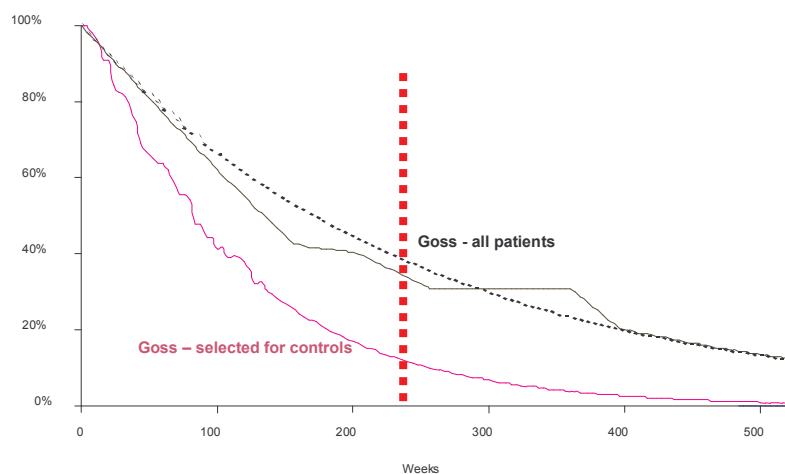
Usen una baja estimación de utilidad en el grupo control

“Use a very low utility estimate for the untreated disease state ...”

e.g. Use a low estimate of survival in comparator group

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

GIST Grupo de control sesgado – con la subestimación de sobrevivencia



UNIVERSITY OF BIRMINGHAM

Usen una utilidad grande para el grupo de la intervención

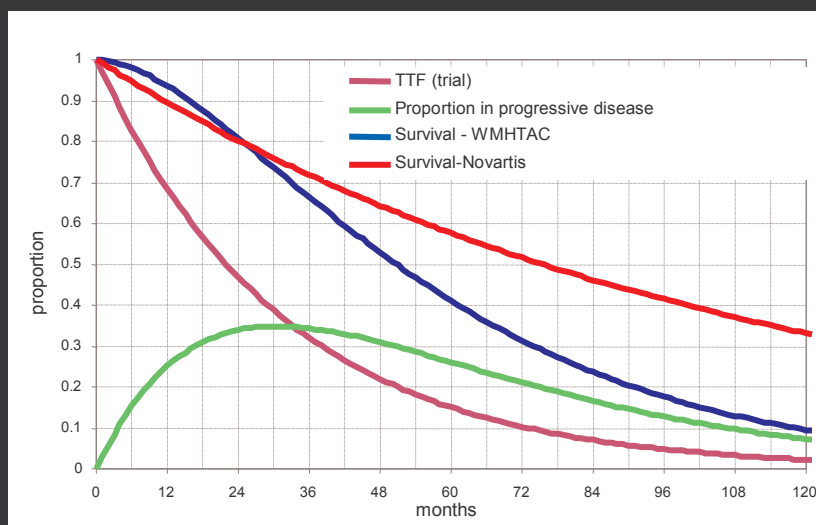
“...the treated health state should have the largest utility estimate you can derive.”

e.g. Use a high estimate of survival in intervention group



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Nuestra curva comparado a la curva de la industria farmaceutica





"La droga no tiene efectos adversos, pero el número necesario de economistas (NNE) para demostrar su valor puede causar náusea y vértigo"

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Lectura crítica de una evaluación económica

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

"Parece que no hay estudio demasiado fragmentado, ninguna hipótesis demasiado trivial, ninguna cita demasiado sesgada o demasiado egoísta, ningún diseño demasiado distorsionado, ninguna metodología demasiado egoísta, ningún diseño demasiado chapuza, ninguna presentación de resultados demasiado imprecisa o demasiado contradictoria, ningún análisis demasiado autojustificado, y ninguna expresión gramatical o sintáctica demasiado ofensiva que impida que un artículo salga impreso." Drummond Renne, Editor de JAMA)

Cuestiones a preguntarse en un estudio

- ❖ ¿Está bien hecho? – *Validez*
- ❖ ¿Qué nos dice? – *Resultados*
- ❖ ¿Es útil en nuestro ámbito? – *Aplicabilidad*

Cuestiones a preguntarse en un estudio

- ❖ ¿Está bien hecho? – *Validez*
- ❖ ¿Qué nos dice? – *Resultados*
- ❖ ¿Es útil en nuestro ámbito? – *Aplicabilidad*

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Qué datos se necesita conocer para evaluar si una evaluación económica es válida?

- ❖ Datos de efectividad
- ❖ Costes
- ❖ Estructura del modelo
- ❖ Horizonte
- ❖ Descuento
- ❖ Análisis de sensibilidad

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Cribage

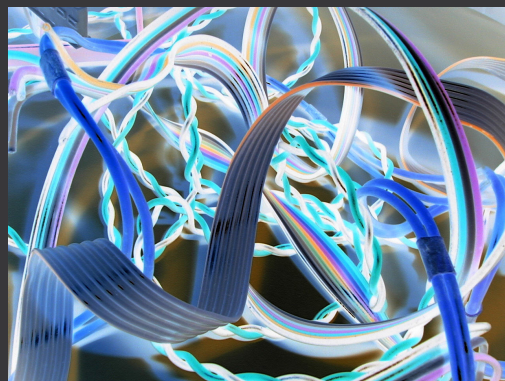
- ❖ ¿Dos o más alternativas?
- ❖ ¿Se consideran tanto costes como consecuencias?
- ❖ Perspectiva clara



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Se plantea una pregunta clara?

¿Definiciones
claras de la
tecnología y la
alternativa?

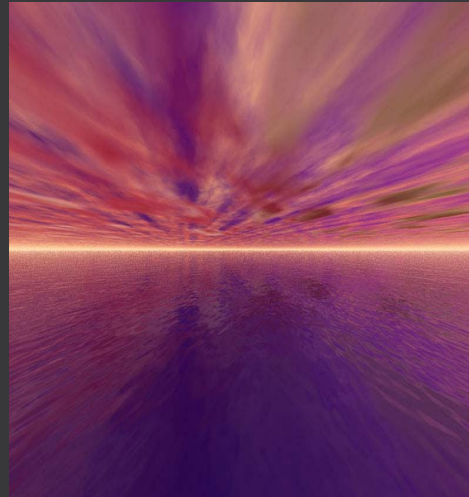


UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Se plantea una pregunta clara?

Horizonte

- El momento del futuro a partir del cual se ignoran los costes y los beneficios
- Corto plazo
- Largo plazo (requiere modelización)



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Se plantea una pregunta clara?

¿Perspectiva clara?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Se estima de forma fiable la efectividad?

1. Tipo de estudio
 - ¿Revisiones sistemáticas al día?
 - ¿ECAs de calidad?
 - ¿Otros?
2. ¿Qué unidades usan?
3. ¿Se han medido adecuadamente?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Son fiables los costes?

¿Se identifican los recursos pertinentes?

- Directos?
- Indirectos?
- Intangibles?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Son fiables los costes?

¿Se aplican unidades y cantidades apropiadas?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Son fiables los costes?

¿Se valoran los recursos de manera creíble?



\$15,600,000

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

“Que te quiten lo bailao...”

- ❖ ¿Preferirías tener €100 (actualizados) dentro de 2 años o tenerlos hoy?
- ❖ ¿Preferirías pagar €100 hoy o la misma suma (actualizada) dentro de 2 años?
- ❖ **En general hay una preferencia temporal para los costes y los outcomes: los beneficios ahora y los costes más tarde!**

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Descuento

Refleja la preferencia temporal:

- ❖ Diferir costes (incluso con inflación 0)
- ❖ Los beneficios próximos tienen más valor que los futuros

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Definición de descuento

“Un método sistemático para calcular el valor actual del dinero que se gastará o del beneficio sanitario que se obtendrá en el futuro”

Convencionalmente entre ~1– 6%

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Ejemplo de descuento

❖ Valor actual de €100 dentro de 2 años (tasa de descuento del 5%)

❖ Valor actual

$$\begin{aligned} &= \frac{\text{coste futuro}}{(1+\text{tasa descuento})^{\text{años}}} \\ &= 100/(1+0.05)^2 \\ &= \text{€91} \end{aligned}$$

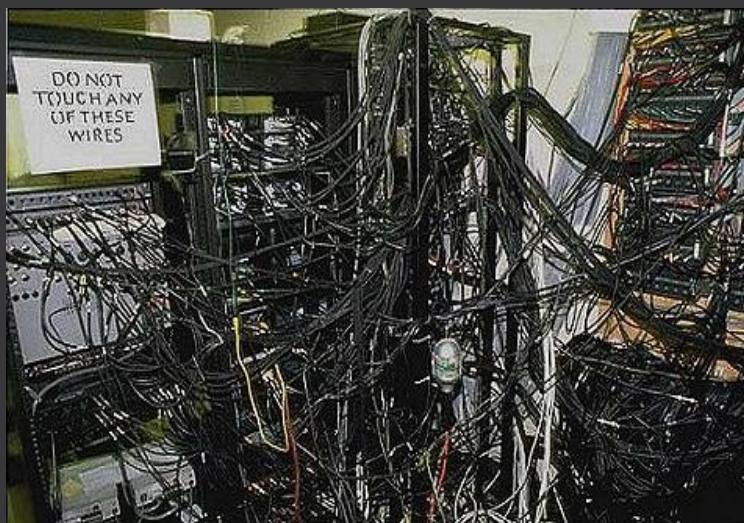
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Estructura de la decisión

- ❖ ¿Se define claramente el árbol de decisión?
- ❖ ¿Qué clase de modelo se usa?
- ❖ ¿El modelo extrapola más allá de los datos existentes?
- ❖ ¿Es razonable?

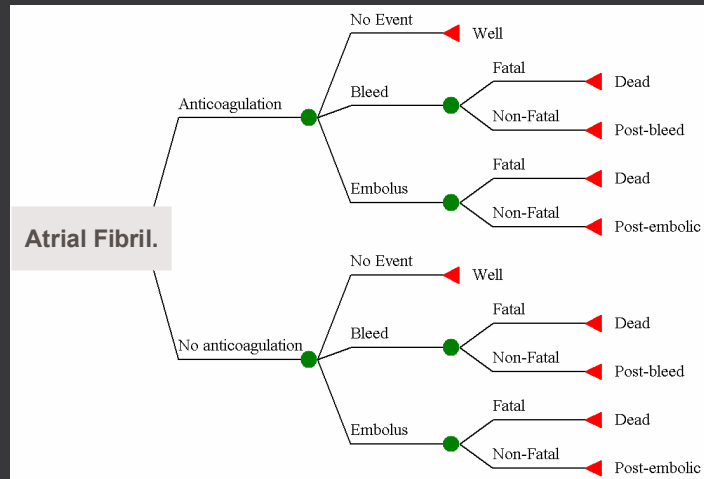
UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Se define claramente el árbol de decisión?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Un árbol de decisión



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Cuestiones a preguntarse en un estudio

- ❖ ¿Está bien hecho? — *Validez*
- ❖ ¿Qué nos dice? — *Resultados*
- ❖ ¿Es útil en nuestro ámbito? — *Aplicabilidad*

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Resultados: considera

- ❖ ¿Qué **unidad** se ha utilizado para el outcome? (p.e. Años de vida, AVACs, unidades naturales de efectividad como alivio del dolor, monetarias)
- ❖ ¿Se han calculado los costes **incrementales** y los beneficios **incrementales** sobre el tratamiento de comparación?
- ❖ ¿Qué resultados muestran?
- ❖ ¿Cambian las conclusiones al hacer el **análisis de sensibilidad**?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Resultados: análisis de sensibilidad

- ❖ Los datos en las evaluaciones económicas **tendrán** incertidumbres:
 - Costes
 - Efectividad clínica
 - Utilidades
 - Probabilidades
 - Descuento
 - Extrapolación más allá de los datos existentes
- ❖ Ello nos puede llevar a diferentes conclusiones y deben probarse en un análisis de sensibilidad

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Qué es el análisis de sensibilidad?

- ❖ El cálculo repetido del coste-efectividad usando diferentes valores para probabilidad, costes, utilidades, descuento, etc
 - Univariante (cambio de una variable cada vez)
 - Análisis multivariante (para parámetros importantes identificados en el análisis univariante)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

¿Cómo seleccionarías los rangos en un análisis de sensibilidad?



H

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Resultados: Análisis de sensibilidad

- ❖ Evaluación crítica del análisis de sensibilidad:
 - ¿Probaron los autores todas las variables en las que existe una incertidumbre importante?
 - ¿Las variaron lo suficiente para incluir las estimaciones plausibles?
 - ¿El hacerlo alteró sustancialmente las conclusiones?

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

PSA (Requisito del nuevo proceso de NICE)

- ❖ Probabilistic Sensitivity Analysis
- ❖ Definir distribuciones para los parámetros
- ❖ Parámetros seleccionados aleatoriamente utilizando la distribución
- ❖ Resultados se expresan en curvas de aceptabilidad de coste-efectividad (CEACs)

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Aplicabilidad: ¿Son transferibles los resultados?

- ❖ ¿Sería el tratamiento o programa igualmente efectivo en tu ámbito?
- ❖ ¿Son tus costes similares a los costes del estudio?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

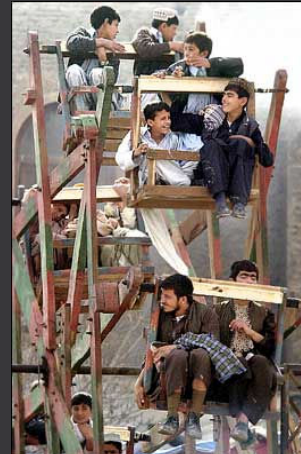


UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Aplicabilidad: ¿Son transferibles los resultados?



- ¿Los recursos necesarios serían similares en tu ámbito?
- ¿Están disponibles los recursos en tu área?



UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Cost-effectiveness estimate

	Incremental Cost	Incremental QALY		N
All patients	€ 3.4 M	5.77		200

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Distortion of public priorities

“It is not expected that therapies for orphan populations meet current standards of cost-effectiveness.”

EuropaBio Report 2005

The cost to PCTs in West Midlands doubled, from £3.2m to £6.7m *“to be of such an order of magnitude . . . as to significantly distort and limit budgets available to PCTs to commission and develop other services in 2005/06’ .“*

WMSCG Letter to DoH

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

“Back of an envelope” CEA

- ❖ Cerezyme® costs ~ €150k per annum per pt
- ❖ Not immediately life-saving (2/3 of patients diagnosed as adults and have near-normal life expectancy untreated)
- ❖ Even if it prevented immediate death and led to full health would not reach conventional thresholds for good use of money
- ❖ Rapid review for region → €600k/QALY

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Results: *(i) Effectiveness*

- ❖ Studies did not reach the rigour generally required of effectiveness studies
- ❖ There were no comparative trials of enzyme replacement therapy in GD against no enzyme replacement therapy
- ❖ **Nevertheless we concluded that therapies were almost certainly effective**
- ❖ Precise estimation of degree of effectiveness was not possible

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Results: *(ii) Cost-effectiveness*

- ❖ Annual costs ranged from
 - £90k (~135k €) per annum for imiglucerase
 - £335k (~500k €) per annum for laronidase
- ❖ Data were sparse to estimate cost-utility so we chose values that favoured treatment, e.g. that treatment is completely effective
- ❖ Cost-utility was:
 - 650 000 €/QALY for imiglucerase
 - 380 000 €/QALY for agalsidase
 - not estimated for laronidase

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

6. Important opportunity costs

“...the amount of increase ... for this single service was greater than the entire increase in all regionally commissioned services – which includes... blood and marrow transplantation, blood products for haemophiliacs, neonatal intensive care and special care services for babies, paediatric intensive care, adult and paediatric burns services, and laboratory and clinical genetics services.”



“Moral high ground”



“I’m not interested in economic evaluation – I’m a doctor”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

Woolly thinking

“A strict cost-effectiveness approach (i.e. health maximisation) often conflicts with one or other principles of equity – for example, rules of rescue (e.g. to fund all effective life-saving care), rules of anti-discrimination, and goals of equality of access and outcome. Managing such equity-efficiency trade-offs on the basis of intuition is unsatisfactory...”

Alan Williams, Richard Cookson 2005

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

McCabe *et al* BMJ October 28th 2005

“Special status for orphan drugs in resource allocation will avoid difficult and unpopular decisions, but it may impose substantial and increasing costs on the healthcare system. The costs will be borne by other, unknown patients, with more common diseases who will be unable to access effective and cost effective treatment as a result.”

UNIVERSITY OF
BIRMINGHAM

