

La utilización de métodos probabilísticos para la evaluación económica de tecnologías sanitarias

Josep Darbà

Departamento de Teoría Económica, Universitat de Barcelona, Barcelona, España.

(Use of probabilistic methods in economic evaluation of health technologies)

Resumen

El presente trabajo pretende ilustrar las ventajas de los métodos probabilísticos en la evaluación económica de tecnologías sanitarias. Estos métodos consisten en representar cada uno de los parámetros del modelo mediante funciones de distribución probabilísticas, y ofrecen un análisis de la incertidumbre de los parámetros del modelo mucho mejor que el que se podría llevar a cabo con métodos determinísticos. Los resultados que se obtienen con los métodos probabilísticos se pueden representar mediante una nube de puntos que representa la distribución conjunta de costes y efectos en un mismo plano. Este tipo de información es la que se recoge en la curva de aceptabilidad coste-efectiva, que indica la probabilidad de que una determinada tecnología sanitaria sea coste-efectiva para un determinado valor del AVAC.

Palabras clave: Métodos probabilísticos. Evaluación económica de tecnologías sanitarias. Incertidumbre.

Abstract

The present article illustrates the advantages of probabilistic methods in health technology assessment. Using probabilistic distributions for parameters, these methods represent parameter uncertainty more effectively than deterministic models. The results of this simulation process represent the joint distribution of cost and effects in the cost-effective plane. More precisely, the cost-effectiveness ratio of each simulation is used to determine whether the ratio is cost effective in relation to the ceiling ratio. This kind of information is represented in the cost-effectiveness acceptability curve, which indicates the probability of a health technology being cost-effective for a particular quality-adjusted life year value.

Key words: Probabilistic methods. Health technology assessment. Uncertainty.

Introducción

A la hora de tomar decisiones relativas al reembolso y/o financiación (ya sea pública o privada) de medicamentos y tecnologías sanitarias, cada vez es más frecuente la utilización de los modelos analíticos de decisiones basados en una descripción explícita y transparente de la efectividad y el consumo de recursos de cada una de las opciones de tratamiento (alternativas) que se están evaluando¹.

Con el paso del tiempo, se han ido desarrollando y actualizando una serie de guías y requisitos técnicos para el correcto desarrollo de estos modelos y, principalmente, para hacer posible la comparación directa

(siempre dentro de lo posible) de los resultados obtenidos en distintas evaluaciones económicas. Con esta finalidad el Panel de Washington² definió una serie de recomendaciones de buena práctica metodológica bajo la denominación de «caso de referencia», y lo mismo se ha hecho en el Reino Unido cuando el National Institute for Clinical Excellence (NICE) ha actualizado las guías metodológicas para la evaluación económica de tecnologías sanitarias³.

Estos refinamientos técnicos han provocado no pocas discusiones metodológicas y la aparición de numerosos artículos científicos, donde destacan las ventajas e inconvenientes de adoptar una determinada línea de actuación a la hora de llevar a cabo evaluaciones económicas. Recientemente, el foco de atención se ha centrado en el tratamiento de la incertidumbre de los parámetros de los modelos de decisiones y en los métodos probabilísticos (MP) como la mejor forma posible de reflejar esta incertidumbre dentro del modelo.

La presente nota metodológica revisa las ventajas que ofrecen los MP respecto al análisis tradicional determinístico basado en estimaciones puntuales de los parámetros y su intervalo de confianza.

Correspondencia: Dr. Josep Darbà.
Departamento de Teoría Económica. Universitat de Barcelona.
Avda. Diagonal, 690. 08021 Barcelona. España.
Correo electrónico: darba@ub.edu

Recibido: 12 de mayo de 2005.
Aceptado: 24 de octubre de 2005.

El tratamiento de la incertidumbre

La incertidumbre está presente en todas las fases de una evaluación económica. Así, se puede distinguir entre la incertidumbre asociada a los datos que se utilizan para la evaluación y la incertidumbre relacionada con el proceso de evaluación en su conjunto⁴.

La incertidumbre referente a los datos del modelo se podría calificar como «inevitable», y se debe a la posible variación entre los individuos incluidos en la muestra poblacional que estamos analizando y la población general. En la medida que se disponga de una muestra más grande, cabe esperar que disminuya este tipo de incertidumbre.

El segundo tipo de incertidumbre engloba varios conceptos y hace referencia, por ejemplo, a la extrapolación de una medida clínica intermedia de resultado sanitario (control de la hipertensión arterial) a una medida final de salud (reducción de la morbilidad y mortalidad por enfermedades cardíacas). La posibilidad de generalizar los resultados del estudio a otros entornos sociosanitarios y a otra población, o la incertidumbre relacionada con el propio modelo de decisión utilizado (incertidumbre estructural), también se incluirían dentro de la incertidumbre intrínseca al proceso de evaluación⁵.

El método tradicional de analizar la incertidumbre asociada a los datos muestrales ha sido el análisis determinista. Cuando en un ensayo clínico se dispone de información relativa al consumo de recursos por parte de los pacientes y también sus resultados sanitarios, se puede calcular la estimación puntual y el correspondiente intervalo de confianza.

El problema aparece cuando la evaluación económica se realiza al margen de un ensayo clínico o una vez el ensayo ya se ha realizado. Entonces se dispone de información procedente de distintas fuentes (revisión de la bibliografía, registros hospitalarios, opiniones de expertos...) y los métodos deterministas ya no pueden utilizarse, por lo que los intervalos de confianza no son de mucha utilidad⁶.

Para subsanar esta limitación, tradicionalmente se ha llevado a cabo el análisis de sensibilidad sobre las variables y supuestos utilizados en la evaluación, y así determinar cuál es su impacto en los resultados finales.

Las limitaciones del análisis de sensibilidad

En general, la forma de estimar la consistencia de los parámetros del modelo es mediante el análisis de sensibilidad, ya sea simple (varía un parámetro del modelo y todos los demás siguen igual) o combinado (va-

rían simultáneamente de valor dos o más parámetros del modelo). Sin embargo, ni el análisis simple ni el combinado parecen ser suficientemente precisos como para reflejar la incertidumbre asociada a cada uno de los parámetros⁷. El análisis simple porque no parece muy realista suponer que, cuando varía el valor de un parámetro, todos los demás siguen igual (de hecho, se está ignorando la posible correlación entre parámetros). El análisis combinado por las dificultades de interpretación que plantea, ya que en algunos casos al investigador le es difícil interpretar el escenario planteado (p. ej., cuando las variables se comportan de la mejor o de la peor forma posible dentro de un rango de valores) y también los resultados obtenidos en él, ya que pueden considerarse poco realistas.

En la vida real los datos no permanecen invariables cuando otros son modificados, sino que hay una cierta correlación, por lo que el análisis de sensibilidad está infravalorando la incertidumbre; por el contrario, cuando simulamos el mejor (o el peor) escenario posible estamos sobrevalorando la incertidumbre.

Estas limitaciones del análisis de sensibilidad se solucionan mediante los MP, donde se propaga la incertidumbre presente en cada uno de los parámetros del modelo mediante distribuciones probabilísticas y simulaciones de Monte Carlo (normalmente se simulan 1.000 o 10.000 resultados, u otro número de resultados, dependiendo de la dificultad del modelo), y creando distribuciones conjuntas de costes y efectos que representan simultáneamente la incertidumbre presente en cada uno de los parámetros.

Los métodos probabilísticos

Los MP consisten en representar cada uno de los parámetros del modelo mediante funciones de distribución probabilísticas en lugar de hacerlo mediante estimaciones puntuales, tal como se haría en un análisis determinístico.

Las distribuciones utilizadas no son para nada arbitrarias y dependen de los datos observacionales obtenidos, del tipo de parámetro modelizado y del proceso de estimación utilizado.

Dicho de otra forma, en un análisis probabilístico no todos los pacientes se comportan como el paciente medio, y el modelo ya refleja explícitamente la variabilidad que pueda haber entre los distintos pacientes dentro de una cohorte. Por ejemplo, puede resultar poco realista suponer que todos los pacientes de una cohorte tengan la misma probabilidad de responder favorablemente a un determinado tratamiento. Lo más razonable es suponer que haya variaciones en la tasa de respuesta, tal como contemplan las distribuciones de probabilidades⁸.

La interpretación de los resultados probabilísticos

A la hora de dibujar los resultados del MP se obtiene una nube de puntos similar a la de la figura 1, y que representa la distribución conjunta de costes y efectos en un mismo plano. Los siguientes pasos consisten en analizar y presentar la información obtenida en este plano.

Con una estimación determinística de costes y efectos sólo habríamos obtenido el punto que está marcado de forma más intensa. Con los MP tenemos esa estimación puntual y también el resultado de realizar las simulaciones en las funciones de distribución de los parámetros.

Como se puede observar en la figura 1, la mayoría de puntos corresponden al mismo cuadrante del plano al que pertenece la estimación puntual, aunque algunas simulaciones también corresponden a los otros tres cuadrantes restantes.

Un punto que cabe destacar ahora es que la pendiente de la línea recta que une cualquier punto de la nube de puntos con el origen de coordenadas representa la razón coste-efectividad incremental de esa simulación específica. Concretamente, esta cociente coste-efectividad incremental de cada simulación es el que nos va a permitir determinar si un punto cualquiera es coste-efectivo una vez hayamos establecido el valor máximo de lo que estemos dispuestos a pagar para cada AVAC.

Este tipo de información es la que se recoge en la curva de aceptabilidad coste-efectiva que aparece en la figura 2. En el eje horizontal tenemos el valor máximo que el decisor está dispuesto a pagar para cada AVAC y en el eje vertical el porcentaje de simulaciones o puntos de la nube que caen dentro de ese rango, y que representan la probabilidad de que esa tecnología sanitaria sea coste-efectiva para un determinado valor máximo del AVAC.

En nuestro ejemplo, el punto de la curva de aceptabilidad coste-efectiva que corresponde al valor del 50% en el eje vertical nos indica la estimación puntual que habríamos obtenido en un análisis determinista y le corresponden 15.000 € por AVAC.

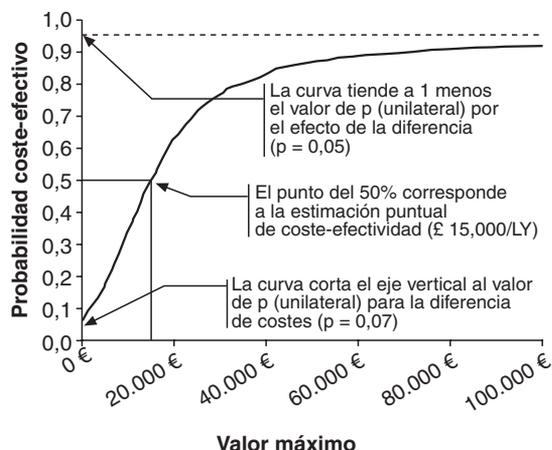
Esta curva siempre cumple con dos propiedades: corta al eje vertical en el valor de la probabilidad de que la diferencia de costes sea mayor que cero (en este caso, $p = 0,07$), y tiene una asíntota horizontal en la probabilidad de que la diferencia de efectos de salud sea positiva⁹ (en este caso, $p = 0,05$).

Conclusiones

El objetivo de esta nota metodológica ha sido presentar las ventajas que ofrecen los MP frente a los mo-

Figura 1. Representación de la nube de puntos en el plano coste-efectivo.

Figura 2. Curva de aceptabilidad coste-efectiva.



delos determinísticos a la hora de cuantificar la incertidumbre asociada a los parámetros del modelo dentro de una evaluación económica.

Sin lugar a dudas, el tratamiento de la incertidumbre es uno de los campos con más desafíos dentro de la evaluación económica, y en el que en un futuro no muy lejano van a aparecer importantes avances metodológicos.

Bibliografía

- Hjelmgren J, Berggren F, Andersson F. Health economic guidelines: similarities, differences and some implications. *Value Health*. 2001;4:225-50.
- Gold MR, Siegel JE, Russell LB, Weinstein MC. *Cost-effectiveness analysis in health and medicine*. Nueva York: Oxford University Press; 1996.

3. National Institute for Clinical Excellence. Technical guidance for manufacturers and sponsors on making a submission to a technology appraisal. Londres: National Institute for Clinical Excellence; 2004. Disponible en: <http://www.nice.org.uk>
4. Briggs A, Sculpher M, Buxton M. Uncertainty in the economic evaluation of health care technologies: the role of sensitivity analysis. *Health Economics*. 1994;3:95-104.
5. Biggs AH, O'Brien BJ, Blackhouse G. Thinking outside the box: recent advances in the analysis and presentation of uncertainty in cost-effectiveness studies. *Ann Rev Public Health*. 2002;23:377-401.
6. Drummond MF, Davies L. Economic analysis alongside clinical trials. *Int J Technol Assess Health Care*. 1991;7:561-73.
7. Drummond MF, O'Brien BJ, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*. Nueva York: Oxford University Press; 1997.
8. Briggs AH, Gray AM. Handling uncertainty when performing economic evaluation of healthcare interventions. *Health Technol Assess*. 1999;3:1-134.
9. Fenwick L, Claxton J, Sculpher M. Representing uncertainty: the role of cost-effectiveness acceptability curves. *Health Economics*. 2001;10:779-87.