

Utilización de AVAC en diferentes situaciones clínicas

Use of QALYs in different
clinical situations. *Executive
summary*

INFORMES DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS
AETSA 2009 / 10

INFORMES, ESTUDIOS E INVESTIGACIÓN



MINISTERIO
DE CIENCIA
E INNOVACION



Ministerio de Ciencia e Innovación

Agencia de Evaluación
7/S de Tecnologías Sanitarias
Instituto
de Salud
Carlos III



MINISTERIO
DE SANIDAD, POLÍTICA SOCIAL
E IGUALDAD



Plan de Calidad
para el Sistema Nacional
de Salud



JUNTA DE ANDALUCÍA
CONSEJERÍA DE SALUD

Impreso en cartulina  FSC
y papel fabricado con pasta libre de madera.

Utilización de AVAC en diferentes situaciones clínicas

Use of QALYs in different
clinical situations. *Executive
summary*

INFORMES DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS
AETSA 2009 / 10

Abellán Perpiñán, José María

Utilización de AVAC en diferentes situaciones clínicas. José María Abellán Perpiñán, José Antonio Navarro Caballero — Sevilla: Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía, 2011.

96 p; 24 cm. (Colección: Informes, estudios e investigación. Ministerio de Sanidad, Política Social e Igualdad. Serie: Informes de Evaluación de Tecnologías Sanitarias)

1. Años de vida ajustados por calidad de vida I. Navarro Caballero, José Antonio II. Andalucía. Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias III. España. Ministerio de Sanidad, Política Social e Igualdad IV. España. Ministerio de Ciencia e Innovación

Autores: José María Abellán Perpiñán¹, José Antonio Navarro Caballero²

¹ *Departamento de Economía Aplicada. Universidad de Murcia*

² *Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía*

Edita: Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía
Avda. Luis Montoto, 89. 4ª planta
4107 Sevilla
España – Spain

Este documento se ha realizado en el marco de colaboración previsto en el Plan de Calidad para el Sistema Nacional de Salud elaborado por el Ministerio de Sanidad, Política Social e Igualdad, al amparo del convenio de colaboración suscrito por el Instituto de Salud Carlos III, organismo autónomo del Ministerio de Ciencia e Innovación y la Fundación Progreso y Salud de Andalucía

ISBN: 978-84-96990-88-3

NIPO: Ministerio de Ciencia e Innovación 477-11-073-1. Ministerio de Sanidad Política Social e Igualdad 860-11-240-1.

Depósito Legal: SE-8424-2011

Imprime: Coria Gráfica, S.L.

Este documento puede ser reproducido en todo o en parte, por cualquier medio, siempre que se cite explícitamente su procedencia

Utilización de AVAC en diferentes situaciones clínicas

Use of QALYs in different
clinical situations. *Executive
summary*

INFORMES DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS
AETSA 2009 / 10

Conflicto de Interés

Los autores declaran que no tienen intereses que puedan competir con el interés primario y los objetivos de este informe e influir en su juicio profesional al respecto.

Índice

Abreviaturas	7
Resumen ejecutivo.....	9
Executive summary	19
Introducción.....	29
Objetivo	31
Material y Métodos	33
Potenciales características relevantes	35
Referencias centrales.....	35
Referencias no centrales.....	38
Los determinantes del valor social de las intervenciones sanitarias ..	41
1. La gravedad.....	41
2. El potencial de mejora	50
3. Argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte	53
3.1. La regla del rescate.....	53
3.2. La disponibilidad de tratamiento alternativo.....	58
3.3. La rareza de la enfermedad	60
4. La edad.....	63
5. Concentración/dispersión	68
6. La dirección del cambio en la salud.....	70
7. El coste de la intervención.....	72
8. Las características personales de los beneficiarios	73
Conclusiones.....	79
Referencias	83

Abreviaturas

AVAC:	Años de vida ajustados por calidad.
DALY:	<i>Disability-Adjusted Life Year.</i>
I+D:	Investigación y desarrollo.
NCPH:	<i>Norwegian Commission for Prioritising in Healthcare.</i>
NICE:	<i>National Institute for Health and Clinical Excellence.</i>
PBAC:	<i>Pharmaceutical Benefit Advisory Committee.</i>
PTO:	<i>Person trade-off.</i>

Resumen ejecutivo

INTRODUCCIÓN

La necesidad de establecer prioridades o criterios de racionamiento para asignar los recursos sanitarios proviene del hecho de que tales recursos, como sucede con el resto de bienes, son finitos. De ahí que herramientas como el análisis coste efectividad hayan ido adquiriendo cada vez más importancia para los decisores sanitarios. Los Años de vida ajustados por calidad (AVAC) son cada vez más utilizados en la evaluación de las intervenciones sanitarias y han sido recomendados por el *National Institute for Health and Clinical Excellence* (NICE) para su uso en los análisis de coste-efectividad de las tecnologías sanitarias.

Pero el algoritmo asignativo que subyace al análisis coste efectividad convencional ha sido muy criticado con base en argumentos teóricos y estudios empíricos, que persiguen identificar aquellos factores o características que pueden inducir que las ganancias de salud de determinados grupos de pacientes reciban un mayor valor social en relación a las obtenidas por otros, con la finalidad de constituir la base para la estimación ulterior de lo que se puede denominar “pesos de equidad”.

OBJETIVO

Identificar los atributos potencialmente útiles para la estimación de pesos de equidad o valores sociales relativos de las ganancias de salud, medidas en AVAC.

METODOLOGÍA

Se ha efectuado una revisión de la literatura. La búsqueda se realizó en las bases de datos habituales de artículos en economía de salud, completándose con una búsqueda manual de referencias. El proceso de revisión de la literatura se inició con la búsqueda de trabajos que hubiesen tratado de abordar de manera amplia la evidencia empírica y teórica existente respecto al valor social relativo de las ganancias de salud según determinadas características. A continuación, tomando como referencia la fecha de la revisión más amplia y exhaustiva de las publicadas, se procedió a realizar una búsqueda de nueva evidencia publicada a lo largo del período 2005-2010, restringida al idioma inglés. El procedimiento escogido para realizar tal búsqueda fue partir de dicha revisión y sondear qué publicaciones lo citaban empleando Google Scholar, seleccionándose aquellas que, o bien ofrecían una reflexión teórica de entidad, o constituían una nueva aportación empírica. A su vez, se consultó por medio del mismo

buscador qué nuevas publicaciones citaban a las seleccionadas, repitiéndose la operación hasta que se juzgó que ya no aparecían nuevas aportaciones de interés.

POTENCIALES CARACTERÍSTICAS RELEVANTES

Se identificaron cuatro revisiones que intentan identificar y agrupar los factores o características que pueden servir como base para ponderar las ganancias de salud de unos individuos o grupos frente a otros, razón por la cual constituyeron el punto de partida de una revisión posterior, considerándose como las referencias centrales. Se realizó una búsqueda de nueva evidencia publicada a lo largo del período 2005-2010 partiendo de la revisión más amplia y exhaustiva de las identificadas, sondeando qué publicaciones la citaban. De las 74 citas identificadas empleando Google Scholar, se seleccionaron aquellas que ofrecían una reflexión teórica de entidad o constituían una nueva aportación empírica. A su vez, se consultó a través del mismo buscador qué nuevas publicaciones citaban a las seleccionadas, repitiéndose la operación hasta que se juzgó que ya no aparecían nuevas aportaciones de interés. Este proceso condujo a identificar nuevas revisiones, pero de carácter específico, esto es, centradas en alguno de los factores que pueden determinar el valor social de la salud. Aparte de estas revisiones, y de algunos otros artículos teóricos interesantes, se localizaron 23 estudios empíricos nuevos publicados a partir de 2005.

La bibliografía obtenida permitió elaborar la siguiente síntesis de las potenciales características que la población podría desear tener en cuenta para determinar el valor social relativo de las ganancias de salud de diferentes beneficiarios:

1. La gravedad.
2. El potencial de mejora o capacidad para beneficiarse de una intervención.
3. Argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte:
 - La “Regla del Rescate”
 - La disponibilidad de tratamiento alternativo.
 - La “rareza” de la enfermedad.
 - La edad.
5. La concentración/dispersión de los beneficios de salud.
6. La dirección en el cambio de la salud.
7. El coste de la intervención.
8. Las características personales de los beneficiarios.

LOS DETERMINANTES DEL VALOR SOCIAL DE LAS INTERVENCIONES SANITARIAS

Se presentan las bases conceptuales y fundamentos teóricos y la evidencia empírica, tanto cualitativa como cuantitativa, relativa a las características o atributos previamente identificadas, que la población podría desear tener en cuenta para determinar el valor social relativo de las ganancias de salud de diferentes beneficiarios.

La gravedad

La ganancia de salud esperada medida en AVAC podría infraestimar sustancialmente el valor social de la asistencia sanitaria dirigida a aquellos pacientes en peores condiciones. La hipótesis básica del enfoque de la gravedad es que el valor social de una ganancia de salud de un tamaño dado es mayor cuanto mayor es la gravedad del paciente, y hay al menos tres principios éticos y de justicia distributiva que lo sustentan: el principio de otorgar prioridad a quien está peor (prioritarismo), el principio igualitarista y el de asignación de acuerdo a las necesidades.

La gravedad es, junto a la edad, el factor más ampliamente estudiado en la literatura especializada. Los estudios cualitativos ponen de manifiesto que la gravedad se considera como uno de los factores más importantes a considerar en la toma de decisiones sanitarias, aunque se apunta la existencia de un “umbral” o nivel mínimo a partir del cual la gravedad es relevante que, según algún estudio, puede estar en el 30% de la salud normal. Los resultados de los estudios cuantitativos respaldan la importancia de este atributo, aunque alguno encuentre que no es un factor significativo o ponga de manifiesto una preferencia no lineal. Aunque a causa de los diferentes diseños utilizados resulta muy difícil intentar derivar una suerte de peso de gravedad “promedio”; algún estudio ha intentado obtener alguna aproximación al mismo. Así, se estima que el valor social de salvar una persona de la muerte, recuperando la salud normal, es entre 3 y 6 veces el de curar a una persona con problemas graves, 10-15 veces el de curar a alguien con problemas considerables y hasta 50-200 veces el de curar a una persona con problemas leves.

El potencial de mejora

Se trata del único factor relevante para establecer prioridades según la regla de maximización no ponderada de AVAC, al tratarse las ganancias de salud de modo lineal de modo que, a igual gravedad, aquellos pacientes con mayor potencial de mejora serán los más favorecidos. Así pues, la regla estándar predice que el valor social de las intervenciones

es proporcional al potencial de mejora de los pacientes. La bibliografía señala dos consecuencias indeseables del supuesto de proporcionalidad: favorece a los pacientes que poseen las condiciones clínicas más tratables y tienen un mayor potencial de mejora y puede discriminar a aquellos pacientes que no pueden recuperar la salud normal, en particular los enfermos crónicos y los discapacitados, lo que vulneraría el principio ético del derecho a la preservación de la vida y a la realización del potencial de mejora de los pacientes en la medida que la ganancia de salud sea sustancial y significativa.

La evidencia es más escasa que en el caso de la gravedad. La mayoría de los estudios cualitativos otorgan una gran importancia a los beneficios del tratamiento, en general, sólo por detrás de la gravedad. En cuanto a los estudios cuantitativos, la evidencia disponible sugiere que la sociedad tiende a conceder al menos la misma prioridad a quienes gozan de menor potencial de mejora que a quienes pueden curarse por completo, aunque estudios muestran que el estado de salud que alcanza el paciente después del tratamiento no es un factor irrelevante, existiendo un menor apoyo a la priorización del paciente con menor potencial de mejora.

Argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte

Se trata de un conjunto de factores relacionados con aquellos pacientes que afrontan una esperanza de vida muy limitada -frecuentemente también una reducida calidad de vida- a consecuencia de su enfermedad. Se revisan tres elementos. La regla del rescate, la disponibilidad de tratamiento alternativo y la rareza de la enfermedad.

La regla del rescate, entendida como el imperativo para rescatar a individuos identificables en situaciones de peligro inmediato, con independencia del coste, responde a una motivación emocional y, por definición, difícil de equilibrar con los argumentos de eficiencia. Se resumen las críticas planteadas a la regla del rescate para su utilización en el establecimiento de prioridades en sanidad. Respecto a la evidencia sobre la misma, las instituciones que se han planteado su uso rechazan la regla del rescate en su formulación literal.

La disponibilidad de tratamiento alternativo se trata de un factor poco explorado, y se justifica principalmente por el valor de opción que ofrecen las nuevas terapias. En la medida que el análisis coste-efectividad no refleja dicho valor cuando se valoran los beneficios de las terapias prolongadoras de la vida en enfermos en fase terminal, por ejemplo, se sigue que sus ratios coste-efectividad estarían infraestimando su auténtico valor social. La evidencia disponible es controvertida, pues si bien en algunos estudios muestra que se trata de un factor significativo, en otros

se muestra como una característica con poca influencia sobre el valor social de los tratamientos.

En cuanto a la rareza de la enfermedad, se argumenta que dado que las ratios coste-efectividad de los tratamientos para enfermedades raras suelen ser elevados, varios autores han valorado posibles justificaciones para extender el estatus de medicamento “singular” a la esfera de las decisiones de reembolso público. Se presentan los argumentos habitualmente utilizados para defender este tratamiento diferenciado, relativos al elevado coste por paciente, la dificultad de disponer de evidencia robusta sobre sus beneficios y la equidad, considerándose que en ningún caso se trata de argumentos poderosos. La evidencia empírica es muy escasa y sugiere que la población no está dispuesta a pagar más por los medicamentos para enfermedades raras de lo que estaría dispuesta a pagar por los tratamientos para enfermedades comunes.

La edad

Se repasan las razones que llevan a considerar esta característica como relevante, a efectos de otorgar un menor peso relativo a las ganancias de salud de los más viejos frente a los más jóvenes: esperanza de vida, productividad y valor para el resto de miembros de la sociedad y desigualdad en términos del perfil total de salud disfrutado por jóvenes y viejos (enfoque igualitarista), así como lo que se puede denominar como “plan vital” de los individuos. De todos los argumentos descritos, el que ha recibido con diferencia una mayor atención es el igualitarista.

La evidencia proporcionada por los estudios cualitativos muestra que hay un apoyo limitado a utilizar la edad como criterio de priorización, por ejemplo, cuando la misma está ligada a un mayor potencial de mejora o sea indicativa de un mayor riesgo. Los estudios cuantitativos, en general, obtienen una evidencia más favorable a atribuir un mayor peso relativo a los jóvenes frente a los mayores, si bien hay resultados que sugieren que la relación entre edad y valor social no es monótona decreciente, sino que puede haber puntos de inflexión propios de relaciones no lineales entre ambas variables. Los estudios más recientes sugieren una función de ponderación basada en la edad con forma de “resalto”, de modo que los pesos crecen con la edad hasta alcanzar un máximo alrededor de los 20 años, a partir del cual descienden. Parece por tanto que, atendiendo a la suma de la evidencia más reciente, la relación entre valor social y edad puede ser más compleja de lo que los estudios iniciales sugerían.

Concentración/dispersión

La regla de maximización del AVAC supone “neutralidad distributiva”, pero dada una suma total de ganancias de salud fija, la sociedad puede concederle un mayor valor social a una equidistribución de dicha suma (beneficiar a muchos aunque sea poco) que a una concentración de la misma (beneficiar a unos pocos, pero en gran medida). La preferencia por la dispersión del beneficio no sólo puede responder a motivaciones fundamentadas puramente en la equidad, sino que también pueden obedecer a argumentos de eficiencia de carácter “individual”. En la literatura se identifican cuatro motivaciones para los juicios distributivos sobre las ganancias de salud: preferencia temporal positiva, efectos “umbral”, aversión al riesgo y preferencias por la equidad “puras”.

La evidencia empírica muestra patrones de dispersión/concentración que sugieren que la población puede favorecer la difusión de ganancias adicionales entre un número mayor de personas, pero siempre que el tamaño de la ganancia sea lo suficientemente grande. Los experimentos han permitido calcular diferentes umbrales, siendo de 2,6 años el obtenido con el estudio más reciente. Igualmente, estudios muestran que, con pequeñas variaciones, las funciones de utilidad individual y de valor social son muy semejantes.

La dirección del cambio de la salud

El supuesto de proporcionalidad del valor social respecto de las ganancias de salud que subyace en la regla de maximización de los AVAC es, por naturaleza, consecuencialista, siendo insensible a cómo se hayan generado esas ganancias. Puesto que sólo importa la distancia entre el estado de salud inicial y el estado de salud final, resulta indiferente la dirección en que se produzca el cambio en la salud, lo que tiene una importante implicación para la comparación de programas curativos y preventivos.

Se repasan los argumentos que pueden inducir una valoración asimétrica entre tratamientos curativos y preventivos, con abstracción de los efectos debidos puramente a la aversión al riesgo y la preferencia temporal positiva: regla amplia del rescate, aversión a las pérdidas y sesgo del punto de referencia. La evidencia disponible al respecto de este tema es muy escasa y ambigua. Los trabajos más recientes, no obstante, parecen poner de manifiesto hay una preferencia por los programas curativos significativamente mayor que por los tratamientos preventivos.

El coste de la intervención

Si bien son pocos los estudios sobre esta característica como factor de priorización, las posibles justificaciones a la estimación de pesos de equidad basados en los costes serían análogas a las manejadas en el contexto de los beneficios. La evidencia muestra que hay un rechazo a seguir una regla estricta de reparto basada en la minimización del coste por unidad de salud ganada.

Las características personales de los beneficiarios

El rol que pueden desempeñar las características personales de los beneficiarios en la determinación del valor social de las intervenciones sanitarias se relaciona con la cuestión de las desigualdades en salud. Puede haber varias razones que pueden mover a dar prioridad a determinados colectivos sobre la base de sus características personales, dependiendo de la característica específica de que se trate: atenuar las desigualdades en salud entre grupos sociales, compensación del estatus socioeconómico con priorización de la asistencia sanitaria, priorización de quienes han sido más diligentes en el cuidado de su salud. En el caso de las características relacionadas con el propio “yo” de la persona, como el sexo o la raza, no parece que haya argumentos convincentes que puedan justificar su utilización como factor de priorización

Hay una extensa bibliografía sobre las características personales en relación a la priorización en sanidad, pero la inmensa mayoría de los estudios no ofrecen estimaciones de pesos de equidad. Si se intenta hacer una valoración global de los resultados aportados por los diferentes estudios, se encuentra que los factores que más claramente han concitado la predisposición de la gente a priorizar sobre su base son: la existencia de personas que dependen del paciente (niños y/o ancianos), la responsabilidad (estilos de vida) y la clase social. Si bien este apoyo es siempre relativo y sensible a la posible pérdida de eficiencia que se pueda producir. Los resultados muestran una tendencia a priorizar a favor de los pacientes con niños a su cargo y otros dependientes, a los no fumadores respecto a los fumadores, a los afectados por negligencias del sistema de salud, y contra los que han llevado un estilo de vida irresponsable (aunque esto resulta controvertido). Respecto al estatus socioeconómico o clase social, hay evidencia empírica que sugiere que este es un factor que puede ser importante para la población, que valora mucho más una misma ganancia de esperanza de vida en la clase social más baja que en la clase social más alta, así como una misma reducción en la tasa de prevalencia de las enfermedades de larga duración.

CONCLUSIONES

Existe una amplia bibliografía que cuestiona el algoritmo que subyace al análisis coste-efectividad estándar que mide los beneficios en AVAC, tanto a nivel teórico como empírico. Aunque la evidencia no es tajante para buena parte de las características estudiadas, pues los resultados de los estudios analizados resultan en ocasiones contradictorios, así como muy variables cuando intentan calcular umbrales para algunos de los atributos, parece claro que los ciudadanos muestran una clara tendencia a considerar factores relacionados con las características de los pacientes a la hora de realizar ejercicios de priorización.

La revisión he permitido identificar las características que han sido objeto de estudio, exponiéndose los principales resultados obtenidos a continuación.

La gravedad se considera como uno de los factores más importantes a considerar en la toma de decisiones sanitarias. Se apunta la existencia de un “umbral” o nivel mínimo a partir del cual la gravedad es relevante, que puede estar en el 30% de la salud normal.

Los beneficios del tratamiento se consideran en general de bastante relevancia, sólo por detrás de la gravedad. La evidencia disponible sugiere que la sociedad tiende a conceder al menos la misma prioridad a quienes gozan de menor potencial de mejora que a quienes pueden curarse por completo, aunque estudios muestran que el estado de salud que alcanza el paciente después del tratamiento no es un factor irrelevante, existiendo un menor apoyo a la priorización del paciente con menor potencial de mejora.

Respecto a los argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte, la evidencia sobre la “regla del rescate” muestra que las instituciones que se han planteado su uso la rechazan en su formulación literal. En cuanto a la disponibilidad de un tratamiento alternativo la evidencia disponible es controvertida, tratándose de un factor poco explorado. La rareza de la enfermedad no resulta relevante, sugiriendo la escasa evidencia que la población no está dispuesta a pagar más por los medicamentos para enfermedades raras de lo que estaría dispuesta a pagar por los tratamientos para enfermedades comunes.

En cuanto a la edad, la evidencia muestra que existe un apoyo limitado a utilizarla como criterio de racionamiento. Hay una tendencia más favorable a atribuir un mayor peso relativo a los jóvenes frente a los mayores, si bien hay resultados que sugieren que la relación entre edad y valor social no es monótona decreciente, sino que puede haber puntos de inflexión propios de relaciones no lineales entre ambas variables. Los estudios más recientes sugieren una función de ponderación basada en la edad con forma de “resalto”, de modo que los pesos crecen con la edad

hasta alcanzar un máximo alrededor de los 20 años, a partir del cual descienden.

La evidencia empírica muestra patrones de dispersión/concentración que sugieren que la población puede favorecer la difusión de ganancias adicionales entre un número mayor de personas, pero siempre que el tamaño de la ganancia sea lo suficientemente grande. Los experimentos han estimado diferentes umbrales, siendo de 2,6 años el proporcionado por el estudio más reciente.

Respecto a la dirección del cambio de la salud, la evidencia es muy escasa y ambigua. Los trabajos más recientes parecen mostrar una preferencia por los programas curativos significativamente mayor que por los tratamientos preventivos.

La evidencia respecto al coste de la intervención muestra que hay un rechazo a seguir una regla estricta de reparto basada en la minimización del coste por unidad de salud ganada.

En cuanto a las características personales de los beneficiarios, no parece que haya argumentos convincentes que puedan justificar la utilización como factor de priorización para el caso de las características relacionadas con el propio “yo” de la persona, como el sexo o la raza. Los factores que más claramente han concitado la predisposición de la gente a priorizar sobre su base son: la existencia de personas que dependen del paciente (niños y/o ancianos), la responsabilidad (estilos de vida) y la clase social. Si bien este apoyo es siempre relativo y sensible a la posible pérdida de eficiencia que se pueda producir. Los resultados muestran una tendencia a priorizar a favor de los pacientes con niños a su cargo y otros dependientes, a los no fumadores respecto a los fumadores, a favor de los afectados por negligencias del sistema de salud, y contra la priorización de los que han llevado un estilo de vida irresponsable (si bien esto resulta controvertido). Respecto al estatus socioeconómico o clase social, hay evidencia empírica que sugiere que este es un factor que puede ser importante para la población, que valora mucho más una misma ganancia de esperanza de vida en la clase social más baja que en la clase social más alta, así como una misma reducción en la tasa de prevalencia de las enfermedades de larga duración.

En resumen, la evidencia muestra que los ciudadanos están dispuestos a renunciar a la maximización de las ganancias en salud para la sociedad con el fin de beneficiar a determinados grupos de población, en función de las características o atributos estudiados en este trabajo. Son necesarios más estudios que permitan cuantificar las preferencias, de forma que puedan establecerse los “pesos de equidad” y poder construir una función de bienestar social que resulte de utilidad para los decisores sanitarios.

Executive summary

INTRODUCTION

The need to establish rationing priorities or criteria for allocating health resources stems from the fact that these resources, as with other goods, are finite. Hence, tools like cost-effectiveness analysis have become increasingly more important for health policy makers. Quality-Adjusted Life-Years (QALYs) are increasingly used in the evaluation of health interventions and have been recommended by NICE for use in cost-effectiveness analyses of health technologies.

However, the assigned algorithm underlying conventional cost-effectiveness analysis has been criticized on the basis of theoretical arguments and empirical studies. These arguments and studies seek to identify those factors or characteristics that can lead to the health gains of certain groups of patients receiving a higher social value in relation to those obtained by others, in order to form the basis for the subsequent estimation of what may be termed “equity weights”.

OBJECTIVE

To identify attributes which are potentially useful for the estimation of equity weights or relative social values of health gains, measured in QALYs.

METHODOLOGY

A review of the literature was made. The search was conducted in the usual databases of articles on health economics, supplemented by a manual review of references. The literature review process began with the search for works that had attempted to comprehensively address the existing theoretical and empirical evidence regarding the relative social value of health gains according to certain characteristics. Next, with reference to the date of the broader and more exhaustive review of the published works, a search was made for new evidence published over the period 2005-2010, restricted to the English language. The procedure chosen to perform such a search was part of that review and probed which of the cited publications used Google Scholar, selecting those that either offered a theoretical reflection of entity, or constituted a new empirical contribution. In turn, the same browser was used to consult which new publications quoted those chosen, repeating the operation until it was judged that no new contributions of interest appeared.

POTENTIAL RELEVANT CHARACTERISTICS

Four reviews were found which attempted to identify and group the factors or characteristics that can serve as a basis for weighting the health gains of some individuals or groups over others, which is why they constituted the starting point of a later review, being considered as the central references. A search was conducted of new evidence published over the period 2005-2010 based on the broader and more exhaustive review of those identified, probing which publications were cited. Of the 74 citations identified using Google Scholar, those were selected that offered a theoretical reflection of entity or constituted a new empirical contribution. In turn, the same browser was used to consult which new publications cited those selected, repeating the operation until it was judged that no new contributions of interest appeared. This process led to the identification of new reviews, but of a specific nature, which focused on some of the factors that can determine the social value of health. Apart from these reviews, and some other interesting theoretical papers, 23 new empirical studies were located that were published since 2005.

The literature obtained allowed the following summary of potential factors that could be considered when determining the relative social value of health gains to different beneficiaries:

1. Severity.
2. The potential for improvement or ability to benefit from an intervention.
3. Arguments regarding the immediacy of death:
 - The “Rule of Rescue”
 - The availability of alternative treatment.
 - The “rarity” of the disease.
4. Age.
5. The concentration / dispersion of health benefits.
6. The direction of change in health.
7. The cost of the intervention.
8. The personal characteristics of the beneficiaries.

DETERMINANTS OF THE SOCIAL VALUE OF HEALTH INTERVENTIONS

The conceptual bases, theoretical foundations and empirical evidence are presented, both qualitative and quantitative, on the previously identified characteristics or attributes that could be considered when determining the relative social value of health gains to different beneficiaries.

Severity

Health gain measured in QALYs could substantially underestimate the social value of healthcare directed to those patients with worse conditions. The basic hypothesis of the severity approach is that the social value of health gain of a given size is greater the more severe the condition of the patient, and at least three principles of ethics and distributive justice sustain it: the principle of giving priority to those who are worse (prioritization), the egalitarian principle and allocation according to needs.

Severity, along with age, is the single most widely studied factor in the literature. Qualitative studies show that severity is considered to be one of the most important factors to take into account when making healthcare decisions. These studies also indicate the existence of a “threshold” or minimum level at which severity is important which, according to some studies, may be at 30% of normal health. The results of quantitative studies support the importance of this attribute, though some find it is not a significant factor or that it shows a nonlinear preference. Because of the different designs used it is very difficult to try to derive some sort of “average” severity weighting, some studies however have attempted to obtain some approximation to it. It is estimated that the social value of saving a person from death and regaining normal health, is between 3 and 6 times that of curing a person with severe problems, 10-15 times that of healing someone with considerable problems and up to 50-200 times that of healing a person with mild problems.

The potential for improvement

This is the only important factor in establishing priorities according to the unweighted QALY maximization rule, whereby treating health gains in a linear manner, like severity, those patients with the greatest potential for improvement will be most favoured. Thus, the standard rule predicts that the social value of interventions is proportional to the potential for patient improvement. The literature points to two undesirable consequences of the assumption of proportionality: it helps patients who have the most treatable medical conditions and have a greater potential for improvement and can discriminate against those patients who cannot recover normal health, particularly the chronically ill and disabled, which is contrary to the ethical principle of the right to preservation of life and realizing the potential of improving patients to the extent that their health gain is substantial and significant.

The evidence is scarcer than in the case of severity. Most qualitative studies give great importance to the benefits of treatment, generally,

just behind severity. The available evidence from quantitative studies suggests that society tends to give at least equal priority to those with the least potential for improvement as those who can be cured completely. However, although studies show that the health status that the patient reaches after treatment is not an irrelevant factor, there is less support for the prioritization of patients with less potential for improvement.

Arguments related to the immediacy of death

This is a set of factors related to patients who face a very limited life expectancy, often also a reduced quality of life, as a result of their illness. We review three elements: The rule of rescue, the availability of alternative treatment and the rarity of the disease.

The rule of rescue, understood as the imperative to rescue identifiable individuals in immediate danger, regardless of cost, responds to an emotional motivation and, by definition, is difficult to balance with efficiency arguments. It summarizes the criticisms made of the rule of rescue for its use in establishing healthcare priorities. With regard to evidence about the same, the institutions that have suggested its use reject the rule of rescue in its literal wording.

The availability of alternative treatment is a factor that is little explored, and is mainly justified by the option value offered by new therapies. To the extent that the cost-effectiveness analysis does not reflect that value when assessing the benefits of life prolonging therapy in terminally ill patients, for example, it follows that its cost-effectiveness ratios would be underestimating its true social value. The available evidence is controversial, because although some studies show that it is a significant factor; in others it appears as a characteristic with little influence on the social value of treatments.

Regarding the rarity of the disease, it is argued that since the cost-effectiveness ratios of treatments for rare diseases are often high, several authors have assessed possible justifications for extending the “unique” drug status to the realm of public reimbursement decisions. The usual arguments are presented that are used to defend this differential treatment relating to the high cost per patient, the difficulty of having robust evidence about their benefits and equity, with no powerful arguments given in any case. The empirical evidence is scarce and suggests that the population is not willing to pay more for drugs for rare diseases than they would be willing to pay for treatments for common diseases.

Age

The reasons are reviewed which lead to this factor as being considered relevant in order to give less weight to the health gains of older versus younger people: life expectancy, productivity and value for the other members of society and the inequality in terms of the overall health profile enjoyed by young and old (egalitarian approach), as well as what can be termed as the “life plan” of the individuals. Of all the arguments described, the egalitarian has received far more attention.

The evidence provided by qualitative studies shows that there is limited support for using age as a criterion for prioritization, for example, when it is linked to a greater potential for improvement or is indicative of a greater risk. Quantitative studies generally obtain more favourable evidence to attribute more weight to the young than the elderly. However, there are results suggesting that the relationship between age and social value is not monotonically decreasing, but that there may be points of inflection, typical of nonlinear relationships between both variables. Recent studies suggest a weighting function based on age in the form of a “crest” so that the weighting increases with age to reach a peak around age 20, from which point it descends. It therefore appears that, based on the sum of the latest evidence, the relationship between age and social value may be more complex than initial studies suggested.

Concentration / dispersion

The QALY maximization rule supposes “distributive neutrality”, but given a total amount of fixed health gains, society may give a greater social value to an equal distribution of that amount (to the benefit of many although only a little) than a concentration of the same (to the benefit of a few, but greatly). The preference for the spread of the benefit may not only respond to motives based purely on equity, but may also result from “individual” efficiency arguments. The literature identifies four motivations for distributive judgments on health gains: positive time preference, “threshold” effects, risk aversion and preferences for “pure” equity.

Empirical evidence shows patterns of concentration / dispersion that suggest the population may favour the dissemination of additional revenue over a larger number of people, provided that the size of the gain is large enough. Experiments have allowed different thresholds to be calculated, with 2.6 years being obtained with the latest study. Also, studies show that, with minor variations, the functions of individual utility and social values are very similar.

The direction of change of health

The assumption of proportionality regarding the social value of health gains that underlies the QALY maximization rule is by nature, consequentialist, and is insensitive to how these gains were generated. Since it is only the distance between the initial health status and the final health status that is important, it is indifferent to the direction in which change occurs in health, which has an important implication for the comparison of curative and preventive programmes.

The arguments are reviewed that can induce an asymmetric valuation between curative and preventive treatments, without consideration of the effects due purely to risk aversion and positive time preference: wide rule of rescue, loss aversion and reference point bias. The available evidence regarding this issue is scarce and ambiguous. The most recent works, however, seem to show there is a significantly higher preference for curative programmes than for preventive treatments.

The cost of intervention

Whilst there are few studies on this feature as a factor in prioritization, the possible justifications for the estimation of equity weights based on costs would be similar to those dealt with in the context of the beneficiaries. The evidence shows that there is a refusal to follow a strict distribution rule based on minimization of the cost per unit of health gained.

The personal characteristics of beneficiaries

The role that the personal characteristics of the beneficiaries can play in determining the social value of health interventions is related to the issue of health inequalities. There may be several reasons that can be put forward to give priority to certain groups on the basis of their personal characteristics, depending on the specific characteristic involved: reducing health inequalities between social groups, compensation of socioeconomic status with prioritization of health care, prioritization of those who have been more diligent in the care of their health. In the case of the characteristics associated with the “self” of the person, such as sex or race, there seems to be no convincing arguments to justify their use as a prioritization factor

There is extensive literature on the personal characteristics in relation to prioritization in health, but the vast majority of studies did not provide estimates of equity weights. If an attempt at an overall assessment of the results reported by different studies is made, it is found that the factors that have most clearly aroused people’s willingness to prioritize are based on: the existence of people who depend on

the patient (children and / or elderly), responsibility (lifestyle) and social class. However, this support is always relative and sensitive to the possible loss of efficiency that may occur. The results show a tendency to prioritize in favour of patients with dependent children and other dependents, non-smokers compared to smokers, those affected by negligence of the health system, and against those who have led an irresponsible lifestyle (although this is controversial). Regarding socioeconomic status or social class, there is empirical evidence suggesting that this is a factor that may be important for the people, who value the same life expectancy gain much more highly in the lowest social class than in the highest social class, as well as the same reduction in the rate of prevalence of diseases of long duration.

CONCLUSIONS

There is extensive literature that questions the algorithm that underlies the standard cost-effectiveness analysis that measures the benefits in QALYs, both theoretically and empirically. Although there is no unequivocal evidence for most of the characteristics studied, as the results of the studies are sometimes contradictory and highly variable when trying to calculate thresholds for some of the attributes, citizens seem to show a clear trend to consider factors related to patient characteristics when prioritization exercises are undertaken.

The review allowed the identification of the characteristics that have been studied, with the following main results.

Severity is considered one of the most important factors to be taken into account in making healthcare decisions. The existence of a “threshold” or minimum level, is noted at which severity is important and which may be at 30% of normal health.

The benefits of treatment are generally considered to be of high importance, second only to severity. The available evidence suggests that society tends to give at least equal priority to those with the least potential for improvement who can be cured completely. However, although studies show that the health status that the patient reaches after the treatment is not an irrelevant factor, there is less support for the prioritization of patients with less potential for improvement.

Regarding the arguments related to the immediacy of death, the evidence on the “rule of rescue” shows that institutions that have suggested its use, reject its literal wording. As for the availability of alternative treatment, evidence is controversial, being a little explored factor. The rarity of the disease is not important, the limited evidence suggests that people are not willing to pay more for drugs for rare

diseases than they would be willing to pay for treatments for common diseases.

The evidence regarding age shows that there is limited support for its use as a rationing criterion. There is a favourable trend to attribute more weight to the young rather than the elderly, although there are results suggesting that the relationship between age and social value is not monotonically decreasing, but that there may be points of inflection typical of nonlinear relationships between both variables. Recent studies suggest a weighting function based on age in the form of a “crest” so that the weighting increases with age to reach a peak around age 20, from which point it descends.

Empirical evidence shows patterns of concentration / dispersion that suggest that the population may favour the dissemination of additional gains over a larger number of people, provided that the size of the gain is large enough. Experiments have estimated different thresholds, with 2.6 years being obtained with the latest study.

Regarding the direction of change in health, evidence is scarce and ambiguous. The most recent studies seem to show a significantly higher preference for curative programmes than for preventive treatments.

The evidence regarding the cost of the intervention shows that there is a refusal to follow a strict distribution rule based on minimization of the cost per unit of health gained.

With regard to the personal characteristics of beneficiaries associated with the “self” of the person, such as sex or race, there seem to be no convincing arguments to justify their use as a prioritization factor. The factors that have most clearly aroused people’s willingness to prioritize are based on: the existence of people who depend on the patient (children and / or elderly), responsibility (lifestyle) and social class. However, this support is always relative and sensitive to the possible loss of efficiency that may occur. The results show a tendency to prioritize in favour of patients with dependent children and other dependents, non-smokers compared to smokers, those affected by negligence of the health system, and against those who have led an irresponsible lifestyle (although this is controversial). Regarding socioeconomic status or social class, there is empirical evidence suggesting that this is a factor that may be important for the people, who value the same life expectancy gain much more highly in the lowest social class than in the highest social class, as well as the same reduction in the rate of prevalence of diseases of long duration.

In summary, the evidence shows that citizens are willing to relinquish the maximization of health gains for society in order to benefit certain population groups, depending on the characteristics or attributes studied in

this work. Further studies are needed to quantify the preferences, so that the “equity weights” can be established and a social wellbeing function be constructed that is useful for health policy makers.

Introducción

La necesidad de establecer prioridades o criterios de racionamiento para asignar los recursos sanitarios proviene del hecho de que tales recursos, como sucede con el resto de bienes, son finitos. Dada una determinada restricción presupuestaria, el análisis coste-efectividad estándar permite asignar los recursos sanitarios disponibles de forma que se maximicen las ganancias esperadas de salud de la sociedad derivadas de las intervenciones sanitarias. Para calcular el beneficio agregado que produce cada intervención (frente a un comparador determinado como, por ejemplo, la ausencia de tratamiento) simplemente se precisa sumar las ganancias individuales de salud que genera, de forma que la intervención más beneficiosa será aquella que produce la mayor ganancia agregada dados unos recursos, esto es, la más eficiente. Este algoritmo asignativo que subyace al análisis coste-efectividad convencional ha recibido el nombre de regla “*sum-ranking*” (Maestad y Norheim, 2009), o más específicamente “*QALY maximisation*” (Dolan *et al.*, 2005) cuando las unidades en que se expresa el beneficio son Años de Vida Ajustados por Calidad (AVAC). Tres importantes implicaciones de esta regla son que:

1. Se asume que la única característica relevante para determinar el valor que la sociedad confiere a las diferentes intervenciones sanitarias es el tamaño de la ganancia que dichas intervenciones proporcionan. Esto es, como argumentan Tsuchiya y Dolan (2009), que la única información relevante para juzgar la eficiencia de los programas sanitarios son las ganancias esperadas.
2. Lo anterior conduce a que todos los pacientes sean tratados como “sustitutivos” perfectos, en el sentido de que todas las ganancias de salud, con independencia de cualesquiera que sean las características de los beneficiarios (como su gravedad o edad, por ejemplo), reciben el mismo peso dentro de la función objetivo. Por esta razón, se ha descrito la regla de maximización no ponderada de AVAC como “AVAC igualitarismo” (Culyer, 1992) o, más ocurrentemente, como que “un AVAC es un AVAC es un AVAC” (Weinstein, 1988).
3. Puesto que el peso que recibe un AVAC adicional para los pacientes con una menor capacidad para beneficiarse del tratamiento (con un menor potencial de mejora) es el mismo que el de los pacientes

dotados con un mayor potencial, *ceteris paribus*, se favorece a los segundos respecto de los primeros, puesto que la magnitud de su ganancia, para un tratamiento dado, será mayor. En otras palabras, la regla de maximización no ponderada de AVAC implica que el valor de una intervención es proporcional al potencial de mejora (Nord *et al.*, 2009). De esto se sigue que intervenciones indicadas para pacientes con unas posibilidades de mejoría limitadas (por ejemplo, discapacitados) podrían ser desplazadas a favor de aquellas otras indicadas para pacientes que pueden recuperar la salud normal tras recibir tratamiento.

Por todo ello, se han postulado argumentos teóricos de variada naturaleza que desafían el igualitarismo implícito en la regla de maximización no ponderada del AVAC. Igualmente, se han realizado diversos estudios empíricos que han permitido examinar en qué medida la población encuestada está dispuesta a sacrificar ganancias agregadas de salud a cambio de priorizar la atención dispensada a aquellos individuos que más necesitan la asistencia sanitaria, definiendo dicha necesidad en términos muy diferentes (como la gravedad, el potencial de mejora, la edad, el estilo de vida, la clase social, etc.). La identificación de aquellos factores o características que pueden inducir que las ganancias de salud de determinados grupos de pacientes reciban un mayor valor social en relación a las obtenidas por otros grupos, pueden constituir la base para la estimación ulterior de lo que se puede denominar “pesos de equidad” (Culyer, 1989; Williams, 1997), que ponderen de forma asimétrica los beneficios de unos y otros. Se mantendría así la regla de maximización de los AVAC, sólo que ponderada. Hoy en día existen varios estudios que proporcionan estimaciones de estos pesos de equidad (Bleichrodt *et al.*, 2005; Donaldson *et al.*, 2008; Dolan *et al.*, 2008; Edlin *et al.*, 2009; Dolan y Tsuchiya, 2010).

El presente estudio pretende contribuir a un mejor conocimiento de los posibles atributos que pueden servir para la estimación de pesos de equidad o valores sociales relativos de las ganancias de AVAC. En términos más generales, el estudio también podría servir como base para orientar la definición de posibles criterios de priorización en la provisión de asistencia sanitaria.

Objetivo

Identificar los atributos potencialmente útiles para la estimación de pesos de equidad o valores sociales relativos de las ganancias de AVAC.

Material y Métodos

Se ha efectuado una revisión de la literatura con la finalidad de determinar la existencia de estudios que analicen la conveniencia de establecer pesos diferentes para los AVAC en función de la edad y gravedad de los pacientes u otras posibles características. La búsqueda se realizó en las bases de datos habituales de referencias en economía de salud, completándose con una búsqueda manual.

El proceso de revisión de la literatura comenzó con la búsqueda de trabajos que hubiesen tratado de abordar de manera amplia la evidencia empírica y teórica existente respecto al valor social relativo de las ganancias de salud según determinadas características.

A continuación, tomando como referencia la fecha de la revisión más amplia y exhaustiva de las publicadas, se procedió realizar una búsqueda de nueva evidencia publicada a lo largo del período 2005-2010, restringida al idioma inglés. El procedimiento escogido para realizar tal búsqueda fue partir de dicha revisión y sondear qué publicaciones lo citaban empleando Google Scholar, seleccionándose aquellas que, o bien ofrecían una reflexión teórica de entidad, o constituían una nueva aportación empírica. A su vez, se consultó por medio del mismo buscador qué nuevas publicaciones citaban a las seleccionadas, repitiéndose la operación hasta que se juzgó que ya no aparecían nuevas aportaciones de interés.

Potenciales características relevantes

La revisión de la literatura permitió identificar dos tipos de estudios, aquellos que contemplan de forma global los factores o atributos que pueden servir para ponderar las ganancias en salud de unas personas o grupos sobre otras, que se pueden denominar como “referencias centrales”; y aquellos trabajos que se centran en el análisis específico de alguno de estos factores.

Referencias centrales

El proceso de revisión de la literatura ha permitido identificar cinco revisiones (Sassi *et al.*, 2001; Schwappach, 2002a; Dolan y Shaw, 2003; Dolan *et al.*, 2005; Dolan y Tsuchiya, 2006) que han tratado de abordar de manera amplia el repaso a la evidencia empírica y teórica concerniente al valor social relativo de las ganancias de salud. De estos cinco trabajos, el primero, antes que intentar concretar con cierta exhaustividad aquellos factores o características que pueden servir como base para ponderar las ganancias de salud de unos individuos o grupos frente a otros, se centra primordialmente en investigar si las evaluaciones económicas publicadas abordan los problemas distributivos. Las otras cuatro revisiones, en cambio, intentan identificar y agrupar —siguiendo criterios distintos— dichos factores, razón por la cual han constituido el punto de partida de la revisión, considerándose como las referencias centrales. Este abanico inicial de potenciales características se ve complementado con los resultados obtenidos de la búsqueda posterior.

Schwappach (2002a) clasifica las potenciales fuentes de valor social del AVAC en dos categorías: factores relacionados con las características de los pacientes, y factores relacionados con los efectos que producen las intervenciones sanitarias sobre la salud de los pacientes. En la primera categoría incluye cuatro características individuales:

1. La edad.
2. El rol social (por ejemplo, activo/jubilado).
3. El estilo de vida o la responsabilidad individual en relación a la propia salud (por ejemplo, fumador/no fumador).
4. El consumo previo de asistencia sanitaria.

En cuanto a los factores relacionados con el efecto que provoca la asistencia sanitaria sobre la salud del paciente, este autor distingue entre:

1. El punto de partida o nivel inicial de salud previo a recibir tratamiento.
2. El punto final o nivel de salud tras recibir tratamiento.
3. El cambio en la salud o distancia entre el nivel inicial y el nivel final.
4. La duración del efecto en términos de años de vida.
5. La dirección del efecto en la salud, esto es, si la intervención es curativa (pretende mejorar la salud) o preventiva (pretende prevenir un deterioro futuro en la salud).

Dolan y Shaw (2003) intentan inventariar los factores que podrían ser relevantes para establecer prioridades al asignar los recursos sanitarios (como, por ejemplo, decidir a qué paciente atender en primer lugar). En total, identifican siete elementos que podrían tenerse en cuenta al priorizar en el entorno sanitario:

1. La ganancia de salud derivada del tratamiento.
2. El perfil esperado de salud de no recibir tratamiento.
3. El perfil de salud previo a recibir el tratamiento.
4. Las elecciones sobre el estilo de vida.
5. El impacto que tiene la enfermedad sobre otros (por ejemplo, que haya personas que dependan del paciente).
6. El derecho a recibir atención de modo prioritario como compensación por privaciones previas o como recompensa por su contribución previa a la sociedad.
7. El tiempo de espera hasta recibir tratamiento.

Dolan *et al.* (2005) presentan la revisión más exhaustiva y amplia de las cuatro consideradas. Estos autores parten de considerar la propiedad de linealidad que posee el valor social derivado de la regla de maximización del AVAC: (a) linealidad en las ganancias esperadas de calidad de vida; (b) linealidad en las ganancias esperadas de tiempo de vida; y (c) linealidad en el número esperado de personas que disfruta de un estado de salud determinado en un momento concreto del tiempo. A partir de aquí, los autores buscan evidencia sobre los factores que pueden conducir a que los individuos muestren preferencias que se aparten de la asunción de linealidad descrita, para lo que formulan las siguientes cinco cuestiones, que agrupan dichos factores:

1. ¿Es el valor social una función lineal de los cambios en la cantidad y calidad de vida?
 - La gravedad del estado de salud previo al tratamiento.
 - El potencial de mejora o capacidad para beneficiarse del tratamiento.
2. ¿Es el valor social independiente de la edad del receptor?
 - La edad o momento del tiempo en que se produce la enfermedad dentro del perfil vital del individuo.
3. ¿Es el valor social independiente de otras características?
 - Factores relacionados con las causas por las que se recibe el tratamiento (por ejemplo, la responsabilidad individual por encontrarse enfermo).
 - Las consecuencias no estrictamente relacionadas con la salud derivadas del tratamiento (por ejemplo, existencia de dependientes a su cargo).
4. ¿Se ve afectado el valor social por las desigualdades en salud?
 - Diferencias en salud a lo largo del tiempo de vida entre grupos (por ejemplo, menor esperanza de vida asociada a la clase social).
5. ¿Es el valor social independiente de cómo se distribuye una ganancia dada de salud?
 - Concentración o dispersión de los beneficios sanitarios.

Dolan y Tsuchiya (2006) presentan evidencia que agrupan en tres categorías y que identifica atributos o características que podrían ser relevantes para establecer pesos de equidad:

1. Atributos para los que es esperable que la salud de los pacientes varíe dependiendo de la característica en cuestión.
 - La gravedad del estado de salud previo al tratamiento.
 - La urgencia (o amenaza vital) de la condición clínica previa al tratamiento.
 - La clase social del paciente.
 - El sexo.
 - La edad.
2. Atributos para los que no es esperable que varíe el estado de salud.
 - Responsabilidad individual de la enfermedad.
 - Utilización previa de la asistencia sanitaria.
 - El paciente tiene personas a su cargo (dependientes).
3. Distribución de un beneficio de salud dado.
 - Número de pacientes que comparten un beneficio (concentración/dispersión de las ganancias de salud).

Referencias no centrales

Una vez localizadas las revisiones descritas en el apartado anterior, se realizó una búsqueda de nueva evidencia publicada a lo largo del período 2005-2010 partiendo del trabajo de Dolan *et al.* (2005), que constituye la revisión más amplia y exhaustiva de las citadas, sondeando qué publicaciones lo citaban. De las 74 citas identificadas empleando Google Scholar, se seleccionaron aquellas que, bien ofrecían una reflexión teórica de entidad, bien constituían una nueva aportación empírica. A su vez, se consultó por medio del mismo buscador qué nuevas publicaciones citaban a las seleccionadas, repitiéndose la operación hasta que se juzgó que ya no aparecían nuevas aportaciones de interés.

Este proceso condujo a identificar nuevas revisiones, pero de carácter específico, esto es, centradas en alguno de los factores que pueden determinar el valor social de la salud. En concreto, se hallaron estudios que revisaban la evidencia disponible sobre la importancia de la gravedad como criterio de priorización (Shah, 2009), la diferencia entre intervenciones curativas versus preventivas (Schwappach, 2007), el estatus de los medicamentos para tratar enfermedades “raras” (Hughes *et al.*, 2005) y la utilización de experimentos de elección discreta para obtener preferencias sobre el valor social de la salud (Green y Gerard, 2009). Se halló asimismo una revisión de la literatura teórica (Edlin *et al.*, 2008) en relación a la utilización de la edad como posible criterio para discriminar en el ámbito del análisis coste-efectividad. Asimismo, otro artículo teórico (Richardson y McKie, 2007) incorporaba también una síntesis interesante de la evidencia empírica relacionada con la mayor parte de los factores que hemos examinado antes.

Aparte de estas revisiones, y de algunos otros artículos teóricos interesantes, se localizaron 23 estudios empíricos nuevos publicados a partir de 2005 (24 si se considera el artículo de Green y Gerard de 2009, que también contiene una aplicación práctica).

Tomando en consideración toda la bibliografía consultada, puede ofrecerse la siguiente síntesis de las potenciales características que la población podría desear tener en cuenta para determinar el valor social relativo de las ganancias de salud de diferentes beneficiarios:

1. La gravedad (como un factor con entidad en sí mismo, con independencia de consideraciones sociales más amplias).
2. El potencial de mejora o capacidad para beneficiarse de una intervención.

3. Argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte:
 - La “Regla del Rescate”
 - La disponibilidad de tratamiento alternativo.
 - La “rareza” de la enfermedad.
4. La edad.
5. La concentración/dispersión de los beneficios de salud.
6. La dirección en el cambio de la salud (mejora de la salud/evitación de su deterioro).
7. El coste de la intervención (como un factor con importancia en sí mismo con independencia del beneficio que proporcione la intervención).
8. Las características personales de los beneficiarios (incluyendo aquí una amplia variedad de posibles factores).

Los determinantes del valor social de las intervenciones sanitarias

En este apartado se discute la evidencia relativa a las potenciales características que la población podría desear tener en cuenta para determinar el valor social relativo de las ganancias de salud de diferentes beneficiarios. Para cada una de ellas se presentan las bases conceptuales y fundamentos teóricos y la evidencia empírica, tanto cualitativa como cuantitativa.

1. La gravedad

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

Como argumenta Schwappach (2002a), la gravedad no recibe un estatus especial en la regla de maximización no ponderada del AVAC, de modo que a lo sumo tiene un impacto secundario sobre la ordenación final de tecnologías sanitarias, y sólo en la medida de que la mayor ganancia corresponda al más grave. Por esta razón, la ganancia esperada de AVAC podría infraestimar sustancialmente el valor social de la asistencia sanitaria dirigida a aquellos pacientes en peores condiciones. Como ha señalado Hadorn (1991), esto podría explicar en parte el fracaso de la experiencia de Oregón, en la que, por poner un ejemplo, las fundas dentales fueron priorizadas por delante de la cirugía para embarazos ectópicos.

Schwappach (2002a) define la gravedad como el “punto de partida” o estado de salud inicial del paciente antes de recibir tratamiento; concepto compartido por la mayor parte de los estudios empíricos que han investigado sobre las preferencias sociales respecto de la utilización de este factor como criterio de priorización (véase Shah, 2009). Sin embargo Nord (2005), al describir lo que denomina “enfoque de gravedad” (antes designado por Nord *et al.* (1999) como “argumento de gravedad”), precisa con claridad que por gravedad no sólo debe entenderse la gravedad en el momento de la intervención (el aquí y ahora), sino también el pronóstico o gravedad esperada (incluyendo aquí la muerte) de no producirse la intervención. Es decir, tal y como señalan Dolan y Olsen (2001), cualquier criterio que dé

prioridad a los enfermos más graves utiliza como información determinante el perfil de salud futuro de los pacientes si no reciben tratamiento (el número esperado de AVAC sin asistencia sanitaria, si ésta es la métrica utilizada para describir la salud). El análisis coste-efectividad, por el contrario, aunque también emplea información sobre la salud prospectiva de los pacientes, se ciñe exclusivamente al perfil esperado de salud tras recibir tratamiento. Introducir esta precisión temporal facilitará posteriormente la diferenciación del enfoque de la gravedad de otros argumentos de equidad (por ejemplo, el enfoque de los *fair-innings* o derecho a una parte alícuota de bienestar equitativa) que requieren información retrospectiva adicional sobre la salud de los pacientes.

La hipótesis básica del enfoque de la gravedad (Nord, 2005: p. 258) es que el valor social de una ganancia de salud de un tamaño dado es mayor cuanto mayor es la gravedad del paciente. Esto es, dados dos individuos A y B, poseedores ambos del mismo potencial de mejora, pero partiendo de condiciones iniciales de gravedad diferentes (A está más grave que B), el enfoque o argumento de gravedad sugiere que la misma ganancia de salud será valorada más intensamente por la sociedad si dicha ganancia es recibida por A que por B. De esto se sigue que, en presencia de escasez de recursos, el paciente A debería recibir prioridad respecto del paciente B.

Los principios éticos y de justicia distributiva que sustentan el enfoque de la gravedad son, al menos, tres:

- El principio de otorgar prioridad a quien está peor.
- El principio igualitarista.
- El principio de asignación de acuerdo a las necesidades.

El primer principio se acomoda dentro de una noción ética general conocida como “prioritarismo”¹ (*prioritarianism* en inglés) (Parfit, 1991; Brooks, 2002), así como en teorías de justicia ampliamente conocidas (Rawls, 1971). Sobre estas bases, varios autores (Broome, 1991; Nord, 1999; Richardson *et al.*, 2007) señalan a la gravedad, de suyo, como un determinante independiente del valor social de los programas sanitarios, de forma que serían los pacientes más graves aquellos que estarían “peor” en el ámbito específico de la salud. Como apunta Green (2009), esta forma de entender la gravedad como un factor de valor intrínseco, presume que la condición inicial/pronóstico sin tratamiento del paciente refleja alguna forma de desigualdad natural relacionada con la salud.

¹El prioritarismo no considera que la existencia de desigualdad sea algo negativo, asumiendo que los intereses de los individuos que cuentan más deben ser más importantes. Las diferencias con el igualitarismo son únicamente de tipo teórico, de su explicación de las razones para buscar una situación más igualitaria. Por este motivo, a menudo se llama también igualitarias a las posiciones prioritaristas.

El argumento igualitarista reclama que la equidad consiste en la distribución igualitaria de la entidad a ser repartida (Elster, 1992; Le Grand, 1996). Esta perspectiva se corresponde en el ámbito de la política sanitaria con el objetivo de distribuir la salud. De nuevo aquí, la perspectiva temporal resulta relevante. Culyer y Wagstaff (1993) discuten varios conceptos de equidad, concluyendo que el principio dominante es la “igualdad en la salud”. Una interpretación de este principio es que el *distribuendum* (la entidad a repartir) es la salud total de los individuos a lo largo de toda su vida (su *stock*), comprendiendo, por tanto, no sólo las ganancias esperadas de salud en un punto determinado del tiempo, sino también la salud experimentada en el pasado. Esto es lo que Tsuchiya y Dolan (2009) denominan equidad en términos de resultados de salud. Sin embargo, si se asume que las pérdidas de salud pasadas son un “coste hundido”² (Nord, 2005), entonces uno de los objetivos de la política sanitaria podría ser reducir las desigualdades de salud futuras, lo que implicaría que las ganancias de AVAC deberían distribuirse inicialmente a favor de quienes tengan los peores pronósticos de no ser tratados (Dolan y Olsen, 2002).

El concepto de equidad como asignación según la “necesidad” ha sido ampliamente discutido en la literatura teórica (Wagstaff, 1991; Culyer y Wagstaff, 1993). Pese a que existen muchas acepciones posibles (por ejemplo, necesidad como asistencia sanitaria a la que una persona tiene derecho), la necesidad entendida como gravedad es la más usual (Sassi *et al.*, 2001). En contraste, el concepto de necesidad que define por defecto la regla de maximización de los AVAC es la necesidad como “capacidad para beneficiarse” (Culyer, 1997). Por tanto, el *trade-off* —conflicto o disyuntiva en español— entre eficiencia y equidad en la asignación de los recursos sanitarios puede describirse como la disyuntiva entre estos dos conceptos contrapuestos de necesidad: “necesidad como gravedad” *versus* “necesidad como capacidad de beneficio”.

Por último, antes de pasar a sintetizar la evidencia empírica más relevante en relación a la gravedad, hay que reparar en la confusión conceptual que con frecuencia se produce entre la idea de priorizar atendiendo a la gravedad y otros dos criterios, a nuestro juicio, completamente diferentes. Dichos criterios serían la denominada “Regla del Rescate” y la priorización basada en la “rareza” de la enfermedad. Más adelante se discuten estos dos criterios, explicando en detalle el porqué responden a conceptos diferentes al enfoque de la gravedad. Baste ahora decir que uno y otro criterio confieren prioridad a unos tratamientos en vez de a otros sobre la base de dos características

²Coste hundido es aquel en el que ya se ha incurrido, por lo que no es relevante para la toma de decisiones.

individuales (“individuos identificables en peligro inminente”, la Regla del Rescate, e “individuos afectados por enfermedades de baja prevalencia”, el argumento de rareza) que no reciben un valor especial en el argumento de gravedad. De hecho, las recomendaciones basadas en el enfoque de la gravedad y las derivadas de los otros dos enfoques pueden entrar en contradicción, como ha sido puesto de manifiesto (Cookson *et al.*, 2008). El argumento de gravedad justifica que, dada una ganancia de igual magnitud, pese más para los enfermos al borde de la muerte que para otros experimentando una enfermedad no mortal, pero no porque los primeros sean pacientes “identificables” o porque posean enfermedades “raras”, sino simplemente porque su gravedad es mayor.

Evidencia empírica

La gravedad es, sin duda, junto a la edad, el factor más ampliamente estudiado en la literatura especializada. La mayor parte de los estudios han investigado si los entrevistados pueden estar dispuestos a sacrificar ganancias agregadas de salud a cambio de mejorar la salud de los pacientes más graves. Algunos de estos estudios (Nord, 1993a; Dolan, 1998; Nord, 1999; Dolan *et al.*, 2008; Donaldson *et al.*, 2008; Edlin *et al.*, 2009) han estimado directamente, o permiten obtener a partir de sus resultados, una cuantificación del *trade-off* entre eficiencia y gravedad.

La tipología de los estudios abordados es amplia. Se encuentran por un lado estudios de corte cualitativo (Abelson *et al.*, 1995; Ryyänen *et al.*, 1999; Dolan y Cookson, 2000; Dolan y Shaw, 2003; Dolan *et al.*, 2008; Donaldson *et al.*, 2008; Teerawattananon y Russell, 2008), basados primordialmente en la utilización de grupos focales/nominales en los que se delibera de manera abierta/semiestructurada sobre la importancia relativa de diferentes criterios de priorización (incluyendo la gravedad entre ellos), obteniéndose en ocasiones ordenaciones estrictas de los mismos (Donaldson *et al.*, 2008), o incluso, en algún caso (Dolan y Shaw, 2003), los encuestados asignan directamente pesos relativos a cada uno de los factores objeto de discusión. Las muestras suelen ser reducidas, incluyendo en ocasiones a *policy-makers* (decisores) del sistema sanitario (por ejemplo, Abelson *et al.*, 1995). En algunos países, instituciones públicas encargadas de establecer las prioridades sanitarias (NCPH, 1987; SPPC, 1995; NICE, 2008a, 2008b) han realizado también ejercicios similares con expertos, pacientes, ciudadanos y miembros del sistema sanitario.

En el ámbito de los estudios cuantitativos, atendiendo a la metodología utilizada, se pueden diferenciar dos grandes categorías:

- Estudios basados en elecciones u ordenaciones.
- Estudios basados en *trade-offs*.

Dentro de la primera clase, puede distinguirse fundamentalmente entre aquellos estudios que utilizan experimentos de elección discreta con varios atributos (entre ellos la gravedad) y niveles (Roberts *et al.*, 1999; Bryan *et al.*, 2002; Schwappach, 2003; Gyrd-Hansen, 2004; Baltussen *et al.*, 2006; Schwappach y Strasmann, 2006; Norman y Gallego, 2008; Green y Gerard, 2009), y aquellos otros que simulan ejercicios de priorización donde hay que elegir a qué programa o tratamiento se destina el presupuesto, diferenciándose la población diana de cada uno de los programas en el estado de salud inicial y el potencial de mejora (Nord, 1993a; Ubel *et al.*, 1996a; Ubel, 1999; Oddsson, 2003; Green, 2009). Hay otro tipo de aproximaciones basadas en elecciones y ordenaciones, aunque marginales en comparación al número de estudios que han empleado los métodos anteriores, que también han permitido obtener preferencias por la gravedad (Dolan y Tsuchiya, 2005; Dolan *et al.*, 2008; Edlin *et al.*, 2009).

Los estudios basados en *trade-offs*, si bien también emplean comparaciones o elecciones para obtener preferencias, se caracterizan porque dichas elecciones se plantean de modo iterativo, manteniendo constante una de las dos alternativas comparadas, mientras que se varía alguno de los atributos de la otra hasta que el encuestado se declara indiferente entre ambas. Plantean, por tanto, una serie de disyuntivas o *trade-offs* que permiten emparejar las dos opciones en términos de preferencias. Dentro de esta categoría, el método más utilizado ha sido el denominado *person trade-off* (PTO), de forma que se valora la ganancia de salud de un grupo dado de personas contra una ganancia de igual o menor magnitud de un grupo de N personas, siendo el estado de salud de partida del primer grupo peor que el del segundo grupo (Nord, 1991; Nord, 1993b; Nord *et al.*, 1993; Nord, 1995; Ubel *et al.*, 1996; Pinto, 1997; Dolan y Green, 1999; Richardson *et al.*, 2011). La idea que subyace al PTO de compensar diferencias en salud variando el tamaño de uno de los grupos es empleada por Donaldson *et al.* (2008) en la comparación de alternativas que se diferencian no sólo en el estado de salud inicial, sino también en la edad. Otro tipo de *trade-off* utilizado para medir preferencias por la gravedad ha sido el que podría denominarse *gain trade-off* (Maestad y Norheim, 2009), comparándose en este caso la ganancia de salud de una persona que parte de un estado de salud peor

con la ganancia de salud de otra persona, con un mejor nivel de salud inicial (Dolan, 1998). Se varía el tamaño de la ganancia de salud de una de las dos personas, hasta que resultan indiferentes.

Casi todos los estudios piden al encuestado que adopte la perspectiva del planificador sanitario o del ciudadano (en cualquiera de los dos casos, de alguien que elige sin verse afectado por las consecuencias de su elección). También, con muy raras excepciones, casi todos los estudios definen la gravedad en términos de calidad de vida, y no siempre controlando por la duración del efecto (esto es, precisando qué impacto tienen los tratamientos sobre la cantidad de vida). En algunos casos se interpreta la gravedad como “proximidad a la muerte” (Dolan y Tsuchiya, 2005). En algún otro, podría interpretarse la gravedad como la esperanza de vida sin tratamiento (Norman y Gallego, 2008), ya que los autores controlaron por la edad de los pacientes.

¿Qué concluyen los estudios?

Estudios cualitativos

La Comisión Noruega para la Priorización de la Asistencia Sanitaria, atendiendo a las deliberaciones de un panel de expertos, concluyó que la gravedad debía tener una importancia primordial para priorizar entre pacientes, considerándose conjuntamente con la efectividad de los tratamientos (NCPH, 1987). En esta línea, la Agencia Noruega de Control de las Medicinas recomienda aplicar como análisis complementario en las evaluaciones económicas para informar las decisiones de reembolso la idea propuesta por Nord (1996), consistente en aplicar una función de transformación a las utilidades de los estados de salud, de tal modo que sean transformadas en valores que dan un mayor peso a las ganancias que tienen lugar en el extremo inferior de la escala de calidad de vida.

Por su parte, el *National Institute for Clinical Excellence* (NICE) británico ha publicado recientemente dos informes con las resoluciones del *Citizens Council*, órgano consultivo del NICE compuesto por 30 ciudadanos del Reino Unido, sobre los AVAC y la gravedad de la enfermedad (NICE, 2008a, 2008b), así como sobre las circunstancias en las que el NICE debería ignorar el rango de umbrales que usualmente maneja (20.000-30.000 libras por AVAC). En cuanto al rol de la gravedad en la maximización de los AVAC, el *Citizens Council* recomendó por una amplia mayoría que el NICE debería tener en cuenta la gravedad en sí misma como un criterio para realizar sus recomendaciones. Concluyen

asimismo que, en vez de incorporar la preocupación por la gravedad en el cálculo de los AVAC, ésta debería tenerse en cuenta conjuntamente con la evidencia sobre coste y efectividad de los tratamientos. En el segundo informe, la mayoría de los miembros del *Council* consideraron que había circunstancias o características que podían justificar que el NICE se apartase de los umbrales habitualmente considerados. Atendiendo al número de votos recibidos, la más importante fue que “el tratamiento considerado salve vidas”, seguido porque “la enfermedad a tratar sea resultado de una negligencia del sistema nacional de salud” y que “la intervención prevenga un mayor daño en el futuro.” A muy pocos votos de diferencia se incluyó que la enfermedad en cuestión fuese “extremadamente grave”, a cierta distancia de otras consideraciones como, por ejemplo, que el “tratamiento prolongue la vida”.

En cuanto a la evidencia aportada por los estudios académicos, en todos los casos la gravedad se considera como uno de los factores más importantes a considerar. Por ejemplo, una muestra (N=280) compuesta por ciudadanos y funcionarios del sistema sanitario y los servicios sociales canadienses situó en el estudio de Abelson *et al.* (1995) la “necesidad” como la información más importante para la toma de decisiones del sistema sanitario, por delante de los “beneficios” de los tratamientos y sus “costes”.

Dolan y Shaw (2003) pidieron a dos muestras de pequeño tamaño (52 participantes entre las dos), una de población general y otra integrada por estudiantes, que ordenaran siete características, asignándole a cada una de ellas, además, un peso porcentual (de modo que los siete pesos sumasen 100%). El resultado obtenido de estos dos ejercicios claramente sugirió que, con diferencia, los dos factores considerados más importantes por los participantes en el estudio (un 79% de ellos situó uno de los dos en primer lugar de la ordenación) fueron los beneficios esperados del tratamiento y las consecuencias para la salud de no recibir tratamiento.

Los dos proyectos de investigación comisionados por el NICE para estimar el valor social de las ganancias de salud (Dolan *et al.*, 2008; Donaldson *et al.*, 2008) realizaron grupos focales de forma preliminar para identificar cuáles eran los atributos de valor social más importantes. En ambos casos, la calidad de vida previa al tratamiento fue uno de los factores más importantes, ocupando el primer lugar en la ordenación obtenida por Donaldson *et al.* (2008).

No obstante la clara importancia relativa que atribuye la población a la gravedad, algunos estudios cualitativos apuntan la existencia de un “umbral” o nivel mínimo a partir del cual la gravedad es relevante. Así, Dolan y Cookson (2000) sugieren que la gente frecuentemente evalúa

las ganancias de salud en términos del nivel final que se puede alcanzar, y no como mejoras relativas. Esto sugiere que puede ser necesario que la ganancia otorgada a los pacientes más graves rebase un cierto nivel como para que la población esté dispuesta a sacrificar ganancias agregadas de salud. Por su parte, Dolan *et al.* (2008), expresando el estado de salud en términos porcentuales respecto a la salud normal (100%), comprobaron que para la mayoría de la gente un nivel del 30% identificaba una situación de salud claramente diferente de un estado del 70%. Ese 30% representaría, al menos en el contexto del estudio de Dolan *et al.*, el umbral mínimo para definir un estado de salud como claramente grave.

Estudios cuantitativos

La mayoría de los estudios ha encontrado resultados consistentes con la hipótesis de gravedad descrita anteriormente (véase Shah, 2009), no obstante, no todos la respaldan con igual intensidad, e incluso en unas pocas ocasiones hay estudios que han encontrado que la gravedad no resulta un factor significativo. Por ejemplo, Gyrð-Hansen (2004), en un experimento de elección discreta en que utiliza el sistema EQ-5D³ para describir la calidad de vida, encuentra que la gravedad inicial sólo es significativa cuando se manifiesta en las dimensiones dolor/molestias y ansiedad/depresión. Este hallazgo conduce a la autora a afirmar que el argumento de gravedad puede no estar ligado a los AVAC en general, sino a ciertas dimensiones de salud en particular. Green y Gerard (2009) en otro experimento de elección discreta, consideran cuatro atributos (mejora de la salud, coste-efectividad, gravedad del estado de salud y disponibilidad de otros tratamientos), hallando que el atributo que mayor importancia relativa tiene como determinante del valor social que proporciona una tecnología sanitaria es la mejora de salud, seguido por el nivel de coste-efectividad, apareciendo la gravedad en tercer lugar. Donaldson *et al.* (2008) estiman pesos de gravedad de dos formas, mediante un experimento de elección discreta y mediante PTO. En el primer caso, el rango de pesos que estiman es muy estrecho, obteniendo en los análisis de regresión que efectúan que la variable gravedad no es significativa. En el segundo caso, detectan una tendencia general a que los encuestados confieran un mayor peso a aquellos pacientes que están más graves, pero dicha preferencia por la gravedad no es lineal. Por

³El EQ-5D, marca registrada por el EuroQol Group, es un instrumento estandarizado de medida de resultados en salud. Es un instrumento relativamente sencillo con cinco dimensiones y tres niveles de gravedad en cada dimensión. Contempla un total de 243 estados de salud, desde el estado de salud perfecta a la muerte.

ejemplo, de acuerdo a sus datos, se prefiere una mejora del 20% al 40% que del 0% al 20%. Este resultado aparentemente contraintuitivo, se ve corregido y aumentado en el estudio de Dolan y Tuschya (2005), quienes hallaron que sus encuestados otorgaban sistemáticamente prioridad al grupo de pacientes con mejor pronóstico sin tratamiento. Por otra parte, los resultados presentados por Green (2009) suscitan dudas acerca de si la preferencia por la gravedad responde exclusivamente al deseo por beneficiar a quienes tienen peor salud, o responde a una preferencia más amplia de compensar a los grupos que están socialmente peor, es decir, que presentan una mayor desventaja social.

Pese a estos estudios que matizan o contradicen la hipótesis de gravedad, como se señaló al principio son mayoría los que obtienen resultados consistentes con dicha hipótesis. No obstante, como argumenta Shah (2009), dados los diferentes diseños utilizados en los estudios resulta muy difícil intentar derivar una suerte de peso de gravedad “promedio”. Hay, sin embargo, estudios que comparten diseños similares, de modo que puede obtenerse de ellos alguna indicación acerca del peso relativo que recibe la gravedad. Por ejemplo, Nord (1993a), utilizando una escala de gravedad de siete niveles, compara cambios en la salud de aproximadamente la misma magnitud para diferentes puntos de partida. De acuerdo a sus resultados, llevar a un paciente del nivel 6 (más grave) al nivel 4 (menos grave) es equivalente a llevar un paciente del nivel 5 al nivel 1, aunque esta última ganancia es el doble de la anterior. Ubel *et al.* (1998) obtienen resultados semejantes empleando la misma escala de gravedad. Nord (1999, 2001) efectúa un meta-análisis informal de la evidencia obtenida empleando el PTO, en diferentes estudios realizados en Noruega, Estados Unidos, España y Australia, distinguiendo cuatro grandes estados de salud (problema moderado, problema considerable, problema grave y amenaza de muerte) en torno a los cuales ordena los resultados de dichos estudios. De esta forma, Nord estima que el valor social de salvar una persona de la muerte, recuperando la salud normal, es entre 3 y 6 veces el de curar a una persona con problemas graves, 10-15 veces el de curar a alguien con problemas considerables y hasta 50-200 veces el de curar a una persona con problemas moderados partir de este rango de valores, Nord (1999) calcula pesos de gravedad y muestra cómo podrían ser combinados multiplicativamente con las utilidades de esos estados de salud para obtener valores sociales.

2. El potencial de mejora

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

La regla de maximización no ponderada de AVAC reduce a uno los factores relevantes para establecer prioridades: el potencial de mejora de los pacientes. Esto se debe a que las ganancias de salud son tratadas de modo lineal, de modo que, a igual nivel de salud inicial (a igual gravedad), aquellos pacientes con mayor capacidad para beneficiarse (con mayor potencial de mejora) serán los más favorecidos. Así pues, la regla estándar predice que el valor social de las intervenciones es proporcional al potencial de mejora de los pacientes.

Nord *et al.* (2009) apuntan dos consecuencias indeseables del anterior supuesto de proporcionalidad:

- Favorece a los pacientes que poseen las condiciones clínicas más tratables y tienen un mayor potencial de mejora (ya sea en términos de funcionalidad o de longevidad).
- Relacionado con lo anterior, puede discriminar a aquellos pacientes que no pueden recuperar la salud normal, en particular los enfermos crónicos y los discapacitados.

Estas consecuencias desafían un principio ético básico defendido por varios autores en el ámbito sanitario (por ejemplo, Harris, 1987), como es el derecho que asiste a todos los pacientes a que su vida sea preservada, con independencia de su estado de salud, en la medida que deseen vivir. De este derecho no se sigue, sin embargo, que todas las ganancias de salud reciban el mismo valor social, con independencia de su tamaño o del estado de salud posterior a recibir tratamiento. Como subrayan Dolan *et al.* (2005: p. 199), “la sociedad puede estar razonablemente interesada en las diferencias en salud sin tratamiento como también en los beneficios del tratamiento”.

Nord *et al.* (1999) concretan la cláusula de no discriminación contra quienes tienen menor capacidad para beneficiarse del tratamiento, en forma de lo que denominan argumento de “realización del potencial”. Dicho argumento sostiene que todos los pacientes tienen el mismo derecho a realizar su potencial de mejora en la medida que la ganancia de salud sea sustancial y significativa para ellos. Nord *et al.* (2010) especifica que dicho derecho se entiende “dentro de límites razonables”.

Evidencia empírica

Como menciona Shah (2009), la evidencia relativa al argumento de realización del potencial es escasa en comparación a la existente sobre la hipótesis de gravedad. No obstante, existe un pequeño número de trabajos empíricos que han abordado el tema. Como sucedía en el caso de la gravedad, la evidencia disponible es tanto cualitativa como cuantitativa. En este último caso, la metodología dominante ha consistido en comparar las ganancias de salud de dos pacientes o grupos de pacientes, caracterizados por tener un mismo estado de salud inicial, pero diferente potencial de mejora (Nord, 1993c; Abellán y Pinto, 1999). Alternativamente, también se ha utilizado el PTO (Nord, 1995; Ubel *et al.*, 1999), así como experimentos de elección discreta (Green y Gerard, 2009).

¿Qué concluyen los estudios?

Estudios cualitativos

La mayoría de los estudios otorga una gran importancia a los beneficios del tratamiento. En el estudio de Dolan y Shaw (2003) ocupa el segundo lugar en orden de importancia, tras la gravedad. De manera análoga lo sitúan los participantes en el estudio de Abelson *et al.* (1995). Donaldson *et al.* (2008), aplicando una metodología conocida como “metodología Q”⁴, examinan el grado de aceptación/rechazo de una serie de afirmaciones concernientes a tres grandes factores: igualitarismo, beneficios de salud y niños y expertos. El primero de los factores engloba características tales como clase social, estilos de vida o si los participantes tienen dependientes. El tercer factor hace referencia a si debería dársele prioridad a los niños respecto de los adultos, así como si las decisiones de priorización deberían dejarse en manos de expertos. En el segundo caso, los beneficios de la salud, el mayor grado de acuerdo se produjo en torno a aquellas afirmaciones que abundaban en la importancia del tamaño del beneficio.

⁴La metodología Q es un método de investigación utilizado en Psicología y otras ciencias sociales para estudiar la “subjetividad” de las personas, es decir, sus puntos de vista. Busca correlaciones entre temas a través de un conjunto de variables, reduciendo diferentes puntos de vista a una serie de factores clave, que representan formas compartidas de pensar u opinar.

Estudios cuantitativos

La evidencia disponible sugiere que la sociedad tiende a conceder al menos la misma prioridad a quienes gozan de menor potencial de mejora que a quienes pueden curarse por completo (Nord, 1993c, 1995; Nord *et al.*, 1995). Así, por ejemplo, Ubel *et al.* (1999) entrevistan a 250 miembros de la población general, hallando que los entrevistados conceden la misma prioridad a salvar la vida de paraplégicos (que permanecen en esa condición tras ser salvados) que la de los pacientes sin esa condición que recuperan por completo una salud normal. No obstante, como muestran Abellán y Pinto (1999), el estado de salud que alcanza el paciente después del tratamiento no es un factor irrelevante. Utilizando un diseño que se asemeja al utilizado previamente por Nord (1993c), pero empleando un framing (formato o encuadre en español) diferente, estos autores encuentran menor apoyo a la priorización del paciente con menor potencial de mejora de la que había hallado Nord. Este resultado, además de plantear dudas acerca de la robustez de los resultados alcanzados por Nord (1993c), está en línea con la idea de que la población puede cambiar sus preferencias cuando el estado de salud tras el tratamiento no es lo suficientemente bueno (Dolan y Green, 1998). En relación con esto, Roberts *et al.* (1999) encuentran que los participantes en su estudio de elección discreta prestaron poco apoyo a aquellos programas sanitarios que, pese a mejorar la salud, dejaban a los pacientes en estados de salud relativamente malos.

Nord *et al.* (2010) extienden la evidencia previa al ámbito personal. Su planteamiento es que, no ya la regla de maximización de AVAC, sino el procedimiento con que se calcula el valor de las ganancias de salud de cada paciente es erróneo. Su crítica se basa en que el modelo AVAC no mide directamente la utilidad de la ganancia de salud, sino que lo hace de forma indirecta: primero se miden las utilidades ex ante de los estados de salud inicial y final, y luego se calcula la diferencia entre esas dos utilidades. Este “procedimiento de sustracción”, dependiendo de cuál sea el punto de referencia del paciente, y considerando que la utilidad marginal del tiempo de vida es decreciente, puede conducir a una infraestimación del verdadero valor que los pacientes con poca tratabilidad o escaso potencial de mejora confieren realmente a la ganancia que les ofrece el tratamiento. Apoyando esta conjetura teórica, Nord *et al.* presentan cierta evidencia empírica. Así, por ejemplo, plantearon a sus entrevistados dos enfermedades, A y B, que afectaban al mismo número de personas. Esas enfermedades situaban a los pacientes en el nivel 7 (el peor) de la escala de discapacidad de siete niveles descrita en Nord (1993b). Ambas enfermedades podían tratarse con cirugía, con un riesgo de muerte del 5% en los dos casos. En un caso, el tratamiento mejoraba

la salud de los pacientes con la enfermedad A hasta el nivel 2. En el otro, el tratamiento situaba a los pacientes con la enfermedad B en el nivel 5. Nord *et al.* (2010) pidió a sus encuestados que, poniéndose en la situación de los pacientes de ambos grupos, juzgaran la intensidad con que unos y otros desearían recibir el tratamiento. El resultado fue que 55 de los 83 entrevistados consideraron que los pacientes con la enfermedad B, aquellos que ganaban menos con la operación, tendrían el mismo deseo *ex ante* de recibir la cirugía que aquellos pacientes con la enfermedad A, quienes mejoraban mucho más su salud. A juicio de los autores, este resultado sugiere cómo el procedimiento de sustracción de las utilidades puede infravalorar el auténtico valor que para el paciente puede tener una mejora, aun cuando sea reducida, de su salud.

3. Argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte

Se emplazan bajo este epígrafe un conjunto de factores que, aunque se tratan de forma independiente, están todos relacionados con aquellos pacientes que afrontan una esperanza de vida muy limitada —frecuentemente también una reducida calidad de vida— a consecuencia de su enfermedad. Este tipo de situaciones normalmente son las que caracterizan la fase terminal de una enfermedad progresiva.

En concreto, los argumentos que se van a revisar son:

- La Regla del Rescate.
- La disponibilidad de tratamiento alternativo.
- La rareza de la enfermedad.

3.1. La Regla del Rescate.

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

Resulta relativamente frecuente encontrar referencias que parecen encajar la Regla del Rescate como un caso particular de la preferencia por la gravedad (por ejemplo, Dolan y Tsuchiya, 2005). Sin embargo, como han discutido varios autores (Cookson *et al.*, 2008), mientras que la preocupación por el más grave puede fundamentarse en principios generales de justicia distributiva y ser articulada de forma equilibrada con las consideraciones de eficiencia, la regla del rescate responde a una motivación emocional y, por definición, difícil de equilibrar con los argumentos de eficiencia.

Se denomina regla del rescate al imperativo para rescatar a individuos identificables en situaciones de peligro inmediato, con independencia del coste (Jonsen, 1986; Hadorn, 1991; McKie y Richardson, 2003). Habitualmente, el “peligro inminente” representará una situación que implica un riesgo de muerte inmediata, si bien la regla puede aplicarse a otros casos dramáticos en los que no haya riesgo de muerte. Como señalan Richardson y McKie (2005: p. 270), “la regla del rescate está estrechamente relacionada con la preferencia por ayudar a quien está más gravemente enfermo, a excepción de que se aplica a individuos identificables antes que a una categoría entera de individuos anónimos (aquellos que están peor), y el contexto es típicamente dramático e inesperado”. Cookson *et al.* (2008) abundan en la singularidad de la regla del rescate para diferenciarla de la hipótesis de gravedad formulada por Nord *et al.* (1999). La preocupación por individuos identificables en peligro inmediato implica necesariamente que habrá que prestar menos atención a los individuos anónimos que afrontan un peligro futuro. El argumento de gravedad, aducen Cookson *et al.*, por el contrario, se aplicaría en principio a todas las enfermedades graves (no sólo a las que entrañan una amenaza inmediata) y considera vidas “estadísticas”, no “víctimas identificables”. Así, por ejemplo, mientras que el argumento de gravedad no es necesariamente incompatible con dar una alta prioridad a programas preventivos de salud pública diseñados para reducir la prevalencia de enfermedades graves en el futuro, la regla del rescate siempre les concedería una baja prioridad, ya que van dirigidos a una población que está sana en el presente. Asimismo, la regla del rescate daría menos prioridad a los tratamientos dirigidos a pacientes en estadios leves-moderados de una enfermedad degenerativa, mientras que les concedería una mayor prioridad cuando la enfermedad hubiera desembocado en una fase de extrema gravedad, encerrando un peligro inmediato y, posiblemente, con menores posibilidades de mejoría.

Schöne-Seifert (2009) hace inventario de las críticas planteadas a la regla del rescate para su utilización en el establecimiento de prioridades en sanidad:

- Se fundamenta en una reacción instintiva, una emoción humana comprensible, no en un juicio desapasionado sobre cuál es la mejor forma de asignar los recursos sanitarios para la sociedad en su conjunto. Como ha sido puesto de manifiesto por Jenni y Loewenstein (1997), las situaciones donde las víctimas son identificables pueden caracterizarse como un *framing effect* (efecto de encuadre o de formato, en español) que suscita

la impresión en los decisores de que un elevado porcentaje de aquéllas puede salvarse. Este efecto, denominado por los autores como “efecto víctima identificable”, constituiría por tanto un sesgo, es decir, un error sistemático, en la toma de decisiones.

- Dada la restricción presupuestaria, guiar las prioridades atendiendo a la condición “identificable” del paciente, conduciría a discriminar a aquellas personas que aún no han sido identificadas. Incluso aun cuando podamos pensar que, con la suficiente información y perspectiva, toda vida estadística desconocida llega en algún momento a ser un individuo reconocible, la coherencia en la toma de decisiones requiere tratar a todos por igual (McCabe *et al.*, 2006).
- Es una idea ajena a la restricción que impone la consideración de los costes de oportunidad. Por ejemplo, dar prioridad a la inversión en los servicios de emergencia, los servicios de urgencia y las unidades de cuidados intensivos, sin reparar en los mismos, podría acabar reduciendo la salud de la población.

Evidencia empírica

Hay alusiones frecuentes en la literatura especializada a que la población respalda una forma flexible de entender la regla del rescate (Cookson y Dolan, 1999; Schwappach, 2002a; Dolan y Shaw, 2003). Esta idea podría corresponder con lo que Dolan y Tsuchiya (2006) denominan “urgencia”; esto es, situaciones caracterizadas habitualmente por la inmediatez de la muerte. Estos escenarios (por ejemplo, Shmueli, 1999), como se argumentaba anteriormente, son compatibles con una preferencia genérica por la gravedad, de modo que los pacientes al borde de la muerte recibirían un mayor peso relativo porque su gravedad es mayor, pero no porque su situación sea más “visible” que la de otros. En este sentido, la preferencia por salvar a una persona al borde de la muerte frente a mejorar la salud de otra que está, por ejemplo, en un estado de salud moderado, no quebranta el principio de “anonimato” muchas veces invocado para caracterizar la función de bienestar social⁵. La identidad de cada una de estas personas no influye en la decisión de priorización, lo hace su estado de salud.

Aunque no parece que existan argumentos morales sobre los que fundamentar con carácter general la Regla del Rescate, al menos dos

⁵Una “función de bienestar social” es una manera de agregar las utilidades que los individuos de una sociedad obtienen de cada alternativa, permitiendo tener un criterio con el cual ordenar las alternativas existentes.

instituciones públicas de reembolso se han planteado en qué ocasiones podría apelarse a la misma en la toma de decisiones. El Comité Asesor de Beneficios Farmacéuticos australiano (PBAC, 2008) especifica una serie de condiciones para aplicar la Regla del Rescate en las decisiones de reembolso público de nuevos medicamento. Este organismo explícitamente dice que cuando concurren tres requisitos estaremos ante la Regla del Rescate. Dichos requisitos son:

- Que no existan tratamientos alternativos en Australia para tratar a los pacientes con enfermedades que encajen con la descripción que se hace en las otras dos condiciones.
- Que la condición médica sea grave, progresiva y conduzca previsiblemente a la muerte. Cuanto más grave sea la enfermedad, o más joven sea el paciente, o más próximo a la muerte se encuentre, tanto más influyente será la Regla del Rescate en las decisiones del Comité.
- Que la condición médica se aplique tan sólo a un número muy pequeño de pacientes. De nuevo, cuanto menor sea ese número, tanto más influyente será la Regla del Rescate en las consideraciones del Comité.

Como señalan Cookson *et al.* (2008), lo más remarcable del modo en que el PBAC ha materializado la regla del rescate es que guarda muy poca semejanza con la formulación literal de la misma. No hay alusión en ninguno de los tres requisitos expuestos a “individuos identificables en situación de peligro inminente”. La mención que más se aproxima a la definición original es la que se efectúa en el segundo requisito cuando se afirma que “cuanto más próximo a la muerte se encuentre, tanto más influyente será la Regla del Rescate”. Es, por tanto, una interpretación “amplia” de la regla, si bien se introducen consideraciones adicionales como la edad (“cuanto más joven sea el paciente”) o la rareza de la enfermedad (“se aplique tan sólo a un número muy pequeño de pacientes”), que no están presentes ni en la definición original de la misma, ni en el argumento de gravedad.

Por su parte el NICE planteó a los miembros del *Citizens Council* la cuestión de si debería tener en cuenta la Regla del Rescate en sus decisiones de reembolso (NICE, 2006a). La Regla del Rescate planteada por el NICE tampoco introducía la connotación de “víctima identificable”; sino que subrayaba dos dilemas:

- Salvar vidas en peligro de muerte inmediata o mejorar la salud de pacientes que no se encuentran al borde de la muerte.

- Salvar vidas en el presente en lugar de salvar la vida de muchas personas en el futuro mediante la aplicación de programas de prevención (por ejemplo, control de la hipertensión).

El primer dilema, de nuevo, puede compatibilizarse con la preferencia por la gravedad: ante una ganancia de salud de la misma dimensión, se preferiría salvar a quien podría morir de no recibir tratamiento frente a quien no moriría si no lo recibiese. En el segundo dilema, sin embargo, se introduce un elemento adicional: no sólo el cambio en la salud, sino también su dirección, que es opuesta (salvar una vida versus evitar una muerte). Si la población otorga mayor peso a salvar vidas en el presente que a evitarlas en el futuro, sería un tipo de “miopía” que no se diferencia de la que refleja la tasa de preferencia temporal positiva (Nord, 2005). La preferencia por los tratamientos curativos en vez de los preventivos requeriría introducir un peso adicional en las comparaciones en las que estén involucrados ambos tipos de programas (Schwappach, 2002b). Esta idea se explica en una sección posterior de este mismo documento.

La respuesta dada por el *Citizens Council* a estas cuestiones fue que una mayoría de sus integrantes consideraban que el NICE debería tener en cuenta la regla del rescate (entendida como preferencia por salvar pacientes ante una muerte inminente) pero sólo en “circunstancias especiales”. El problema es que la concreción de esas circunstancias especiales fue tan vaga que difícilmente podría orientar la acción del NICE. No obstante, los miembros del Council a favor de la regla del rescate admitieron que, en cualquier caso, su aplicación no podía producirse al margen del coste de oportunidad. Esto es, el *Citizens Council* no manifestó una preferencia absoluta por atender a quien está en riesgo inmediato, sino relativa al coste y beneficio de la mejor alternativa disponible.

En cualquier caso, el documento que recoge los juicios de valor sociales que inspiran las decisiones del NICE (NICE, 2008b), rechaza la regla del rescate en su formulación literal sobre la base del coste de oportunidad y la imparcialidad. El NICE toma sus decisiones, de acuerdo a este documento, teniendo en cuenta las necesidades de los pacientes “anónimos”, presentes y futuros, del sistema nacional de salud.

3.2. La disponibilidad de tratamiento alternativo

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

Este factor apenas ha sido explorado empíricamente, si bien como hemos comprobado al examinar las condiciones establecidas por el PBAC para aplicar la Regla del Rescate, una de las mismas es que “no existan tratamientos alternativos”. Asimismo, desde enero de 2009, el NICE mantiene unos requisitos excepcionales aplicables para las decisiones de reembolso de los medicamentos prolongadores de la vida de enfermos en fase terminal que incluye entre sus condiciones que no haya “tratamiento alternativo con beneficios comparables disponible en el sistema nacional de salud”. Si se considera el elevado coste de este tipo de tratamientos (por ejemplo, quimioterapia), el impacto potencial de este atributo -siempre que concurren las restantes condiciones- sobre la asignación de los recursos sanitarios puede ser muy elevado.

La principal justificación que se ofrece en la literatura respecto a que se introduzca la ausencia de tratamiento disponible como un factor de valor social, radica en el valor de opción que encierran las nuevas terapias (Palmer y Smith, 2000). Philipson *et al.* (2010) realizan un análisis formal de dicho valor para el caso de los tratamientos prolongadores de la vida de enfermos en fase terminal. El valor de opción dimana de la esperanza que ofrecen estos tratamientos de alcanzar a vivir lo suficiente como para que se descubra una nueva cura. En la medida que el análisis coste-efectividad no refleja dicho valor cuando se valoran los beneficios de estas terapias, se sigue que sus ratios coste-efectividad estarán infraestimando su auténtico valor social.

Cookson *et al.* (2008) reconocen dicho valor, pero reclaman que no puede utilizarse para conferirle un estatuto privilegiado a los tratamientos dirigidos solo a los pacientes en peligro inminente. Fundamentan su posición en dos objeciones. Una, que no está claro el porqué el valor de la esperanza de unos pacientes debería estar por encima del de otros. En segundo lugar, que el tratamiento alternativo “mejor asistencia de apoyo” siempre está disponible, de modo que la cláusula de que “no haya tratamiento disponible” lo que entraña en realidad es una “fetichización” de la tecnología, que podría implicar que es valioso reducir la salud del total de la población a fin de asegurar que hay al menos una tecnología “modificadora de la enfermedad” disponible para cada condición médica.

Evidencia empírica

Tras una agria polémica derivada del rechazo del NICE a financiar determinados fármacos anticancerígenos que, sin embargo, estaban disponibles en los sistemas públicos sanitarios de otros países europeos (Raftery, 2009), dicho organismo introdujo las siguientes condiciones referidas a los medicamentos prolongadores de la vida de enfermos en fase terminal (NICE, 2009):

1. El tratamiento está indicado para pacientes con una esperanza de vida limitada, normalmente inferior a los 24 meses.
2. Hay evidencia suficiente que avale que el tratamiento prolonga la vida, en al menos 3 meses adicionales respecto al tratamiento habitual en el sistema nacional de salud.
3. No hay tratamiento alternativo con beneficios comparables disponible en el sistema nacional de salud.
4. El tratamiento está indicado para poblaciones pequeñas de pacientes.

Cuando concurren todas estas circunstancias (NICE, 2009, entonces el comité de evaluación del NICE deberá considerar dar un peso extra a los AVAC ganados con el tratamiento de modo que la razón coste-efectividad del mismo entre dentro de los límites del rango establecido de las 20.000-30.000 libras. Esto, de hecho, equivale a introducir un peso relativo diferente para estos medicamentos dentro del proceso de toma de decisiones del NICE.

Dos estudios basados en técnicas de elección discreta (Tappenden *et al.*, 2007; Green y Gerard, 2009) han incluido entre sus atributos la “disponibilidad de otros tratamientos”. Tappenden *et al.* (2007) examinan en su estudio las preferencias de los miembros del comité de evaluación del NICE, el órgano encargado de revisar las evaluaciones económicas de los medicamentos que aspiran al reembolso público. La disponibilidad de otros tratamientos se revela como una variable que reduce significativamente la probabilidad de efectuar una recomendación positiva. En el caso de Green y Gerard (2009), en cambio, es el factor de los cuatro que consideran los autores que menos influencia tiene sobre el valor social de los tratamientos.

Philipson *et al.* (2010) ilustran su análisis del valor de la esperanza estimando el valor real de la monoterapia con zidovudina aplicada a enfermos estadounidenses de SIDA diagnosticados entre 1995 y 1996. El resultado que obtienen es que dicho valor multiplica por cuatro el valor tradicionalmente asumido. Dicha diferencia se debe a que el 80% de esos pacientes sobrevivió

hasta 1997, año en el que recibieron la terapia antirretroviral altamente activa, tratamiento que aportó mejoras de esperanza de vida cercanas a la década.

3.3. La rareza de la enfermedad

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

La característica definitoria de las enfermedades “raras” es su baja prevalencia entre la población. Como el mercado al que van dirigidas es estrecho, y los gastos de investigación y desarrollo necesarios para lanzar un nuevo tratamiento son costosos, la industria farmacéutica puede tener pocos incentivos a invertir en medicamentos para tratar este tipo de enfermedades. Ante este escenario, diferentes jurisdicciones han conferido un estatus singular a este tipo de tratamientos a los efectos de conceder subvenciones y deducciones fiscales a las compañías que los fabrican. Para ello, las agencias reguladoras han tenido que definir cuáles son las condiciones que han de concurrir para que un tratamiento sea reconocido como indicado para enfermedades “raras”. Por ejemplo, en Estados Unidos (*Food and Drug Administration, Orphan Drug Act, Public Law 97-414*) se considera que un medicamento trata enfermedades raras, cuando la condición en cuestión afecta a menos de 200.000 personas, o a más de 200.000 si no se espera recuperar con las ventas los costes de I+D. De forma semejante, la Agencia Europea del Medicamento señala que han de concurrir dos circunstancias para calificar a un medicamento como “huérfano” (*Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products*):

1. La medicina se ha desarrollado para el diagnóstico, prevención o tratamiento de una condición que amenaza la vida del paciente, o de una condición que debilita de modo crónico la salud del paciente y que, o afecta a menos de 1 de cada 2.000 personas, o sin los incentivos adecuados es improbable que genere el rendimiento suficiente como para compensar la inversión efectuada.
2. No haya tratamiento en vigor o el nuevo medicamento aporte un beneficio significativo en comparación a la situación presente.

Dado que las ratios coste-efectividad de los tratamientos para enfermedades raras suelen ser elevados, varios autores han valorado posibles justificaciones para la extensión del estatus de medicamento

“singular” a la esfera de las decisiones de reembolso público. McCabe *et al.* (2005) repasan tres argumentos esgrimidos para solicitar que se depare un tratamiento especial a este tipo de medicamentos en las evaluaciones económicas. El primero de ellos es el argumento, ya insinuado, del elevado coste por paciente que conllevan estos productos. A juicio de estos autores, este argumento no justifica un tratamiento diferenciado para los medicamentos huérfanos, en la medida que ya existe toda una batería de incentivos públicos a la investigación y desarrollo de estos medicamentos. Según estos autores, la razón de ser de esos incentivos es que el resultado de la inversión en I+D de las empresas privadas no se puede anticipar con total certeza; los incentivos públicos pretenden paliar esa incertidumbre. A partir de ahí, cualquier otra razón para intervenir, debería aplicarse a todas las inversiones en I+D, no sólo a la de estos medicamentos. En términos semejantes se declaran McCabe *et al.* (2006), cuando juzgan si el valor de opción que entraña una nueva terapia para una enfermedad que carece de cura (véase la sección anterior) podría justificar un tratamiento diferenciado para las enfermedades raras. Su respuesta es negativa, ya que, a su juicio, el argumento del valor de la esperanza no es exclusivo de los tratamientos para las enfermedades raras, ya que “hay muchas enfermedades prevalentes para las que no hay cura” (p. 342).

La segunda posible justificación radicaría en que, por la idiosincrasia de las enfermedades raras, resulta complicado para la industria farmacéutica obtener evidencia robusta sobre la eficacia y efectividad de los estos medicamentos. Como la población diana es pequeña, los ensayos clínicos no pueden reunir muestras lo suficientemente grandes como para obtener evidencia de calidad (Drummond *et al.*, 2005). Nuevamente, McCabe *et al.* (2005) consideran que este argumento no es lo suficientemente poderoso como para justificar que los productos para tratar enfermedades raras sean excluidos de los procesos formales de evaluación económica.

Por último, se han manejado algunos argumentos de equidad para invocar un tratamiento diferenciado para los medicamentos huérfanos. Hughes *et al.* (2005) señalan que, por un lado, se ha propuesto aplicar la Regla del Rescate, mientras que por otro, se ha apelado a que los pacientes afectados por una enfermedad rara tienen el mismo derecho que el resto de los pacientes a poder acceder a una cantidad mínima de asistencia sanitaria. Frente a estos dos argumentos se ha objetado, en primer lugar, que la regla del rescate no puede constituir un argumento para la priorización, como ya se ha discutido anteriormente, y que, en cualquier caso, la condición de “víctima identificable” también acontece en el caso de las enfermedades comunes (McCabe, *et al.* 2005). En

segundo lugar, el enfoque basado en el “derecho” de estos pacientes a acceder a la asistencia sanitaria no los diferencia del resto de enfermos (McCabe *et al.*, 2006).

Evidencia empírica

La evidencia disponible acerca de cuáles son las preferencias de la sociedad sobre este tema es muy escasa. No obstante, existe alguna indicación que sugiere que la población no lo considera un factor relevante. El *Citizens Council* del NICE (NICE, 2004a), por una mínima mayoría (16 de los 30 miembros), consideró que el sistema nacional de salud debería considerar umbrales mucho más altos para los denominados medicamentos ultrahuérfanos (medicamentos para enfermedades con una prevalencia de 0,18/100.000 habitantes o menor), atendiendo a los siguientes criterios (por orden de importancia):

1. Gravedad de la enfermedad.
2. Que el tratamiento ofrezca una ganancia de salud, antes que la mera estabilización de la condición.
3. Que la enfermedad represente un peligro para la vida del paciente.

El NICE (2008b: p. 20) explícitamente declara en sus Juicios de Valor Sociales que “considera que debería evaluar los medicamentos para tratar condiciones raras, conocidas como *orphan drugs*, de la misma forma que cualquier otro tratamiento”. Añade además que, en lo tocante a las *ultraorphan drugs*, “el Ministerio de Sanidad ha dispuesto otros mecanismos diferentes a los del NICE, para evaluar la disponibilidad de dichos medicamentos en el sistema nacional de salud”.

El único estudio cuantitativo que ha intentado medir las preferencias de la población sobre la financiación de tratamientos para enfermedades raras es un experimento de elección discreta abordado por Mentzakis *et al.* (2010). Estos investigadores plantean diversos escenarios referidos a dos tratamientos que difieren en cuanto a su coste, impacto presupuestario, gravedad de la enfermedad, beneficios sobre la salud, y prevalencia de las enfermedades que tratan. A continuación preguntan por la disposición a pagar por cada uno de los tratamientos, así como por el año de vida ganado por tratamiento. También examinan qué importancia relativa atribuyen los encuestados a los diferentes atributos. Sus resultados sugieren que, *ceteris paribus*, los entrevistados no estaban dispuestos a pagar más por los medicamentos para enfermedades raras de lo que estaban dispuestos a pagar por los tratamientos para enfermedades comunes. Asimismo, la diferencia entre la disposición a pagar por el año de vida ganado en un caso y otro no fue significativa (18.470\$ para

la enfermedad común, 21.250\$ para la enfermedad rara). Por último, no se encontró una diferencia sensible entre las ponderaciones relativas conferidas a los distintos atributos, al comparar los dos tratamientos.

4. La edad

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

Tsuchiya (1999) concreta tres razones que podrían conducir a otorgar un menor peso relativo a las ganancias de salud de los más viejos frente a los más jóvenes:

- La esperanza de vida de los más jóvenes es mayor, lo que les confiere a priori un mayor potencial de ganancia (“*utilitarian ageism*”, en términos del autor). Este argumento, sin embargo, es lógicamente independiente de la edad como factor discriminatorio en sí mismo. La cuestión es si, dada una ganancia de salud de la misma magnitud el joven, por ejemplo, debería ser priorizado en lugar del más anciano.
- La productividad de cada persona y el valor que posee para otros miembros de la sociedad es una función de la edad (“*productivity ageism*”). Esta parece ser la lógica que inspira los pesos por edad utilizados por el Banco Mundial para calcular los DALYs⁶ (Murray y Acharya, 1997).
- La desigualdad en términos del perfil total de salud disfrutado por unos y otros que se produciría, que se estaría incrementando si se valorasen de la misma forma las ganancias de salud de las personas de más edad que la de las personas de menos edad (“*egalitarian ageism*”).

Kappel y Sandoe (1992) introducen un razonamiento diferente, que podría justificar priorizar de manera asimétrica las ganancias de salud de jóvenes y mayores. Estos autores sugieren que el valor de la salud en cada momento de la vida dependería de lo que denominan “plan vital” de los individuos. Así, la importancia relativa de las ganancias de salud a diferentes edades podría depender de cuáles sean las metas y aspiraciones de los ciudadanos. Este argumento, por tanto, no siempre conduciría necesariamente a conceder un mayor peso a los más jóvenes.

⁶Los DALY (disability-adjusted life year) son una medida de la carga de enfermedad, expresada como el número de años perdidos debido a problemas de salud, discapacidad o muerte prematura.

De todos los argumentos descritos, el que ha recibido con diferencia una mayor atención es el igualitarista. Williams (1997) justifica la equidad de igualar el perfil total de salud de los individuos apelando al concepto de “*fair-innings*”, que puede definirse como la esperanza de vida ajustada por calidad socialmente considerada como “justa”. Esta idea consiste en asumir que hay una cierta suma de AVAC a la que todas las personas tienen derecho a aspirar, de forma que quienes aún no han alcanzado ese horizonte deberían tener preferencia sobre quienes ya lo han sobrepasado. El concepto de “*claim*” (que puede traducirse como “derecho”) utilizado por Cuadras *et al.* (2001) es semejante a la idea de los “*fair-innings*”, aunque es una noción más amplia que esta última, pues no se formula necesariamente en términos de AVAC o de años de vida. Todas las personas tendrían derecho a un cierto stock de salud, de modo que la priorización se definiría en función de la diferencia entre la salud ya experimentada y la suma de salud a la que pueden aspirar, esto es, en función de lo que denominan “*health gap*” o “brecha o vacío de salud”. Como señalan Dolan y Olsen (2001), el argumento de los “*fair-innings*” no sólo tiene en cuenta la salud prospectiva sin tratamiento (como hacía el argumento de gravedad), sino también la salud pasada.

Como han comentado varios autores (Tsuchiya, 1999; Nord, 2005) el enfoque de los “*fair-innings*” admite diferentes acepciones, cada una de ellas con distintas implicaciones para la obtención de pesos dependientes de la edad. Tsuchiya (1999) afirma que los pesos podrían incorporarse de forma absoluta o relativa, según se interprete el argumento. La vía absoluta consistiría en contar únicamente los AVAC ganados hasta una cierta edad, que actuaría como “punto de corte”, mientras que la vía relativa ponderaría los AVAC ganados de acuerdo a la edad o de forma relativa a la probabilidad de alcanzar algún horizonte promedio.

Nord (2005), por su parte, comienza distinguiendo entre el enfoque “original” de los “*fair-innings*” y la generalización en términos de AVAC (la propuesta que finalmente sugirió Williams). El enfoque original se formula en términos de esperanza de vida y no de AVAC esperados. Nord ofrece varios ejemplos que muestran como el argumento generalizado de los “*fair-innings*”, basado en AVAC, puede entrar en determinadas ocasiones en conflicto con la preferencia por la gravedad. Este conflicto, sin embargo, no se produce con los “*fair-innings*” expresados en términos de años de vida, sin incorporar la calidad de los mismos. Simplemente, la hipótesis de la gravedad y la versión original de los “*fair-innings*” reflejan criterios diferentes. El conflicto entre la versión de los “*fair-innings*” expresada en términos de AVAC y el argumento de

gravedad ha sido abordado por Stolk *et al.* (2004), quienes introducen el concepto de “*proportional shortfall*” o “déficit proporcional” para intentar conciliar las dos visiones anteriores. Los autores reconocen que el concepto aún necesita refinamiento, pero que su enfoque consiguió explicar mejor las preferencias de una muestra de estudiantes de lo que lo hizo la hipótesis de gravedad por sí sola (Stolk *et al.*, 2005).

Finalmente, Nord (2005) indica que el argumento generalizado de los “*fair-innings*” engloba dos conceptos en realidad. El primero de ellos sería el argumento de “*equal innings*” o “igual esperanza de vida”; de modo que todo el mundo debería tener el mismo número de AVAC a lo largo de su vida. Este primer concepto justificaría ponderar las ganancias de AVAC de modo relativo a un horizonte potencial máximo. El segundo concepto sería el de “*sufficient innings*” o “suficiente esperanza de vida”; según el cual, una vez alcanzado un cierto umbral (por ejemplo, 75 AVAC), ganancias ulteriores deberían contar muy poco.

Evidencia empírica

Estudios cualitativos

No hay muchos estudios de carácter deliberativo que hayan preguntado directamente a la población acerca de la importancia de la edad como posible criterio priorizador. Hay estudios (por ejemplo, Ottersen *et al.*, 2008) que han incluido entre los atributos para los que se ha pedido la opinión de los encuestados la “esperanza de vida”. El problema de utilizar la esperanza de vida en lugar de la edad o “*timing*” de la enfermedad para la que se recibiría el tratamiento es que los resultados se pueden prestar a muchas interpretaciones, ya que, por ejemplo, priorizar a quien tiene una “menor esperanza de vida” puede obedecer a un deseo por atender al más grave o, alternativamente, puede ser producto de la aversión a que las esperanzas de vida al nacer sean desiguales. No obstante, algunas investigaciones e instituciones han considerado explícitamente la edad (Mossialos y King, 1999; Ryyänen *et al.*, 1999; NICE, 2004b; Dolan *et al.*, 2008; Donaldson *et al.*, 2008), siendo la conclusión global que hay un apoyo limitado a utilizarla como criterio de racionamiento.

Por ejemplo, el *Citizens Council* (NICE, 2004b) deliberó acerca de si el NICE debía ser más generoso al decidir qué tratamientos eran coste-efectivos para unos grupos de edad en lugar de otros. Su conclusión fue que sí, pero sólo cuando la edad está ligada a un mayor potencial de mejora o sea indicativa de un mayor riesgo. En cambio rechazaron que

el NICE debiera adoptar una política más flexible con unos grupos de población que con otros, basándose únicamente en la edad.

En el estudio de Donaldson *et al.* (2008), la edad fue situada en cuarto lugar por orden de importancia, por detrás de la calidad de vida del paciente antes del tratamiento, la disponibilidad de otro tratamiento y la esperanza de vida previa al mismo. Dolan *et al.* (2008) incluyen la edad en su estudio final, si bien lo que intentan explicar posteriormente es la importancia relativa que tienen los niños (menores de 18 años) frente a los adultos (mayores de 18 años).

Estudios cuantitativos

Como comenta Schwappach (2002b), los estudios cuantitativos, en general, recurriendo a diferentes metodologías, obtienen una evidencia mayor que las aproximaciones más cualitativas favorable a atribuir un mayor peso relativo a los jóvenes frente a los mayores.

Cuatro han sido los enfoques básicos utilizados para obtener preferencias de la población acerca de la importancia de la edad como factor de priorización:

- El PTO (Cropper *et al.*, 1994; Johannesson y Johannesson 1996, 1997; Nord *et al.*, 1996 ; Donaldson *et al.*, 2008 ; Johansson-Stenman y Martinsson, 2008).
- *Trade-offs* entre la ganancia de salud de una persona con una edad determinada y otra ganancia de diferente magnitud de otra persona de edad diferente (Busschbach *et al.*, 1993; Tsuchiya, 2001; Rodríguez y Pinto, 2000).
- Escenarios de priorización en los que hay que decidir que grupos de edad deberían recibir primero un determinado tratamiento (Lewis y Charny, 1989; Nord *et al.*, 1995).
- Parametrización de funciones de bienestar social (Bleichrodt *et al.*, 2005; Dolan *et al.*, 2008; Edlin *et al.*, 2009)

¿Qué dice la evidencia?

La tendencia general mostrada en los diferentes estudios es que la gente más joven debería ser priorizada respecto de la de más edad, si bien hay excepciones (por ejemplo, Nord *et al.*, 1995), así como resultados que sugieren que la relación entre edad y valor social no es monótona decreciente (por ejemplo, Busschbach *et al.*, 1993), sino que puede

haber puntos de inflexión propios de relaciones no lineales entre ambas variables. Los estudios que sugieren que la relación entre la edad y el valor social puede ser no lineal (por ejemplo, Maestad y Norheim, 2009), se aproximan así a la visión que proporcionan algunos estudios realizados en el ámbito de la valoración monetaria de la vida estadística (y del año de vida estadístico ganado), que sugieren una relación con forma de U invertida entre dicho valor y la edad (Aldy y Viscusi, 2007).

No todos los estudios permiten obtener pesos basados en la edad, y el rango de pesos en todo caso es heterogéneo (Busschbach *et al.*, 1993; Nord *et al.*, 1996; Johannesson y Johannesson, 1997; Donaldson *et al.*, 2008; Dolan *et al.*, 2008; Johansson-Stenman y Martinsson, 2008; Edlin *et al.*, 2009). Así, por ejemplo, Johannesson y Johannesson (1997) obtienen pesos para vidas salvadas, años de vida ganados y AVAC ganados a distintas edades. Los pesos relativos por salvar una vida a la edad de 30, 50 y 70 años fueron en su estudio de 1, 0,13 y 0,02 respectivamente. Los pesos por año de vida ganado a las mismas edades fueron 1, 0,22 y 0,1 respectivamente. Los pesos por AVAC ganado fueron prácticamente idénticos. Johansson-Stenman y Martinsson (2008) también obtienen una relación decreciente entre el valor del año de vida ganado y la edad, pero menos intensa que la hallada por Johannesson y Johannesson (1997). Además, sus resultados en relación a los años de vida y los AVAC ganados difieren sustancialmente de los de Johannesson y Johannesson, ya que obtienen una relación no lineal entre los valores relativos y la edad (a partir de 30 años, el valor relativo vuelve a crecer). Donaldson *et al.* (2008) también encuentran evidencia de una relación no monótona: sus encuestados favorecen al grupo de edad de 20-40 años respecto al grupo de 0-20 años. Los pesos relativos que estiman son 0,7754, 1, 0,8142 y 0,5266 para los intervalos de edad 0-20, 20-40, 40-60 y 60-80 respectivamente. Dolan *et al.* (2008), a su vez, hallan que un año de buena salud recibido por un niño (menor de 18 años) recibe un peso un 83% superior (1,828) que un año de buena salud ganado por un adulto (18 años en adelante). Cuando la comparación se hace entre el intervalo de edad de 18-40 años con el de 40 años en adelante, la relación, sin embargo, es prácticamente 1:1. Esta paridad se mantiene cuando se rebaja la edad del niño a 10 años (1 año ganado por un niño equivaldría a 1,073 ganado por un adulto).

Recientemente, Maestad y Norheim (2009) muestran cómo los pesos de edad derivados a partir de preguntas que comparan ganancias no marginales (por ejemplo, como las que se suelen plantear con el PTO) pueden desviarse significativamente de los pesos de edad estimados en el margen. Para evitar este error, los autores presentan un nuevo procedimiento que permite estimar con mayor precisión los pesos

relativos de edad. La evidencia empírica que aportan sugiere una función de ponderación basada en la edad con forma de “resalto”, de modo que los pesos crecen con la edad hasta alcanzar un máximo alrededor de los 20 años, a partir del cual descienden. Parece, por tanto, que atendiendo a la suma de la evidencia más reciente, la relación entre valor social y edad puede ser más compleja de lo que los estudios iniciales sugerían.

5. Concentración/dispersión

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

La regla de maximización del AVAC implica “neutralidad distributiva”; esto es, si, por ejemplo, dos programas sanitarios producen cada uno 100 AVAC, el algoritmo asume que las preferencias sociales deberían ser indiferentes entre los dos programas con independencia de que uno otorgue 50 AVAC a dos personas mientras que el otro ofrece 5 AVAC a 20 personas. El argumento igualitarista que identifica la equidad con una distribución equiproporcional de la entidad a ser distribuida (por ejemplo, en Le Grand, 1996), ampararía una preferencia social diferente a la implícita en la maximización de los AVAC, una preferencia más proclive a la dispersión de los beneficios sanitarios, a igualdad en el resto de factores de los que puede depender el valor social de las intervenciones. Dada una suma total de ganancias de salud fija, la sociedad puede conceder un mayor valor social a una equidistribución de dicha suma (beneficiar a muchos aunque sea poco) que a una concentración de la misma (beneficiar a unos pocos, pero en gran medida).

Pero la preferencia por la dispersión no sólo puede responder a motivaciones fundamentadas puramente en la equidad (lo que Tsuchiya y Dolan, 2009, denominan igualitarismo en el espacio de las ganancias de salud) sino que también puede obedecer a argumentos de eficiencia individual. En este sentido, Olsen (2000) identifica cuatro motivaciones para los juicios distributivos sobre las ganancias de salud: preferencia temporal positiva, efectos “umbral”, aversión al riesgo y preferencias por la equidad “puras”. Puede repararse, por ejemplo, en los llamados efectos “umbral”, esto es, el nivel mínimo de beneficios por persona que tiene que concurrir para que la gente considere que no es ineficiente distribuir las ganancias entre un mayor número de personas. Como exponen Dolan *et al.* (2008: p. 41), “parece haber algún tipo de intuición basada en la aversión a la desigualdad de modo que la gente puede desear dispersar los beneficios de salud antes que concentrarlos en unos pocos, de modo

que 5 años adicionales a 20 personas parece preferible que 50 años adicionales a sólo 2 individuos. Sin embargo, también parece absurdo que, por ejemplo, extender la vida de un gran número de personas, digamos medio millón, durante 1 minuto cada uno debiera considerarse equivalente a extender la vida de una sola persona durante un año (365 días x 24 horas x 60 minutos = 525.600). En otras palabras, dispersar los beneficios más allá de un límite, o de un umbral, probablemente disminuiría el valor social del beneficio total?

Evidencia empírica

La evidencia disponible (Ubel *et al.*, 1996; Choudhry *et al.*, 1997; Olsen, 1994, 2000; Rodríguez y Pinto, 2002; Dolan *et al.*, 2008; Gyrd-Hansen y Kristiansen, 2008) muestra patrones de dispersión/concentración que sugieren que la población puede favorecer la difusión de ganancias adicionales entre un número mayor de personas, pero siempre que el tamaño de la ganancia sea lo suficientemente grande. Olsen (1994, 2000) fue el primero en sugerir que la preferencia por la dispersión podía estar condicionada por el tamaño del beneficio y Rodríguez y Pinto (2002) los primeros en medir empíricamente ese umbral. Estos autores utilizan una serie de PTO, de modo que una misma ganancia de años de vida se distribuye entre dos grupos de personas de distinto tamaño. Manteniendo fijo el tamaño de uno de los grupos, se varía el tamaño del otro hasta que el encuestado se muestra indiferente entre ambos. Repitiendo esta operación para diferentes escenarios, puede llegar a identificarse el umbral o número mínimo de años que debe ganar cada paciente para que el encuestado prefiera distribuir la ganancia total entre un número mayor de pacientes. Rodríguez y Pinto determinaron que para su muestra dicho umbral fueron 9 años. Dolan *et al.* (2008) replican con pequeñas variaciones el estudio de Rodríguez y Pinto, obteniendo un umbral de 2,6 años.

Gyrd-Hansen y Kristiansen (2008) siguen un diseño y metodología diferente para medir las preferencias por la dispersión. En primer lugar, plantean las preguntas desde una perspectiva *ex ante*, presentando tratamientos que ofrecen diferentes probabilidades de obtener diferentes ganancias de salud y, en segundo lugar, plantean estas mismas elecciones bajo dos formatos o *framings* distintos: uno social y otro personal. De esta forma, los autores pretenden comparar si las preferencias por la concentración y la dispersión son privativas de las evaluaciones sociales o, en cambio, son también (al menos en parte) expresión de la utilidad individual. En cuanto a los métodos empleados para cuantificar las preferencias, en lugar de utilizar el PTO, estos autores realizan un experimento de elección discreta. Sus resultados confirman la existencia

de umbrales como sugerían los hallazgos previos, al tiempo que muestran que, con pequeñas variaciones, las funciones de utilidad individual y de valor social son muy semejantes. A tenor de esta similitud, los autores advierten de que “deberíamos ser cautos cuando interpretemos que las preferencias sociales por la dispersión o la concentración de las ganancias son meramente expresión de preferencias por la equidad. En realidad puede que estemos tratando en gran medida con puras consideraciones de eficiencia basadas en utilidad individual” (p. 718).

6. La dirección del cambio en la salud.

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

El supuesto de proporcionalidad del valor social respecto de las ganancias de salud que subyace en la regla de maximización de los AVAC es, por naturaleza, consecuencialista, siendo insensible a cómo se hayan generado esas ganancias. Esto tiene una importante implicación para la comparación de programas curativos y preventivos. Puesto que sólo importa la distancia entre el estado de salud inicial y el estado de salud final, da lo mismo la dirección en que se produzca el cambio en la salud. Como describe Schwappach (2002b: p. 2): “Imagine, por ejemplo, que hay una enfermedad X asociada con un estado de salud x (que es peor que la salud perfecta). Si hay una cura para X que devolvería la salud de los pacientes a la salud perfecta, el beneficio de esa cura es $1-x$ (...) En el caso de que también existiese la oportunidad de evitar X en personas que están sanas en el presente, el beneficio de evitar el estado x viene dado también por $1-x$. El valor que la gente da a un movimiento de un estado peor que la salud perfecta hacia arriba se utiliza de forma intercambiable con el valor de evitar un movimiento de la salud perfecta hacia abajo”.

Con abstracción de los efectos debidos puramente a la aversión al riesgo y la preferencia temporal positiva, al menos hay tres argumentos que pueden inducir una valoración asimétrica entre tratamientos curativos y preventivos (Johannesson y Johansson, 1997; Schwappach, 2002b):

- Puede considerarse injusto dar prioridad a quienes en el presente están sanos, en lugar de atender a quienes están gravemente enfermos en el presente. Este argumento recuerda a una Regla del Rescate “amplia”, ya discutida anteriormente.

- La aversión a las pérdidas podría otorgar prioridad a los tratamientos preventivos frente a los curativos, ya que en el primer caso, los pacientes aún no han experimentado la pérdida de salud, mientras que en el segundo, esa pérdida ya se ha producido. La población podría sentir que evitar la pérdida “pesa” más que proporcionar la ganancia futura, siendo ambos movimientos de la misma magnitud.
- Priorizar los tratamientos preventivos podría interpretarse como un deseo por mantener el statu quo, ya que de esta forma la situación en el presente queda inalterada tanto para el enfermo como para el sano. Este argumento se relacionaría con lo que se denomina sesgo del punto de referencia o “*endowment effect*”.

Evidencia empírica

La evidencia disponible al respecto de este tema es muy escasa y, hasta cierto punto, ambigua. Por un lado, hay dos estudios (Johannesson y Johansson, 1997; Ubel *et al.*, 1998) que han encontrado cierta evidencia favorable a priorizar los tratamientos preventivos. Así, Johannesson y Johansson (1997) compararon diferentes programas que salvaban la vida de pacientes agudos frente a programas preventivos que evitaban muertes, hallando una ligera preferencia por la prevención, de modo que una media de 1,2 – 1,4 vidas salvadas por la asistencia a los pacientes agudos se consideró equivalente a 1 vida salvada mediante la prevención.

En contraposición a los anteriores trabajos, tanto Corso *et al.* (2002) como Schwappach (2002b) encuentran evidencia firme por la curación en vez de la prevención. El estudio de Corso *et al.* consiste en una investigación de valoración contingente, en la que preguntan por la disposición a pagar por tratamientos curativos y preventivos. Obtienen una disposición a pagar por los programas curativos significativamente mayor que por los tratamientos preventivos (665\$ versus 223\$). Schwappach utiliza el PTO para cambios equidistantes en la salud, obtenidos mediante intervenciones curativas y preventivas. Además, sus encuestados tuvieron que ordenar directamente diferentes intervenciones curativas y preventivas en un escenario de restricción presupuestaria. Su principal resultado es que la mayoría de los entrevistados (69%) prefirieron asignar los recursos disponibles a los enfermos presentes frente a evitar el mismo problema de salud en población sana. Además, combinando PTO para tratamientos curativos y PTO para tratamientos preventivos, elaboran un coeficiente

que denominan “peso por evitar el declive” que permite ajustar las ganancias de salud de modo que las comparaciones entre los beneficios de los tratamientos curativos y los preventivos en los análisis coste-efectividad no estén sesgadas. El valor que obtienen para dicho “peso” implica que el valor asociado a curar a una persona es el doble que el asociado a evitar el declive en la salud de una sana.

7. El coste de la intervención

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

Tanto la literatura teórica como la empírica relacionada con el valor social de las intervenciones sanitarias se han centrado primordialmente en la esfera de los beneficios, y no tanto en la de los costes. Como Ong *et al.* (2009) exponen, de igual forma que se han propuesto diversas formas de estimar pesos de equidad para ponderar de manera no uniforme las ganancias de salud de diferentes grupos de pacientes, tendría el mismo sentido hacerlo en el ámbito de los costes. Las posibles justificaciones a la estimación de pesos de equidad “basados en los costes” serían análogas a las manejadas en el contexto de los beneficios. Por ejemplo, garantizar la equidad vertical en la prestación de la asistencia sanitaria de modo que aquellas poblaciones con mayores necesidades (por ejemplo, por una mayor prevalencia de enfermedades), que requieren intervenciones más costosas, no fueran penalizadas precisamente porque su asistencia sanitaria es más cara. Una cuestión sujeta a debate es el efecto que podría tener sobre los ratios coste-efectividad el introducir correcciones tanto en los beneficios como en los costes.

Al margen de la posibilidad de estimar pesos de equidad basados en costes, el coste es un elemento con valor en sí mismo en aquellos casos en que los beneficios derivados de las intervenciones son semejantes. Aquí el trade-off entre eficiencia y equidad se sustancia en forma de cuánta ganancia de salud se está dispuesto a sacrificar para compensar a quienes recibirían tratamientos más costosos. El rechazo a la minimización de costes puede fundamentarse nuevamente en un deseo por no discriminar a quienes afrontan enfermedades más costosas, a menos (nuevamente los efectos “umbral”) que los costes sean extraordinariamente elevados.

Evidencia empírica

Son pocos los estudios que han investigado sobre la consideración que merecen los costes en sí mismos como posible factor de priorización. Hay varios trabajos (Abellán y Pinto, 1999; Ubel, 2000) en los que los encuestados han tenido que distribuir un presupuesto fijo entre pacientes con diferentes potenciales de mejora, hallándose un rechazo a seguir una regla estricta de reparto basada en la minimización del coste por unidad de salud ganada. El único estudio que ha planteado un escenario similar, pero asumiendo que los resultados de los tratamientos son análogos, ha sido el realizado por Nord *et al.* (1995). Los autores encontraron que un 81% de una muestra de 551 participantes, optaron por no minimizar los costes directos de una serie de intervenciones sanitarias. El porcentaje ascendió al 87% cuando se trataron de los costes indirectos. Cuando los encuestados fueron informados de que la consecuencia de sus elecciones sería que el número de casos tratados se reduciría, la mayoría no cambió de parecer. Por último, Ong *et al.* (2009) proponen un sistema de pesos de equidad basados en costes cuya magnitud sea el resultado de la razón entre el coste de proporcionar determinados tipos de asistencia sanitaria a la población objetivo (por ejemplo, el grupo más desfavorecido socialmente) del modo más apropiado a sus circunstancias y el coste de suministrar la misma asistencia sanitaria de forma convencional. El peso que recibe el coste según este esquema es proporcional al coste que entrañaría proveer la sanidad de manera *ad hoc*.

8. Las características personales de los beneficiarios

Bases conceptuales y fundamentos teóricos

El rol que pueden desempeñar las características personales de los beneficiarios en la determinación del valor social de las intervenciones sanitarias se relaciona con la cuestión de las desigualdades en salud. Wagstaff (1991) utilizó el recurso de la función de bienestar social relacionada con la salud como una forma de ilustrar el *trade-off* entre eficiencia y equidad. El parámetro de aversión a la desigualdad que incorpora la función de bienestar social reflejaría la preferencia de la sociedad por cómo distribuir la salud entre diferentes grupos de

población. Esos grupos poblacionales pueden ser definidos sobre la base de características personales asociadas a diferencias epidemiológicas en la salud. Por ejemplo, la pertenencia a una determinada clase social se asocia con diferencias significativas en términos de esperanza de vida media. La identificación del parámetro de aversión a la desigualdad en salud permite obtener pesos relativos implícitos asociados a la salud de los diferentes grupos considerados (Dolan y Tsuchiya, 2010).

Es posible agrupar las características personales siguiendo diversos criterios. Por ejemplo, Schwappach (2002a) habla de:

- “Rol social de los pacientes” (empleado/desempleado, rico/pobre, con dependientes/sin dependientes, etc.).
- “Estilo de vida” de los pacientes (responsable/irresponsable).
- “Consumo previo de asistencia sanitaria” (primera vez/ intervenciones repetidas).

Por su parte, Olsen *et al.* (2003), autores de la revisión más extensa que se ha hecho sobre el tema, diferencian entre características referidas a:

- Las relaciones del paciente con otros miembros de la sociedad (por ejemplo, tener hijos).
- Las causas de la enfermedad (por ejemplo, seguir un estilo de vida autodestructivo).
- Los rasgos de la persona en sí misma (por ejemplo, el sexo).

Las razones que pueden mover a dar prioridad a determinados colectivos sobre la base de sus características personales pueden ser varias, dependiendo de la característica específica de que se trate. En primer lugar, puede existir una genuina motivación por atenuar las desigualdades en salud entre distintos grupos sociales. Esta es la postura defendida, por ejemplo, por Lindholm *et al.* (1998). Una visión más amplia sería la que sostiene Le Grand (1996), quien sugiere que factores como el estatus socioeconómico deberían ser compensados mediante la priorización en la provisión de asistencia sanitaria. Surge así un argumento de compensación de la “desventaja” socioeconómica, que ha sido sostenido y contrastado hasta cierto punto por Green (2009), encontrando indicios de que la población puede otorgar preferencia al grupo de pacientes que tienen peor salud como expresión de una noción de justicia distributiva más amplia, relacionada con su desventaja social, traducida en poseer un menor nivel de renta.

En el apartado de los factores relacionados con las causas de la enfermedad, se han propuesto justificaciones para la priorización de quienes han sido más diligentes en el cuidado de su salud, basadas en argumentos de “mérito” (Le Grand, 1991), así como incluso de “obligación” moral hacia el mantenimiento de estilos de vida saludables (Skrabaneck, 1994). No obstante, por la dificultad que encierra discernir hasta qué punto la enfermedad se ha producido a consecuencia de causas endógenas y controlables, por tanto, por el sujeto, o exógenas (consecuencia, por ejemplo, de un componente hereditario), puede resultar polémico hacer descansar las bases de la priorización sobre el estilo de vida del paciente. Por esta razón, Dolan y Olsen (2001), aunque hacen valer el argumento de responsabilidad, lo constriñen a casos muy particulares, como a aquellos pacientes que consumen asistencia sanitaria de forma reiterada persistiendo en sus malos hábitos. El factor de responsabilidad se relacionaría así con el concepto de igualdad de oportunidades defendido entre otros por Roemer (1997), que encuentra su límite cuando el individuo se revela irresponsable con el uso de los recursos públicos concedidos para “nivelar” la desigualdad inicial.

En el caso de las características relacionadas con el propio “yo” de la persona, como el sexo o la raza, no parece que haya argumentos convincentes que puedan justificar su utilización como factor de priorización. A este respecto, una hipótesis formulada por Tsuchiya y Dolan (2009) es que, mientras que en el caso de las clases sociales quien está peor en términos de salud lo está también en términos socioeconómicos, no ocurre lo mismo con el sexo. Priorizar en el primer caso puede verse como una forma de compensación de las desventajas socioeconómicas, mientras que en el segundo caso no.

Evidencia empírica

Hay una extensa bibliografía sobre las características personales en relación a la priorización en sanidad (véase, por ejemplo, Olsen *et al.*, 2003). En este ámbito, la inmensa mayoría de los estudios no ofrecen estimaciones de pesos de equidad. Excepciones son los estudios de Dolan *et al.* (2008) y Dolan y Tsuchiya (2010). En la mayoría de los casos se plantean escenarios de priorización y se pregunta a los encuestados a qué grupos se favorecería (Nord *et al.*, 1995; Williams, 1988; Olsen y Richardson, 1998), o bien se presentan los resultados derivados de las deliberaciones de grupos de encuestados (Dolan *et al.*, 1999; Edwards *et al.*, 1999; NICE, 2006; Tsuchiya y Dolan, 2007). Hay también experimentos de elección discreta con varios atributos (Ratcliffe, 2000; Ratcliffe *et al.*, 2009), o elecciones directas simples (Charny *et al.*, 1989; Mooney *et al.*, 1995). Como en la mayoría de los casos

el output final es simplemente el porcentaje de individuos favoreciendo a unos grupos o a otros, no se hace en lo que sigue distinción entre estudios cualitativos y cuantitativos.

¿Qué dicen los estudios?

El *Citizens Council* fue consultado a propósito de si el NICE debería concentrar sus recursos para tratar de mejorar la salud de los miembros más desfavorecidos de la sociedad, incluso si eso sólo tuviese un modesto impacto sobre la salud total de la población (NICE, 2006b). Un 58% de los miembros del *Council* (15/26) apoyó la propuesta. Curiosamente, un estudio reciente (Tsuchiya y Dolan, 2007) muestra que un porcentaje muy similar de una muestra de población general (N=271) está dispuesta a escoger el programa sanitario que más incrementa la esperanza de vida de la clase social baja. Cuando se pregunta lo mismo a una muestra de personal del sistema nacional de salud británico, el porcentaje desciende al 48,5%. Estas diferencias entre las actitudes y opiniones de la población general con respecto al personal sanitario son frecuentes (véase, por ejemplo, Dolan *et al.*, 2008).

Si se intenta hacer una valoración global de los resultados aportados por los diferentes estudios, se encuentra que los factores que más claramente han concitado la predisposición de la gente a priorizar sobre su base son: la existencia de personas que dependen del paciente (niños y/o ancianos), la responsabilidad (estilos de vida) y la clase social. Esta valoración no debe interpretarse, sin embargo, como que la mayoría de la población esté dispuesta a discriminar en atención a las mencionadas características. El apoyo es siempre relativo y, como hemos comentado anteriormente para otros determinantes de valor social, no es insensible a la pérdida de eficiencia que se pueda producir.

Por ejemplo, el estudio de Olsen y Richardson (1998) es uno de los que obtiene un mayor grado de apoyo a priorizar a favor de los pacientes con niños a su cargo (47% de la muestra está dispuesta a favorecerlos), así como a quienes tienen mayores dependientes a su cuidado (45% de respaldo). Otros estudios (Dolan *et al.*, 1999; Nord *et al.*, 1995; Browning y Thomas, 2001; Neuberger *et al.*, 1998; Holmes, 1997) también han hallado que fracciones significativas de entrevistados se mostraban dispuestos a beneficiar a quienes tienen hijos, si bien el rango de apoyo es muy variable e inferior al encontrado por Olsen y Richardson. El estudio de Dolan *et al.* (2008) permite observar el nivel al cual los participantes en sus grupos focales estaban dispuestos a sacrificar ganancias de salud a cambio de favorecer a las familias monoparentales con hijos. Cuando dicho sacrificio se cifra en 100

AVAC (para un grupo de 500 pacientes), el 79% de los participantes está dispuesto a escoger al grupo compuesto por pacientes con un hijo a su cargo. Al incrementarse la pérdida de eficiencia a 500 AVAC, dicho porcentaje se reduce al 38.5%.

En cuanto a los estilos de vida y su influencia sobre la salud, el estudio de Nord *et al.* (1995) encuentra una tendencia muy clara hacia priorizar a los no fumadores respecto de los fumadores (el 60% de su muestra se decantó en este sentido). Ubel *et al.* (1999) encuentran una preferencia firme por discriminar en contra de quienes han llevado estilos de vida irresponsables (drogadictos, por ejemplo). Sin embargo, como ponen de manifiesto otros estudios, el rol de la responsabilidad es un tema controvertido para los encuestados (Dolan *et al.*, 1999; Edwards *et al.*, 1999). En esta línea, un estudio reciente (Johansson-Stenman y Martinsson, 2008) encuentra que los encuestados confieren mayor valor a evitar la muerte de un peatón que la de un conductor. Dolan *et al.* (2008) introducen en su estudio la responsabilidad, pero entendida no sólo como la llevanza de estilos de vida saludables, sino también como negligencia del sistema nacional de salud. El parámetro de aversión a la desigualdad que estiman sugiere que la gente está dispuesta a sacrificar ganancias agregadas de salud a cambio de reducir la desigualdad entre los grupos. Dicho parámetro aumenta en un 14%, reflejando mayor aversión a la desigualdad, cuando las causas de la enfermedad son achacables a una negligencia previa del sistema sanitario, y se reduce en un 8% cuando dichas causas son imputables al estilo de vida no saludable del paciente.

Finalmente, en relación a las desigualdades en términos de estatus socioeconómico o clase social, hay evidencia empírica reciente (Tsuchiya y Dolan, 2007; Dolan *et al.*, 2008; Tsuchiya y Dolan, 2009; Dolan y Tsuchiya, 2010) que sugiere que este es un factor que puede ser importante para la población. Por ejemplo, Dolan y Tsuchiya (2010) estiman pesos relativos para la ganancia de esperanza de vida y reducción de la prevalencia de enfermedades de larga duración entre la población perteneciente a la clase social más alta (por ejemplo, médicos y abogados), y la perteneciente a la clase social más baja (por ejemplo, limpiadoras). El encuestado mediano en su estudio valora siete veces más una misma ganancia de esperanza de vida en la clase social más baja que en la clase social más alta, y cuatro veces más una misma reducción en la tasa de prevalencia de las enfermedades de larga duración.

Conclusiones

Existe una amplia bibliografía que cuestiona el algoritmo que subyace en el análisis coste-efectividad estándar que mide los beneficios en AVAC, tanto a nivel teórico como empírico. Aunque la evidencia no es tajante para buena parte de las características estudiadas, pues los resultados de los estudios analizados resultan en ocasiones contradictorios, así como muy variables cuando intentan calcular umbrales para algunos de los atributos, parece claro que los ciudadanos muestran una clara tendencia a considerar factores relacionados con las características de los pacientes a la hora de realizar ejercicios de priorización.

La revisión ha permitido identificar una serie de características que han sido objeto de estudio, exponiéndose los principales resultados obtenidos a continuación.

La gravedad se considera como uno de los factores más importantes a considerar en la toma de decisiones sanitarias. Se apunta la existencia de un “umbral” o nivel mínimo a partir del cual la gravedad es relevante, que puede estar en el 30% de la salud normal.

Los beneficios del tratamiento se consideran en general de bastante relevancia, sólo por detrás de la gravedad. La evidencia disponible sugiere que la sociedad tiende a conceder al menos la misma prioridad a quienes gozan de menor potencial de mejora que a quienes pueden curarse por completo, aunque algunos estudios muestran que el estado de salud que alcanza el paciente después del tratamiento no es un factor irrelevante, existiendo un menor apoyo a la priorización del paciente con menor potencial de mejora.

Respecto a los argumentos relacionados con la inmediatez de la muerte, la evidencia sobre la denominada “Regla del Rescate” muestra que las instituciones que se han planteado su uso la rechazan en su formulación literal. En cuanto a la disponibilidad o no de un tratamiento alternativo la evidencia disponible es controvertida, tratándose de un factor poco explorado. La rareza de la enfermedad no resulta relevante, sugiriendo la escasa evidencia que la población no está dispuesta a pagar más por los medicamentos para enfermedades raras de lo que estaría dispuesta a pagar por los tratamientos para enfermedades comunes.

En cuanto a la edad, la evidencia muestra que existe un apoyo limitado a utilizarla como criterio de racionamiento. Hay una tendencia más favorable a atribuir un mayor peso relativo a los jóvenes frente a los mayores, si bien hay resultados que sugieren que la relación entre edad y valor social no es monótona decreciente, sino que puede haber puntos

de inflexión propios de relaciones no lineales entre ambas variables. Los estudios más recientes sugieren una función de ponderación basada en la edad con forma de “resalto”, de modo que los pesos crecen con la edad hasta alcanzar un máximo alrededor de los 20 años, a partir del cual descienden.

La evidencia empírica muestra patrones de dispersión/concentración que sugieren que la población puede favorecer la difusión de ganancias adicionales entre un número mayor de personas, pero siempre que el tamaño de la ganancia sea lo suficientemente grande. Los experimentos han estimado diferentes umbrales, siendo de 2,6 años el proporcionado por el estudio más reciente.

Respecto a la dirección del cambio de la salud, la evidencia es muy escasa y ambigua. Los trabajos más recientes parecen mostrar una preferencia por los programas curativos significativamente mayor que por los tratamientos preventivos.

La evidencia respecto al coste de la intervención muestra que hay un rechazo a seguir una regla estricta de reparto basada en la minimización del coste por unidad de salud ganada.

En cuanto a las características personales de los beneficiarios, no parece que haya argumentos convincentes que puedan justificar la utilización como factor de priorización para el caso de las características relacionadas con el propio “yo” de la persona, como el sexo o la raza. Los factores que más claramente han concitado la predisposición de la gente a priorizar sobre su base son: la existencia de personas que dependen del paciente (niños y/o ancianos), la responsabilidad (estilos de vida) y la clase social. Si bien este apoyo es siempre relativo y sensible a la posible pérdida de eficiencia que se pueda producir. Los resultados muestran una tendencia a priorizar a favor de los pacientes con niños a su cargo y otros dependientes, a los no fumadores respecto a los fumadores, a favor de los afectados por negligencias del sistema de salud, y contra la priorización de los que han llevado un estilo de vida irresponsable (si bien esto resulta controvertido, por la dificultad de calificar como irresponsable una conducta). Respecto al estatus socioeconómico o clase social, hay evidencia empírica que sugiere que este es un factor que puede ser importante para la población, que valora mucho más una misma ganancia de esperanza de vida en la clase social más baja que en la clase social más alta, así como una misma reducción en la tasa de prevalencia de las enfermedades de larga duración.

En resumen, la evidencia muestra que los ciudadanos están dispuestos a renunciar a la maximización de las ganancias en salud para la sociedad con el fin de beneficiar a determinados grupos de población, en función de las características o atributos estudiados en este trabajo.

Son necesarios más estudios que permitan cuantificar las preferencias, de forma que puedan establecerse “pesos de equidad” y poder construir una función de bienestar social que resulte de utilidad para los decisores sanitarios.

Referencias

Abellan-Perpiñan J.M. & Pinto-Prades J.L. (1999). Health state after treatment: a reason for discrimination? *Health Economics*, 8 (8), 701–707.

Abelson J., Lomas J., Eyles J., Birch S. & Veenstra G. (1995). Does the community want devolved authority? Results of deliberative polling in Ontario. *Canadian Medical Association Journal*, 153 (4), 403–12.

Aldy J. & Viscusi W.K. (2007). Age Differences in the Value of Statistical Life: Revealed Preference Evidence. *Review of Environmental Economics and Policy*, 1(2), 241-260.

Baker R, Bateman I, Donaldson C, Jones-Lee M, Lancsar E, Loomes G,... Wildman J. Weighting and valuing quality adjusted life years: preliminary results from the Social Value of a QALY Project *Health Technology Assessment* 2010, 14(27).

Baltussen R., Stolk E., Chisholm D. & Aikins M. (2006). Towards a multi-criteria approach for priority setting: an application to Ghana. *Health Economics*, 15(7), 689–696.

Bleichrodt, H., Doctor, J. & Stolk, E. (2005). A nonparametric elicitation of the equity-efficiency trade-off in cost-utility analysis. *Journal of Health Economics*, 24(4), 655–678.

Browning C.J. & Thomas S.A. (2001). Community values and preferences in transplantation organ allocation decisions. *Social Science & Medicine*, 52(6), 853–861.

Bryan S., Roberts T., Heginbotham C. & McCallum A. (2002). QALY-maximisation and public preferences: Results from a general population survey. *Health Economics*, 11(8), 679-693.

Busschbach, J.J.V., Hessing, D.J. & Decharro, F.T., (1993). The utility of health at different stages in life—a quantitative approach. *Social Science and Medicine*, 37(2), 153–158.

Charny, M.C., Lewis, P.A. & Farrow, S.C. (1989). Choosing who shall not be treated in the NHS. *Social Science and Medicine*, 28(12), 1331-1338.

Choudhry N., Slaughter P., Sykora K. & Naylor D. (1997). Distributional dilemmas in health policy: large benefits for a few or smaller benefits for many?. *Journal of Health Services Research & Policy*, 2 (4), 212–216.

Cookson R. & Dolan P. (1999). Public views on health care rationing: a group discussion study. *Health Policy*, 49(1-2), 63–74.

Cookson R., McCabe C. & Tsuchiya A. (2008). Public healthcare resource allocation and the Rule of Rescue. *Journal of Medical Ethics*, 34(7), 540-544.

Corso P.S., Hammitt J.K., Graham J.D., Dicker R.C. & Goldie S.M. (2002). Assessing preferences for prevention versus treatment using willingness to pay. *Medical Decision Making*, 22(suppl 5), S92-S100.

Cropper, M.L., Aydede, S.K. & Portney, P.R. (1994). Preferences for life saving programs—how the public discounts time and age. *Journal of Risk and Uncertainty*, 8(3), 243–265.

Cuadras-Morato X., Pinto-Prades J.L. & Abellan-Perpiñan J.M. (2001) Equity considerations in health care: the relevance of claims. *Health Economics*, 10(3), 187–205.

Culyer, A. J., (1989). The normative economics of health care finance and provision. *Oxford Review of Economic Policy*, 5(1), 34–59.

Culyer A. J. (1992) The morality of efficiency in health care—some uncomfortable implications. *Health Economics*, 1(1) ,7–18.

Culyer A. J. (1997). Maximising the health of the whole community: The case. En B. New. (Ed.). *Rationing: talk and action in health care*. London: King's Fund and British Medical Journal Publishing.

Dolan, P. (1998). The measurement of individual utility and social welfare. *Journal of Health Economics*, 17(1), 39–52.

Dolan P., Cookson R. & Ferguson B. (1999). Effect of discussion and deliberation on the public's views of priority setting in health care: Focus group study. *British Medical Journal*, 318(7188), 916–919.

Dolan P. & Cookson R. (2000). A qualitative study of the extent to which health gain matters when choosing between groups of patients. *Health Policy*, 51(1),19–30.

Dolan P., Edlin R. & Tsuchiya A. (2008). *The relative societal value of health gains to different beneficiaries*. Recuperado de http://www.pcpoh.bham.ac.uk/publichealth/methodology/projects/RM03_JH11_PD.shtml.

Dolan P. & Green C. (1998). Using the person trade-off approach to examine differences between individual and social values. *Health Economics*, 7(4), 307–322.

Dolan P. & Olsen J.A. (2001). Equity in health: the importance of different health streams. *Journal of Health Economics*, 20(5), 823-834.

Dolan P. & Shaw R. (2003). A note on the relative importance that people attach to different factors when setting priorities in health care. *Health Expectations*, 6(1), 53-59.

Dolan P., Shaw R., Tsuchiya A. & Williams A. (2005). QALY maximisation and people's preferences: a methodological review of the literature. *Health Economics*, 14(2), 197–208.

Dolan P. & Tsuchiya A. (2005). Health priorities and public preferences the relative importance of past health experience and future health prospects. *Journal of Health Economics*, 24(4), 703–714.

Dolan, P. & Tsuchiya, A. (2006). The elicitation of distributional judgements in the context of economic evaluation. En Andrew M. Jones (Ed.), *The Elgar Companion to Health Economics*. Cheltenham, UK: Edward Elgar Publishing Limited.

Dolan P. & Tsuchiya A. (2006). Severity of illness and priority setting: worrisome criticism of inconvenient finding? – a reply to Erik Nord. *Journal of Health Economics*, 25(1), 173–174.

Dolan P. & Tsuchiya A. (2010). Determining the parameters in a social welfare function using stated preference data: an application to health. *Applied Economics*, 43(18), 2241-2250.

Drummond M. F., Sculpher M. J., Torrance G. W., O'Brien B. J. & Stoddart G. L. (2005). *Methods for the economic evaluation of healthcare programmes*. Oxford: Oxford University Press.

Edlin R., Round J., McCabe C., Schulpher M., Claxton K. & Cookson R. (2008). Cost-effectiveness analysis and ageism: a review of the theoretical literature. Leeds: Leeds Institute of Health Sciences. Recuperado de <http://www.its-services.co.uk/silo/files/costeffectiveness-analysis-and-ageism-a-review-of-the-theoretical-literature.pdf>.

Edlin R, Tsuchiya A, Dolan P. (2009). Measuring the societal value of lifetime health. Sheffield: University of Sheffield. Department of Economics. <http://eprints.whiterose.ac.uk/10006/1/SERPS2009010.pdf>

Edwards R. T., Boland A., Wilkinson C., Cohen D. & Williams J. Choosing explicit criteria for the prioritisation of elective NHS waiting lists: survey evidence of clinical and lay preferences from Wales. Presentado en el *Health Economists' Study Group Conference*, Birmingham, University of Birmingham, (1999, enero).

Food and Drug Administration. Orphan drug act (Public Law 97-414, as amended). [<http://www.fda.gov/RegulatoryInformation/Legislation/FederalFoodDrugandCosmeticActFDCAAct/SignificantAmendmentstotheFDCAAct/OrphanDrugAct/default.htm>]

Green C. (2009). Investigating public preferences on 'severity of health' as a relevant condition for setting healthcare priorities. *Social Science and Medicine*, 68(12), 2247-55.

Green C. & Gerard K. (2009). Exploring the social value of health-care interventions: a stated preference discrete choice experiment. *Health Economics*, 18(8), 951-976.

Gyrd-Hansen D. (2004). Investigating the social value of health changes. *Journal of Health Economics*, 23(6), 1101-1116.

- Gyrd-Hansen D. & Kristiansen I. S. (2008). Preferences for 'life-saving' programmes: Small for all or gambling for the prize? *Health Economics* 17(6), 709-720.
- Hadorn, D. C. (1991). Setting health care priorities in Oregon: Cost-effectiveness meets the rule of rescue. *Journal of the American Medical Association*, 265(17), 2218-2225.
- Harris J. (1987). QALYfying the value of life. *Journal of Medicine Ethics*, 13(3), 117-123.
- Holmes A. M. (1997). A method to elicit utilities for interpersonal comparisons. *Medical Decision Making*, 17(1), 10-20.
- Hughes D.A., Tunnage B. & Yeo S.T. (2005). Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding?. *Quarterly Journal of Medicine*, 98(11), 829-836.
- Jenni K.E. & Loewenstein G. (1997). Explaining the identifiable victim effect. *Journal of Risk and Uncertainty*, 14(3), 35-57.
- Johannesson M. & Johannesson P. O. (1996). The economics of ageing: on the attitude of Swedish people to the distribution of health care resources between the young and the old. *Health Policy*, 37(3), 153-161.
- Johannesson M. & Johansson P. O. (1997). Is the valuation of a QALY gained independent of age? Some empirical evidence. *Journal of Health Economics*, 16(5), 585-599.
- Johansson-Stenman O. & Martinsson P. (2008) Are some lives more valuable? An ethical preferences approach. *Journal of Health Economics*, 27(3), 739-752.
- Jonsen A. R. (1986) Bentham in a box: technology assessment and health care allocation. *Law and Medicine in Health Care*, 14(3-4), 172-174.
- Kappel K. & Sandoe P. (1992). QALYs, age and fairness. *Bioethics*, 6(4), 297-316.

Le Grand J. (1991) The distribution of health care revisited: a commentary on Wagstaff, van Doorslaer and Paci, and O'Donnell and Propper. *Journal of health economics*, 10 (2), 239-245.

Le Grand J. (1996). Equity, efficiency and the rationing of health care. En A. Culyer & A. Wagstaff (Eds.), *Reforming health care systems: Experiments with the NHS*. Cheltenham: Edward Elgar.

Lewis P.A., Charny M. (1989) Which of two individuals do you treat when only their ages are different and you can't treat them both? *Journal of Medical Ethics*, 15(1), 28–32.

Lindholm L., Rosen M. & Emmelin M. (1998). How many lives is equity worth? A Proposal for equity adjusted years of life saved. *Journal of Epidemiology and Community Health*, 52(12), 808–11.

Maestad O. & Norheim O. F. (2009). Eliciting people's preferences for the distribution of health: A procedure for a more precise estimation of distributional weights. *Journal of Health Economics*, 28(3), 570-77.

McCabe C., Claxton K. & Tsuchiya A. (2005). Orphan Drugs and the NHS: should we value rarity?. *British Medical Journal*, 331(7523), 1016–1019.

McCabe C., Tsuchiya A., Claxton K. & Raftery J. (2006) Orphan drugs revisited. *Quarterly Journal of Medicine*, 99(5), 341-345

McKie J. & Richardson J. (2003). The rule of rescue. *Social Science Medicine*, (56), 2407–2419.

Mentzakis E., Stefanowska P. & Hurley J. (2011). A Discrete Choice Experiment Investigating Preferences for Funding Drugs Used to Treat Orphan Diseases. *Health Economics, Policy & Law*, 6(3), 405-433.

Mooney G., Jan S. & Wiseman V. (1995). Examining preferences for allocating health gains. *Health Care Analysis*, 3(3), 261–265.

Mossialos E. & King D. (1999) Citizens and rationing: analysis of a European survey. *Health policy*, 49(1), 75-135.

Murray C. J. L. & Acharya A. K. (1997). Understanding DALYs. *Journal of Health Economics*, 16(6), 703–730.

NCPH Norwegian Commission for prioritising in healthcare (1987). *Guidelines for prioritising in healthcare*. Oslo: Universitetsforlaget.

Neuberger J., Adams D., MacMaster P., Maidment A. & Speed M. (1998). Assessing priorities for allocation of donor liver grafts: survey of public and clinicians. *British Medical Journal*, 317(7152), 172–175.

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2004a). *NICE Citizens Council Report. Ultra Orphan Drugs*. London: NICE. Recuperado de http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/Citizens_Council_Ultraorphan.pdf.

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2004b). *NICE Citizens Council Report on Age*. London: NICE. Recuperado de http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/Citizenscouncil_report_age.pdf.

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2006a). *NICE Citizens Council Report. Rule of Rescue*. London: NICE. Recuperado de http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/Rule_of_rescue_report_final_0606.pdf

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2006b). *NICE Citizens Council Report. Inequalities in health*. London: NICE. Recuperado de <http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/CitizensCouncilHealthInequalitiesReport0806.pdf>

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2008a). *NICE Citizens Council Report: Quality Adjusted Life Years (QALYs) and the severity of illness*. London: NICE. Recuperado de <http://www.nice.org.uk/getinvolved/patientandpublicinvolvement/opportunitiestogetinvolved/citizenscouncil/reports/reports.jsp>.

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2008b). *Social value judgements: principles for the development of NICE guidance (2a ed.)*. London: NICE. Recuperado de <http://www.nice.org.uk/media/C18/30/SVJ2PUBLICATION2008.pdf>

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence (2009). *Appraising life-extending, end of life treatments*. London: NICE. Recuperado de <http://www.nice.org.uk/media/88A/F2/SupplementaryAdviceTACEoL.pdf>

Nord E. (1991). The validity of a visual analogue scale in determining social utility weights for health states. *The International Journal of Health Planning and Management*, 6(3), 234–242.

Nord E. (1993a). The trade-off between severity of illness and treatment effect in cost–value analysis of health-care. *Health Policy*, 24(3), 227–238.

Nord E. (1993b). Health politicians do not wish to maximize health benefits (original in Norwegian). *Journal of the Norwegian Medical Association*, 113(11), 1371–3.

Nord E. (1993c). The relevance of health state after treatment in prioritizing between patients. *Journal of Medical Ethics*, 19(1), 37–42.

Nord E. (1995). The person trade-off approach to valuing health outcomes. *Medical Decision Making*, 15(3), 201–208.

Nord E. (1996). Health status index models for use in resource allocation decisions. *International Journal of Technology Assessment of Health Care*, 12(1), 31–44.

Nord, E., (1999). *Cost–Value Analysis in Health Care*. Cambridge, Cambridge University Press.

Nord, E. (2005). Concerns for the worse off: Fair innings versus severity. *Social Science and Medicine*, 60(2), 257–263.

Nord E. (2006). Severity of illness and priority setting: worrisome lack of discussion of surprising finding. *Journal of Health Economics*, 25(1), 170–172.

Nord E., Daniels N. & Kamlet M. (2009). QALYs: some challenges. *Value in Health*, 12(Suppl. 1), S10–S15.

Nord E., Enge A. U. & Gundersen V. (2010). QALYs: is the value of treatment proportional to the size of the health gain?. *Health Economics*, 19(5), 596–607.

Nord E., Pinto J. L., Richardson J., Menzel P. & Ubel P. (1999). Incorporating societal concerns for fairness in numerical valuations of health programmes. *Health Economics*, 8(1), 25–39.

Nord E., Richardson J. & Macarounas-Kirchmann K. (1993). Social evaluation of health care versus personal evaluation of health states. Evidence on the validity of four health-state scaling instruments using Norwegian and Australian surveys. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 9(4), 463-78.

Nord E., Richardson J., Street A., Kuhse H. & Singer P. (1995) Maximizing health benefits vs egalitarianism: an Australian survey of health issues. *Social Science and Medicine*, 41(10), 1429–1437.

Nord E., Street A., Richardson J., Kushe H. & Singer P. (1996). The significance of age and duration of effect in social evaluation of health care. *Health Care Analysis*, 4(2), 103–111.

Norman R. P. & Gallego G. (2008). Equity weights for economic evaluation: An Australian Discrete Choice Experiment (CHERE Working Paper 2008/5). Sydney: University of Technology, Centre for Health Economics Research and Evaluation. Recuperado de <http://ideas.repec.org/p/her/chewps/2008-5.html>.

Oddsson K. (2003). Assessing attitude towards prioritizing in healthcare in Iceland. *Health Policy* 66(2), 135-46.

Olsen J. A. (1994) Persons vs years: Two ways of eliciting implicit weights. *Health Economics*, 3(1), 39-46.

Olsen J. A. (2000). A note on eliciting distributive preferences for health. *Journal of Health Economics*, 19(4), 541-550.

Olsen J. A. & Richardson J. (1998). Priority setting in the public health service: Results of an Australian survey (Technical Report 9). Melbourne: Monash University, Centre for Health Program Evaluation. Recuperado de <http://www.buseco.monash.edu.au/centres/che/pubs/tr9.pdf>.

Olsen J. A., Richardson J., Dolan P. & Menzel P. (2003). The moral relevance of personal characteristics in setting health care priorities. *Social Science and Medicine*, 57(7), 1163–1172.

Ong K. S., Kelaher M. & Carter R. (2009). A cost-based equity weight for use in the economic evaluation of primary health care interventions: case study of the Australian Indigenous population. *International Journal for Equity in Health*, 8(1).

Ottersen T., Mbilinyi D., Mæstad O. & Norheim O. F. (2008). Distribution matters: equity considerations among health planners in Tanzania. *Health Policy*, 85(2), 218–227.

Palmer S. & Smith P. (2000). Incorporating option values into the economic evaluation of health care technologies. *Journal of Health Economics*, 19(5), 755–766.

PBAC Pharmaceutical Benefit Advisory Committee (2008). *Guidelines for preparing submissions to the Pharmaceutical Benefit Advisory Committee* (version 4.3). Canberra: PBAC. Recuperado de [http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/content/AECB791C29482920CA25724400188EDB/\\$File/PBAC4.3.2.pdf](http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/content/AECB791C29482920CA25724400188EDB/$File/PBAC4.3.2.pdf).

Philipson T.J., Becker G., Goldman D. & Murphy K. M. (2010). *Terminal care and the value of life near its end* (NBER Working Paper 15649). Cambridge: National Bureau of Economic Research. Recuperado de <http://www.nber.org/papers/w15649>

Pinto-Prades J. L. (1997). Is the person trade-off a valid method for allocating health care resources? *Health Economics*, 6(1), 71–81.

Raftery J. (2009). NICE and the challenge of cancer drugs. *British Medical Journal*, 338:b67. doi: 10.1136/bmj.b67

Ratcliffe J. (2000). The use of conjoint analysis to elicit willingness-to-pay values: Proceed with caution. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16 (1), 270-275.

Ratcliffe J., Brazier J., Tsuchiya A., Symonds T., & Brown M. (2009). Using DCE and ranking data to estimate cardinal values for health states for deriving a preference-based single index from the sexual quality of life questionnaire. *Health Economics*, 18(11), 1261-76

Rawls J. (1972). *A theory of justice*. Oxford: Oxford University Press.

Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2000_141/reg_2000_141_en.pdf

Richardson J. & McKie J. (2005). Empiricism, ethics and orthodox economic theory: what is the appropriate basis for decision-making in the health sector?. *Social Science and Medicine*, 60(2), 265–275.

Richardson J. & McKie J. (2007). Economic evaluation of services for a National Health Scheme: the case for a fairness-based framework. *Journal of Health Economics*, 26(4), 785-799.

Richardson J., McKie J., Peacock S. & Iezzi A. (2011). Severity as an Independent Determinant of the Social Value of a Health Service. *European Journal of Health Economics*, 12(2), 163-174.

Roberts T., Bryan S., Heginbotham C. & McCallum A. (1999). Public involvement in health care priority setting: An economic perspective. *Health Expectations*, 2(4), 235-244.

Rodriguez, E. & Pinto, J. L. (2000). The social value of health programmes: is age a relevant factor?. *Health Economics*, 9(7), 611–621.

Rodriguez-Miguez E. & Pinto-Prades J. L. (2002). Measuring the social importance of concentration or dispersion of individual health benefits. *Health Economics*, 11(1), 43–53.

Roemer, J. (1997). Equality of Opportunity: A Theory and Examples. *American Economic Review*, 87.

Ryynänen O.P., Myllykangas M., Kinnunen J. & Takala J. (1999). Attitudes to health care prioritisation methods and criteria among nurses, doctors, politicians and the general public. *Social Science and Medicine*, 49(11), 1529–39.

Sassi F., Archard L. & Le Grand J. (2001) Equity and the economic evaluation of healthcare. *Health Technology Assessment*, 5 (3), 1-138.

Schöne-Seifert B. (2009). The 'Rule of Rescue' in Medical Priority Setting: Ethical Plausibilities and Implausibilities. *Rationality, Markets and Moral*, 0: 421-430.

Schwappach D. L. B. (2002a). Resource allocation, social values and the QALY: a review of the debate and empirical evidence. *Health Expectations*, 5(3), 210–222.

Schwappach D. L. B. (2002b). The equivalence of numbers: The social value of avoiding health decline: An experimental web-based study. *BMC Medical Informatics and Decision Making*, 2(1).

Schwappach D.L. (2003). Does it matter who you are or what you gain? An experimental study of preferences for resource allocation. *Health Economics*, 12(4), 255–267.

Schwappach D. L. B. (2007). The economic evaluation of prevention – Let's talk about values and the case of discounting. *International Journal of Public Health*, 52(6), 335-336.

Schwappach D. L. & Strasmann T. J. (2006). Quick and dirty numbers? The reliability of a stated-preference technique for the measurement of preferences for resource allocation. *Journal of Health Economics*, 25(3): 432–448.

Shah K. K. (2009). Severity of illness and priority setting in healthcare: A review of the literature. *Health Policy*, 93(2-3), 77-84.

Shmueli A. (1999). Survival vs. quality of life: a study of the Israeli public priorities in medical care. *Social Science and Medicine*, 49(3), 297-302.

Skrabanek, P. (1994). *The death of humane medicine and the rise of coercive healthism*. Suffolk, United Kingdom: The Social Affaris Unit, St. Edmundsbury Press.

SPPC Swedish Parliamentary Priorities Commission (1995). *Priorities in health care: ethics, economy, implementation*. Stockholm: SPPC.

Stolk E. A, van Donselaar G., Brouwer W. B. F. & Busschbach J. J. V. (2004). Reconciliation of economic concerns and health policy: illustration of an equity

adjustment procedure using proportional shortfall. *Pharmacoeconomics*, 22(17), 1097–1107.

Stolk E. A., Pickee S. J., Ament A. H. J. A. & Busschback J. J. V. (2005) Equity in healthcare prioritisation: an empirical inquiry into social value. *Health Policy*, 74(3), 343–355.

Tappenden P., Brazier J., Ratcliffe J. & Chilcott J. (2007). A stated preference binary choice experiment to explore NICE decision making. *Pharmacoeconomics*, 25(8), 685-93.

Teerawattananon Y. & Russell S. (2008). The greatest happiness of the greatest number? Policy actors perspectives on the limits of economic evaluation as a tool for informing health care coverage decisions in Thailand. *BMC Health Services Research*, 8(1), 197.

Tsuchiya A. (1999). Age-related preferences and age weighting health benefits. *Social Science and Medicine*, 48(2), 267–276.

Tsuchiya A. (2001). *The Value of Health at Different Ages* (Discussion Paper 184). York: University of York, Centre for Health Economics. Recuperado de <http://www.york.ac.uk/media/che/documents/papers/discussionpapers/CHE%20Discussion%20Paper%20184.pdf>

Tsuchiya A. & Dolan P. (2007). Do NHS clinicians and members of the public share the same views about reducing inequalities in health?. *Social Science and Medicine*, 64(12), 2499-2503

Tsuchiya A. & Dolan P. (2009). Equality of what in health? Distinguishing between outcome egalitarianism and gain egalitarianism. *Health Economics*, 18(2), 147-159.

Ubel P. A. (1999). How stable are people's preferences for giving priority to severely ill patients?. *Social Science and Decision Making*, 49(7), 895–903.

Ubel Peter A. (2000). *Pricing Life: Why It's Time for Health Care Rationing*. Cambridge, Mass.: MIT Press.

Ubel P.A., Dekay M.L. & Asch D.A. (1998). Public preferences for prevention versus cure: what if an ounce of prevention is worth only an ounce of cure?. *Medical Decision Making*, 18(2), 141–148.

Ubel P. A., Loewenstein G., Scanlon D. & Kamlet M. (1996). Individual utilities are inconsistent with rationing choices: a partial explanation of why Oregon's cost-effectiveness list failed. *Medical Decision Making*, 16(2), 108–116.

Ubel P., Richardson J. & Pinto-Prades J. L. (1999). Life-saving treatments and disabilities. Are all QALYs created equal?. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 15(4), 738–748.

Wagstaff, A. (1991). QALYs and the equity-efficiency trade-off. *Journal of Health Economics*, 10(1), 21–41.

Weinstein M. (1988). A QALY is a QALY is a QALY – or is it?. *Journal of Health Economics*, 7(3), 489-491.

Williams A. (1988). Ethics and efficiency in the provision of health care. In M. Bell & S. Mendus (Eds.), *Philosophy and Medical Welfare*. Cambridge: Cambridge University Press.

Williams A. (1997). Intergenerational equity: an exploration of the “fair innings” argument. *Health Economics*, 6(2), 117–132.



9 788496 990883

Precio: 10 €