



1

EVALUACIÓN DE RESULTADOS EN TÉRMINOS DE SALUD: POR QUÉ, ¿CÓMO, CUÁNDO Y PARA QUÉ?

JAVIER SOTO ÁLVAREZ y EMILIO VARGAS CASTRILLÓN

■ 1.1. LA EVALUACIÓN DE RESULTADOS EN TÉRMINOS DE SALUD Y SU NECESIDAD

El Sistema Nacional de Salud (SNS) español, como los del resto de países desarrollados de nuestro entorno, se enfrenta en la actualidad a grandes retos demográficos y sanitarios, como el envejecimiento paulatino de la población, la cronificación de muchas enfermedades antes mortales y la continua llegada de nuevas intervenciones sanitarias (medicamentos y otras tecnologías) que en muchos casos aportan un grado importante de innovación en el tratamiento de las enfermedades, pero con un coste asociado elevado. Estos motivos sitúan al SNS en una encrucijada, ya que cada vez son mayores las necesidades sanitarias por parte de la sociedad y, sin embargo, los recursos disponibles cada vez son más limitados para la atención sanitaria de la población.

El fin último de nuestro SNS es incrementar la calidad asistencial y la calidad de vida de los pacientes, así como generar los mayores beneficios terapéuticos que aumenten su expectativa de vida y disminuyan al máximo la morbi-mortalidad. Por ello parece evidente que el SNS tendría que evolucionar y acometer reformas para poder garantizar en el futuro su calidad, sus prestaciones, y su sostenibilidad financiera. Igualmente, la industria farmacéutica deberá centrar sus esfuerzos en desarrollar intervenciones sanitarias realmente innovadoras, que tengan un impacto demostrable en el tratamiento de los pacientes.

En este contexto actual, una de las estrategias que el SNS debería implementar cuanto antes es maximizar el uso de aquellas intervenciones sanitarias que realmente aportan valor añadido a los individuos y a la sociedad, tanto valor clínico, como valor en eficiencia y valor para los pacientes y para la sociedad (incremento en la productividad) (Soto, 2005). A la hora de cuantificar el valor que aportan los nuevos tratamientos es decisivo el criterio de los resultados en términos de salud generados, que va más allá de lo ocurrido en los ensayos clínicos controlados (ECC), con los que tradicionalmente se evalúan. Esto es, se trata de saber cómo funcionan dichos nuevos tratamientos y qué beneficios terapéuticos producen en la práctica médica rutinaria del mundo real, cuando se utilizan en todo tipo de pacientes y en el marco del control y seguimiento ordinario de estos dentro del SNS.

Por tanto, cada vez va a ser más importante medir y evaluar los resultados en salud generados por las terapias administradas a los pacientes, de tal forma que se puedan monitorizar adecuadamente y adoptar las decisiones terapéuticas más

adecuadas en el día a día, en consonancia con los resultados obtenidos (Clauy y Eisenberg, 1998). De esta manera, los profesionales sanitarios, los pacientes, los financiadores y otros decisores del sistema podrían tomar decisiones fundamentadas en pruebas científicas de mayor calidad, lo que permitiría poner en práctica una medicina centrada realmente en el paciente, con beneficios para los ciudadanos, la sociedad y el SNS, tal y como se lleva haciendo en otros países desde hace tiempo (Frank, Basch y Selby, 2014).

Durante muchos años, y debido al movimiento de la “medicina basada en la evidencia”, se ha predicado que las decisiones terapéuticas de los profesionales sanitarios se debían basar, casi exclusivamente, en los datos proporcionados por los ECC y se ha atribuido un peso limitado a las evidencias aportadas por los estudios destinados a conocer los resultados en salud que producen las alternativas terapéuticas en condiciones de uso rutinario del mundo real. En estas condiciones los clínicos recetan según su criterio, los pacientes cumplen con el régimen posológico prescrito de manera irregular (con una mala adherencia y persistencia a los tratamientos), y los pacientes son seguidos y controlados por los profesionales sanitarios según la rutina del SNS (Sanson-Fisher *et al.*, 2007).

Por estos motivos, el interés por la evaluación de los resultados en salud dentro de las organizaciones sanitarias de nuestro SNS se ha incrementado de manera importante en los últimos años y va a ser mayor en un futuro cercano. Dicho interés se ha visto impulsado por la expansión de las nuevas tecnologías sanitarias, la preocupación por el rápido y constante aumento de los costes sanitarios, la variabilidad de la práctica médica y la atención sanitaria, la participación del paciente en la toma de decisiones y la utilización de nuevos sistemas de información en la práctica médica (Soto, 2007).

■ 1.2. TIPOS DE RESULTADOS EN SALUD

Los estudios que evalúan los resultados en salud se orientan y focalizan en cuantificar, analizar e interpretar los beneficios terapéuticos que producen los tratamientos administrados en el mundo real, una vez estos se han comercializado y se empiezan a prescribir a todo tipo de pacientes en los que están indicados según los criterios seguidos por los profesionales sanitarios (Garrison *et al.*, 2007). Por lo tanto, esta nueva área de conocimiento se centra en medir distintos resultados en salud, tales como resultados clínicos, económicos, humanísticos y de gestión sanitaria.

En relación con los resultados en salud clínicos, el área de mayor interés radica en conocer los beneficios clínicos de las alternativas terapéuticas en la práctica diaria comunicados por los profesionales sanitarios, esto es, conocer su grado de efectividad clínica y seguridad. Otros datos de gran interés son la evolución de los síntomas de la enfermedad, así como los informes de morbilidad (reingresos,

complicaciones, recidivas, exacerbaciones, etc.) y de mortalidad de las enfermedades tratadas a medio-largo plazo. También los resultados proporcionados por los observadores de los pacientes distintos de los profesionales sanitarios (familiares, amigos, cuidadores, etc.), junto a detalles de cumplimiento terapéutico y persistencia con los tratamientos, aspectos cada vez más cruciales para obtener los resultados en salud deseables (Walton *et al.*, 2015; Powers *et al.*, 2017; Sandy *et al.*, 2018; Osterberg y Blaschke, 2005).

En cuanto a los resultados en salud económicos, se evalúa el consumo de recursos derivados de emplear las distintas alternativas disponibles (diferentes tipos de costes generados), así como su nivel de eficiencia al relacionar los costes producidos con los resultados en salud generados, tales como años de vida ganados o años de vida ganados ajustados por calidad de vida (AVAC). Por otra parte, cada vez es más importante conocer cómo las intervenciones sanitarias modifican el coste del manejo de la enfermedad (a veces, ahorrando recursos de otras partidas presupuestarias), así como saber el impacto que su empleo va a suponer para el financiador.

Los estudios de resultados en salud humanísticos se centran en los resultados percibidos y comunicados por los pacientes (*Patient Reported Outcomes, PROs*), los cuales van a permitir que los pacientes puedan expresar de manera subjetiva como la enfermedad que padecen y los tratamientos administrados les afectan en su vida diaria. Por lo tanto, evalúan cómo las distintas opciones terapéuticas afectan a los pacientes en su calidad de vida relacionada con la salud, nivel de satisfacción, preferencias por los distintos tratamientos y nivel de utilidad asignado a los mismos y la discapacidad y el estado funcional que producen la enfermedad y los tratamientos (Casas, Repullo y Pereira, 2001; Villar *et al.*, 2009; AMCP Partnership Forum, 2018).

Los estudios que atienden a los resultados relacionados con la gestión sanitaria evalúan los servicios sanitarios del SNS y elaboran y calculan indicadores que puedan reflejar los resultados en términos de salud poblacional. Por ejemplo, las tasas anuales de infartos de miocardio o de ictus en una determinada región. Su conocimiento y evaluación sirve para conocer si las intervenciones sanitarias empleadas son las más adecuadas, o si deberían replantearse las políticas sanitarias a ese nivel.

■ 1.3. DISTINTOS DISEÑOS DE LOS ESTUDIOS DE RESULTADOS EN TÉRMINOS DE SALUD

Aunque durante mucho tiempo el patrón de oro en investigación han sido los ECC clásicos, por su elevada validez interna y su credibilidad dentro de la comunidad científica, cada vez se tienen más en cuenta sus importantes limitaciones. Sobre todo, los criterios restrictivos de selección de los pacientes participantes (sue-

len excluir ancianos, niños o embarazadas, pacientes polimedcados o pluripatológicos), hacen que sus resultados no se puedan extrapolar a todos los que padecen la enfermedad (Rothwell, 2005; Tannock *et al.*, 2016). Por lo tanto, hacen falta nuevos diseños orientados a obtener resultados en salud con elevada validez interna y externa, que permitan extrapolar los resultados a todo tipo de pacientes.

Uno de estos diseños es el de los ensayos clínicos pragmáticos que presentan una aceptable validez interna y externa de los resultados, ya que reflejan de manera bastante fidedigna lo que sucede en la práctica médica diaria. Sin embargo, requieren mucho tiempo hasta disponer de los resultados (varios años), son muy caros y necesitan de tamaños muestrales muy amplios (Lurie y Morgan, 2013).

Otro tipo de diseño cada vez más empleado para conocer resultados en salud es el de los estudios de cohortes observacionales prospectivos basados en registros médicos. En ellos se van incluyendo a los pacientes que padecen una enfermedad determinada a medida que son diagnosticados y se les sigue hasta el desenlace de la enfermedad, recogiendo información sobre los tratamientos administrados y los diferentes resultados en salud en los pacientes (eventos, complicaciones, progresión, supervivencia, efectos adversos, cumplimiento, consumo de recursos, calidad de vida, absentismo laboral, discapacidad, etc.). Actualmente en los países industrializados cada vez se elaboran más registros, en su mayoría auspiciados por las sociedades científicas y las autoridades sanitarias (Travers *et al.*, 2015).

Además, para realizar estudios de resultados en salud cada vez se emplean más los diseños observacionales retrospectivos basados en bases de datos administrativos y en la historia clínica electrónica de los pacientes, debido al auge de las tecnologías de la información en los últimos años. Otro posible diseño para obtener resultados de la vida real es el de las encuestas de salud, que preguntan directamente a los pacientes sobre diferentes aspectos de su estado de salud, consumo de recursos, patrón de tratamiento de la enfermedad, etc. (Hampson *et al.*, 2018; Lin *et al.*, 2013).

Los diseños observacionales (basados en registros, bases de datos, historia clínica electrónica, etc.), hoy predominantes para obtener resultados en salud, son métodos que están expuestos a sesgos importantes (selección, análisis y seguimiento) y a factores de confusión de muy difícil control, al no emplear la aleatorización. Por ello, es imprescindible que su diseño y su realización sigan los más altos estándares metodológicos y el máximo de rigor científico, de tal forma que los resultados obtenidos sean creíbles y relevantes para los profesionales sanitarios y otros decisores del SNS (Cox *et al.*, 2009; Berger, Dreyer y Anderson, 2012).

Por otra parte, la posibilidad de explotar, cruzar y analizar muchísima información, gracias al desarrollo exponencial de la digitalización de la sanidad y la revolución del *big data*, la inteligencia artificial y el *machine learning*, permitirá diagnosticar y tratar precozmente las enfermedades, alertar sobre posibles epidemias, adaptar de manera más eficaz y eficiente los tratamientos a los pacientes (según su

respuesta y la evolución de la enfermedad) y reducir visitas a los centros, con ahorro de recursos del SNS y mejores resultados para los pacientes. Van a ser técnicas muy importantes para obtener datos de resultados en salud en un futuro cercano, con un coste no muy elevado y con menores dilaciones en la disponibilidad de los datos (Crown, 2015; Jones *et al*, 2018).

■ 1.4. TAREAS PENDIENTES Y OPORTUNIDADES EN ESPAÑA

El SNS de nuestro país dispone de muchísima información terapéutica generada a lo largo de los años, pero no se evalúa de forma habitual y continua, sino que solamente se analiza en momentos puntuales, cuando es necesario disponer de datos por algún motivo concreto. Lo primero que hay que hacer es generar un cambio cultural en todos los agentes del SNS. Deben percibir que los programas dedicados a obtener datos de resultados en el mundo real pueden cubrir la brecha existente entre los ECC clásicos y lo que sucede en la práctica médica diaria y, por lo tanto, van a generar evidencias sustentadoras de mejores decisiones terapéuticas en beneficio de los pacientes. Además, hay que inculcar en el SNS la filosofía de que es necesario invertir recursos para que estos programas sean de suficiente calidad metodológica y creíbles para los profesionales sanitarios y otros agentes decisores.

Por otra parte, es necesario que en los servicios regionales de salud se realice una progresiva expansión de la historia clínica electrónica que integre atención primaria y asistencia hospitalaria y que sea interoperable entre todas las comunidades autónomas. En estos momentos ya hay buenos ejemplos de historia clínica electrónica integrada en algunas regiones, pero es necesario que se siga avanzando y se extienda a todo el país. Además, es deseable que dentro de las historias clínicas de cada paciente se estandarice la recogida de resultados en salud, no únicamente clínicos, sino también resultados relevantes para el paciente (PROs), y otro tipo de resultados claves para poder tomar decisiones terapéuticas acertadas por los profesionales sanitarios (Concannon, 2015).

El mayor reto de nuestro SNS es conseguir mantener una asistencia de calidad y equitativa, a la vez que establecer mecanismos para mejorar la eficiencia y sostenibilidad en respuesta al incremento de la demanda de la sociedad, el cambio en el perfil asistencial y la constante llegada de nuevas innovaciones. Para conseguir un sincretismo entre la inversión realizada y los resultados en salud alcanzados por la incorporación de intervenciones sanitarias innovadoras es clave disponer de datos de su desempeño en la práctica médica diaria y los resultados en salud que se consiguen en el mundo real.

Es necesario que dentro del SNS se considere una prioridad la obtención de datos de calidad y que se avance en la implantación de sistemas de información a través de los planes de salud de las comunidades autónomas (CC. AA.). Un ejemplo

es el plan oncológico de Euskadi 2018-2023 que prevé integrar una aplicación en la historia clínica electrónica e implantar un sistema de información específico para los procesos farmacológicos que van a permitir medir resultados en salud y calidad de vida de los pacientes. Además, estos datos van a ser claves a la hora de implantar en las CC. AA. los acuerdos de riesgo compartido o los esquemas de pagos por resultados en la adquisición de nuevos medicamentos, modalidades cada vez más empleados en nuestro país. En un futuro no muy lejano también podrían emplearse para vincular el presupuesto de los hospitales y centros de salud a los resultados en salud obtenidos.

Otra oportunidad que no hay que olvidar es la nueva ley de contratos del sector público, la cual obliga a todas las partes implicadas, administraciones y entidades públicas y las empresas proveedoras, a hacer un esfuerzo máximo de transparencia. Es de esperar que su desarrollo futuro evolucione hacia una compra estratégica, con una visión a medio-largo plazo, que tenga en cuenta los criterios de calidad, innovación y mejoría de resultados en salud, lo que permitiría avanzar hacia un contrato público basado en dichos resultados en salud.

Quedan aún muchos problemas por solucionar, como garantizar la seguridad y protección de los datos sanitarios a través de su anonimización, la explotación correcta de los resultados obtenidos, la colaboración idónea entre el SNS y las compañías farmacéuticas, y otros, pero es el momento de que todos los agentes implicados en el SNS trabajen de forma conjunta para lograr que el conocimiento de los datos de resultados en salud sea una realidad.

Por otra parte, sería muy interesante crear una agencia nacional coordinadora de la medición y evaluación de resultados en salud de los pacientes, empezando lógicamente por aquellas patologías más prevalentes, las que más morbi-mortalidad producen y las que mayor consumo de recursos generan al sistema. De esta forma, poco a poco, el SNS podría disponer de datos válidos y fiables de los resultados en salud generados por las alternativas de tratamiento disponibles en un número creciente de enfermedades. Este empeño puede obtener enseñanzas de experiencias internacionales, como la iniciativa *ICHOM (International Consortium for Health Outcomes Measurement)* (www.ichom.org), que pretende facilitar el progreso de los sistemas sanitarios mediante la medición y análisis de resultados en salud conforme a modelos estandarizados (Obbarius *et al*, 2017) o el *PCORI (Patient-Centered Outcomes Research Institute)* en USA, cuya finalidad es obtener resultados en salud para ayudar a los pacientes, profesionales sanitarios, financiadores y gestores del sistema sanitario a tomar decisiones más informadas y basadas en evidencias obtenidas del mundo real (Fleurence *et al.*, 2015).

■ REFERENCIAS

AMCP PARTNESHIP FORUM. (2018). Improving quality, value, and outcomes with patient-reported outcomes. *Journal of Management Care Special Pharmacy*, 24(3), pp. 304-310.

BERGER, M. L., DREYER, N. y ANDERSON, F. (2012). Prospective observational studies to assess comparative effectiveness: the ISPOR good research practices task force report. *Value in Health*, 15 (Issue 2), pp. 217-230.

CASAS, J., REPULLO, J. R. y PEREIRA, J. (2001). Medidas de calidad de vida relacionada con la salud. Conceptos básicos, construcción y adaptación cultural. *Med Clin (Barc)*, 116(20), pp. 789-796.

CLAUCY, C. M. y EISENBERG, J. M. (1998). Outcomes research: measuring the end results of healthcare. *Science*, 282(5387), pp. 245-246.

CONCANNON, T. W. (2015). Can patient centered outcomes research improve healthcare? *BMJ*, 351, h3859.

COX, E., MARTIN, B. C., VAN STAA, T. *et al.* (2009). Good research practices for comparative effectiveness research: approaches to mitigate bias and confounding in the design of nonrandomized studies of treatment effect using secondary data sources: the international Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research Good Research Practices for retrospective database analysis task force report. Part II. *Value in Health*, 12(8), pp. 1053-1061.

CROWN, W. H. (2015). Potential application of machine learning in health outcomes research and some statistical cautions. *Value in Health*, 18(2), pp. 137-140.

FLEURENCE, R., WHICHER, D., DUNHAM, K. *et al.* (2015). The patient-centered outcomes research institute's role in advancing methods for patient-centered outcomes research. *Med Care*, 53(8), pp. 2-8.

FRANK, L., BASCH, E. y SELBY, J. V. (2014). The PCORI perspective on patient-centered outcomes research. *JAMA*, 312(15), pp. 1513-1514.

GARRISON, L. P., NEUMANN, P. J., ERICKSON, P. *et al.* (2007). Using real-world data for coverage and payment decisions: the ISPOR real-work task force report. *Value in Health*, 10(5), pp. 326-335.

HAMPSON, G., TOWSE, A., DREITTEIN, W. B. *et al.* (2018). Real-world evidence for coverage decisions: opportunities and challenges. *J Comp Eff Res*, 7(12), pp. 1133-1143.

JONES, L. K., PULK, R., GIONFRIDDO, M. R. *et al.* (2018). Utilizing big data to provide better health at lower cost. *Am J Health Syst Pharm*, 75(7), pp. 427-435.

LIN, J., JIAO, T., BISKUPIAK, J. E. *et al.* (2013). Application of electronic medical record data for health outcomes research: a review of recent literature. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, 13(2), pp. 191-200.

LURIE, J. D. y MORGAN, T. S. (2013). Pros and cons of pragmatic clinical trials. *J Comp Eff Res*, 2(1), pp. 53-58.

OBARIUS, A., VAN MAASAKKERS, L., BAER, L. *et al.* (2017). Standardization of health outcomes assessment for depression and anxiety: recommendations from the ICHOM depression and anxiety working group. *Quality of Life Research*, 26(12), pp. 3211-3225.

OSTERBERG, L. y BLASCHKE, T. (2005). Adherence to medication. *NEJM*, 353(5), pp. 487-497.

POWERS, J. H., PATRICK, D. L., WALTON, M. K. *et al.* (2017). Clinician-reported outcome assessments of treatment benefit: report of the ISPOR clinical outcome assessment emerging good practices task force. *Value in Health*, 20(1), pp. 2-14.

ROTHWELL, P. M. (2005). External validity of randomized controlled trials: "to whom do the results of this trial apply? *Lancet*, 365(94539), pp. 82-93.

SANDY, L., DEMURO, C., BLOCK, S. L. *et al.* (2018). Development of a novel observer-reported outcome measure for the assessment of respiratory syncytial virus (RSV) infection symptoms in pediatric clinical trials. *Journal of Patient Reported Outcomes*, 2, p. 9.

SANSON-FISHER, R.W., BONEVSKI, B., GREEN, L.W. y D'ESTE, C. (2007). Limitations of the randomized controlled trial in evaluating population-based health interventions. *American Journal of Preventive Medicine*, 33(2), pp. 155-161.

SOTO J. (2005). Valor terapéutico añadido de los medicamentos: ¿qué es, cómo se evalúa y cuál debería ser su papel en política farmacéutica? *An Intern Med*, 22(1), pp.39-42. Madrid.

— (2007). Medicina basada en resultados en salud: la evolución lógica y deseable de la medicina basada en la evidencia. *Med. Clin (Barc)*, 128(7), pp. 254-255.

TANNOCK, I. F., AMIR, E., BOOTH, C. M. *et al.* (2016). Relevance of randomised controlled trials in oncology. *Lancet Oncology*, 17(12), e560-567.

TRAVERS, K., SALLUM, R. H., BURNS, M. D. *et al.* (2015). Characteristics and temporal trends in patient registries: focus on the life sciences industry, 1981-2012. *Pharmacoepidemiol Drug Saf*, 24(4), pp. 389-398.

VILLAR, J., LIZAN, L., SOTO, J. *et al.* (2009). La satisfacción con el tratamiento. *Atención Primaria*, 41(11), pp. 637-645.

WALTON, M. K., POWERS, J. H., HOBART, J. *et al.* (2015). Clinical outcome assessments: conceptual foundation-report of the ISPOR clinical outcomes assessment-emerging good practices for outcomes research task force. *Value in Health*, 18(6), pp. 741-752.