

PROYECTO

REMMando

**REFLEXIÓN ESTRATÉGICA PARA EL
ABORDAJE INTEGRAL DEL MIELOMA
MÚLTIPLE EN RECAÍDA Y REFRACTARIO
EN ESPAÑA**

PROYECTO

REMMando

REFLEXIÓN ESTRATÉGICA PARA EL ABORDAJE INTEGRAL DEL MIELOMA MÚLTIPLE EN RECAÍDA Y REFRACTARIO EN ESPAÑA

Septiembre 2021

Realizado por:

weber Fundación
weber

Con la colaboración de:

Sin Límites
Avances para todos en Mieloma Múltiple

SANOFI GENZYME 

AUTORES:

Renata Villoro

Fundación Weber

María Merino

Weber

Susana Cristo Anzola

Weber

Álvaro Hidalgo-Vega

Profesor Titular de la UCLM y presidente de la Fundación Weber

Begoña Barragán García

Presidenta de AEAL, Asociación Española de Afectados por Linfoma, Mieloma y Leucemia

Javier de la Rubia

Servicio de Hematología y Hemoterapia del Hospital Universitario y Politécnico La Fe de Valencia

Olga Delgado Sánchez

Presidenta de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)

María Victoria Mateos

Coordinadora de la Unidad de Mieloma del Hospital Universitario de Salamanca

Estela Moreno

Coordinadora del Grupo de Farmacia Oncológica de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Gedefo-SEFH) y Adjunta al Servicio de Farmacia. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau de Barcelona

Albert Oriol Rocafiguera

Servicio de Hematología Clínica del Hospital Germans Trias i Pujol de Badalona

Teresa Regueiro López

Presidenta de la Comunidad Española de Pacientes con Mieloma Múltiple (CEMMP)

Rafael Ríos Tamayo

Jefe de Sección de Hematología del Hospital Universitario Virgen de las Nieves de Granada

Félix Rubial Bernárdez

Gerente del Área Sanitaria de Ourense, Verín e O Barco de Valdeorras

José Luis Trillo Mata

Responsable del Servicio de Farmacia de Área de Salud del Departamento Clínico Malvarrosa de Valencia

EDITA:

Fundación
weber

© Fundación Weber

C/ Moreto, 17

28014 Madrid (España)

email: marta.mendez@weber.org.es

ISBN: 978-84-122101-7-0

D.L.: M-23055-2021

DOI: <https://doi.org/10.37666/L13-2021>

Impreso en Madrid, agosto 2021

PROLOGO	5
ABREVIATURAS	7
RESUMEN EJECUTIVO	8
INTRODUCCIÓN	10
METODOLOGÍA	11
RESULTADOS	12
PROCESO ASISTENCIAL EN EL MANEJO DEL MMRR	12
Pacientes con MM de nuevo diagnóstico	12
Pacientes en recaída o refractarios (MMRR)	13
Importancia de la calidad de vida en la valoración clínica del paciente de MMRR	14
Conveniencia de tener un equipo interdisciplinar para la atención del MMRR	15
Vías y gestión de comunicación entre diferentes servicios hospitalarios	16
TERAPIA FARMACOLÓGICA	18
Enfermedad Mínima Residual como factor de decisión de estrategia terapéutica en líneas más tempranas	19
Retos actuales en las terapias de rescate en pacientes refractarios a la lenalidomida	20
Elementos de decisión terapéutica y nuevas combinaciones	21
Acceso a innovación farmacéutica para MMRR	22
Acceso de pacientes con MMRR a ensayos clínicos	22
Enfermedad Mínima Residual como objetivo primario en ensayos clínicos	23
Participación del paciente en la estrategia terapéutica	23
Comunicación de la estrategia terapéutica entre el Servicio de Hematología y el de Farmacia Hospitalaria	24
SERVICIOS DE APOYO	25
Servicios de apoyo al paciente dentro y fuera del SNS	25
Servicios de apoyo para la medición de la EMR y de la citogenética adversa	26
Servicios paliativos	27
COMUNICACIÓN ENTRE PROFESIONALES SANITARIOS Y PACIENTES	30
Comunicación médico-paciente	30
Comunicación remota médico-paciente	31
RESULTADOS EN SALUD	32
Resultados en salud desde la perspectiva del paciente	32
Herramientas para recoger resultados en salud objetivos	32
SOSTENIBILIDAD DEL SISTEMA SANITARIO	35
Desigualdades en el acceso a terapias farmacológicas y pruebas diagnósticas entre CC.AA. y dentro de las mismas	36
Condiciones especiales de financiación	38
Innovación terapéutica e informes de posicionamiento terapéutico al margen de la aprobación europea	39
IMPACTO DE LA COVID-19	43
CONCLUSIONES Y RECOMENDACIONES	45
REFERENCIAS	47

Una atención sanitaria pública de excelencia, humana y sostenible, como la que perseguimos en nuestro sistema sanitario, requiere en gran medida de que encontremos espacios donde reflexionar conjuntamente y con detenimiento sobre aquellos aspectos que podemos mejorar. Esto es aún más importante cuando pretendemos mejorar el abordaje de ciertas enfermedades crónicas graves que pueden ser devastadoras para los pacientes y sus familias, y que además ocasionan un alto impacto en la sostenibilidad del sistema. Este es el caso del mieloma múltiple, un cáncer hematológico todavía incurable que, en la gran mayoría de los casos, evoluciona con episodios de recaída y refractariedad a las terapias actualmente disponibles.

A día de hoy, el mieloma múltiple en recaída y refractario (MMRR) constituye un verdadero reto para el sistema sanitario y para todas las personas involucradas en su manejo. A pesar de que en los últimos años los avances terapéuticos han hecho que la supervivencia global de los pacientes se incremente, el impacto de los síntomas asociados a la enfermedad en la calidad de vida de las personas sigue siendo muy alto.

¿Qué podemos hacer para otorgar a los pacientes de MMRR una atención de máxima calidad y calidez en todos los aspectos, terapéuticos y humanos, que sea sostenible para el sistema y pueda perdurar en el tiempo? Esta es la pregunta fundamental de la que surge el proyecto REMMando: Reflexión Estratégica para el abordaje integral del Mieloma Múltiple en recaída y refractario en España.

A través de entrevistas en profundidad realizadas de manera individual, REMMando recoge la visión y las reflexiones de diez expertos de indudable prestigio, que representan a los grupos de interés mayormente implicados en la atención sanitaria de las personas que viven con MMRR: hematología, farmacia, gestión sanitaria y, por supuesto, pacientes. A través de un análisis reflexivo, minucioso e inteligente, estos expertos exponen la problemática y los retos actuales, tanto clínicos como de gestión y organización de los cuidados, que enfrentan en su día a día los pacientes de MMRR y los profesionales dedicados al abordaje de esta enfermedad en nuestro país. El presente documento integra, así, las distintas visiones en torno a aspectos clave en el abordaje de esta enfermedad, agrupándolos en siete áreas concretas de actuación, que van desde la organización de la asistencia hasta el acceso a los tratamientos innovadores, pasando indispensablemente por la inclusión de la perspectiva del paciente en la toma de decisiones, y analizando todo ello bajo el paradigma de la asistencia sanitaria basada en valor. En definitiva, todos ellos exponen desde su experiencia, las necesidades no cubiertas en MMRR y cómo se puede aportar valor para los pacientes, los profesionales, el sistema, y la sociedad en su conjunto.

De esta manera encontramos en el texto reflexiones acerca de la innovación en los tratamientos no solo orientada al aumento de la supervivencia, sino a la mejora de la calidad de vida de los pacientes, y de la innovación en técnicas de inteligencia artificial para la detección temprana de las recaídas o del diagnóstico preciso de la enfermedad residual. El consenso es evidente en la necesidad de un abordaje multidisciplinar y en la necesidad de asegurar los cuidados paliativos desde el inicio, para el control del síntoma más frecuente y que más impacta en la calidad de vida en todo el proceso de la enfermedad, que es el dolor, así como la importancia de llevar a cabo una toma de decisiones compartida con el paciente, fomentando su autonomía y facilitando la orientación a los resultados

que más importan a éste, aspecto en el que todos los expertos coinciden. La participación de los pacientes en el documento lo enriquece, precisamente poniendo de manifiesto que los principios y valores de cada persona, y el conocimiento de la enfermedad que el paciente tiene y que proviene de su experiencia, han de ser tenidos en cuenta para la toma de decisiones clínicas. Los pacientes nos orientan la mirada al impacto emocional que también provoca la enfermedad, sobre todo en momentos clave como es una recaída y la frustración subsiguiente, o la esperanza sentida cuando existe la posibilidad de un nuevo abordaje terapéutico. Aparecen así en el documento, aspectos ligados a dimensiones de la humanización, como son la comunicación, el acompañamiento, la empatía, la comprensión, la información, la atención en cercanía o el empoderamiento, al lado de otros aspectos organizativos o asistenciales, como la necesaria estandarización de los protocolos, el acceso ágil a las nuevas terapias o la monitorización de los resultados en vida real, y la orientación a resultados en salud, para alcanzar la equidad y facilitar la sostenibilidad del sistema.

Este documento de consenso, pone de manifiesto que no basta con poner el foco en los mecanismos de acceso a las innovaciones terapéuticas, sino que ha de ponerse el foco en los resultados, a través de datos integrados en los sistemas de información sanitarios, y que estos resultados han de incluir necesariamente aquéllos que más valoran los pacientes, que tienen que ver con la calidad de vida, y así acercarnos a nuevas modalidades de financiación y pago por resultados, que contribuyan a la equidad en el acceso.

No puede faltar en un contexto pandémico como en el que nos encontramos la reflexión acerca del impacto que ha tenido la pandemia sobre los pacientes con MMRR y sobre el propio sistema sanitario, y el aprendizaje al que ello nos obliga.

Tras el análisis, los expertos proponen acciones concretas orientadas a las necesidades no cubiertas enunciadas, que pueden servir de guía para definir la estrategia y que las administraciones sanitarias a todos los niveles se impliquen en desarrollar las acciones correspondientes a seguir en la mejora del abordaje asistencial de la enfermedad, pero, sobre todo, de la calidad de vida de las personas que sufren MMRR. Es precisamente esto último lo que nos ha de impulsar como profesionales, como gestores, y como instituciones sanitarias. Si pretendemos aportar valor a los pacientes, a los profesionales y a la sociedad en su conjunto, en este documento encontraremos claves para ello.

Dra. Paloma Casado Durández

Responsable de Humanización, Hospital Clínico San Carlos

ABREVIATURA	DESCRIPCIÓN
AE	Atención especializada
AEAL	Asociación Española de Afectados por Linfoma, Mieloma y Leucemia
AEMPS	Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios
AP	Atención primaria
CC.AA.	Comunidades Autónomas
CEMMP	Comunidad Española de Pacientes con Mieloma Múltiple
CVRS	Calidad de vida relacionada con la salud
EGCH	Enfermería gestora de casos hospitalaria
EMA	<i>European Medicines Agency</i>
EMR	Enfermedad mínima residual
HCE	Historia clínica electrónica
IPT	Informe de posicionamiento terapéutico
MM	Mieloma Múltiple
MMRR	Mieloma Múltiple en Recaída y Refractario
MSCBS	Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social
RWD	<i>Real World Data</i>
SEHH	Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia
SLP	Supervivencia Libre de Progresión
SNS	Sistema Nacional de Salud

RESUMEN EJECUTIVO



INTRODUCCIÓN

El mieloma múltiple (MM) es un cáncer hematológico incurable que se presenta de forma más frecuente en personas por encima de los 65 y que afecta de manera negativa la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) de quienes la padecen. Los pacientes pueden necesitar diferentes tratamientos debido a recaídas o progresión de la enfermedad. La innovación en terapia farmacológica de los últimos 20 años ha permitido alcanzar tratamientos más eficaces y mejorar la supervivencia global de estos pacientes.

El objetivo de este proyecto es reunir las opiniones de representantes de diferentes agentes involucrados en el manejo del Mieloma Múltiple en Recaída y Refractario (MMRR), para revisar el abordaje actual de esta patología, identificar las áreas de mejora, y generar un documento de consenso con recomendaciones orientadas a un manejo más integral de la misma.

METODOLOGÍA

Se realizaron entrevistas en profundidad siguiendo un guion estructurado, a 10 expertos en el campo del MMRR (hematología, farmacia hospitalaria, gestión sanitaria y asociaciones de pacientes), para la recolección y el análisis de datos cualitativos sobre el manejo de la enfermedad en 7 áreas: proceso asistencial, terapia farmacológica, servicios de apoyo, comunicación sanitario-paciente, resultados en salud, sostenibilidad del sistema sanitario, e impacto de la COVID-19.

RESULTADOS

Hubo consenso entre los expertos sobre las siguientes recomendaciones para conseguir un abordaje más integral del MMRR:

RESUMEN EJECUTIVO

Proceso asistencial: Aumentar las capacidades de especialidades distintas a hematología para el diagnóstico precoz del MM; facilitar la integración de los servicios socio-sanitarios; promover el abordaje multidisciplinar de la enfermedad; e instituir una figura de enlace entre los servicios hospitalarios para mejorar la atención integral al paciente.

Terapia farmacológica: Continuar trabajando en nuevas combinaciones terapéuticas para fases tempranas de la recaída; estandarizar la obtención de la enfermedad mínima residual (EMR) y seguir investigando su potencial como criterio de decisión terapéutica; determinar con más estudios la correlación entre la EMR y la supervivencia global para poder usarla como objetivo primario en ensayos clínicos; y disponer de evidencia científica de estudios en fase III para negociar la financiación de nuevas terapias.

Servicios de apoyo: Estandarizar la existencia y el acceso de unidades de cuidados paliativos y de control del dolor para pacientes con MMRR, así como el acceso a cuidados paliativos domiciliarios; elaborar un protocolo nacional que unifique los criterios clínicos para referir a un paciente con MMRR a cuidados paliativos.

Comunicación sanitario-paciente: Desarrollar guías de comunicación normalizada con el paciente de MM; desarrollar talleres de comunicación dirigidos a las generaciones de sanitarios más jóvenes; y regular las llamadas para poder considerarlas como un acto clínico.

Resultados en Salud: Formar e involucrar a enfermería y a farmacia hospitalaria en la recogida de resultados en salud; diseñar cuestionarios para ser rellenados por los cuidadores de pacientes mayores; estandarizar la codificación de los datos de las historias clínicas electrónicas (HCE) y la recogida de variables de eficacia y de mal pronóstico para mejorar el análisis y acelerar la generación de datos de *Real World Data* (RWD); facilitar el acceso a inteligencia artificial para el análisis de los datos de HCE a nivel de *Big Data*.

Sostenibilidad del Sistema Sanitario: Buscar EMR en líneas tempranas y prolongar los tratamientos más sencillos; estandarizar la ruta asistencial en primera y segunda línea; derivar a los pacientes de hospitales pequeños a un hospital con las especialidades que necesitan; y la posibilidad de que la industria farmacéutica negocie precios que se apliquen en todos los países europeos, a nivel nacional.

Impacto de la COVID-19: prevenir retrasos en los diagnósticos, la reducción de visitas hospitalarias imprescindibles, la interrupción de ensayos clínicos y el aumento de mortalidad por COVID-19 en pacientes con MMRR.

CONCLUSIONES

Para lograr un abordaje integral del MMRR y mejorar la calidad de vida de los pacientes es necesario contar con un equipo multidisciplinar e involucrar a todos los niveles de atención sanitaria. La formación y estandarización de los protocolos y vías de comunicación, así como la integración de lo sociosanitario, resultan imprescindibles. Es preciso agilizar los procesos burocráticos para la aprobación de nuevos fármacos y mejorar la calidad de los resultados en salud para generar RWD que pueda respaldar las negociaciones de financiación.

El mieloma múltiple (MM) es un cáncer hematológico que se caracteriza por la presencia de proteínas monoclonales en la sangre y/o en la orina¹. Se trata de un cáncer predominante en personas por encima de los 65 años de edad², quienes además pueden presentar otras comorbilidades a tener en cuenta para el manejo de la enfermedad, que se manifiesta comúnmente con dolor óseo, fracturas de los huesos, cansancio (debido a anemia), infecciones frecuentes tales como neumonías o infecciones de la zona urinaria, insuficiencia renal e hipercalcemia³. Debido a esto, el MM es una enfermedad que afecta de manera negativa la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) de quienes la padecen.

En 2018 se registraron un total de 159.985 nuevos casos de MM a nivel mundial (3.261 en España), y 106.105 decesos a consecuencia de esta enfermedad (2.114 en España), que equivalen al 1,1% de todas las muertes por cáncer en ese mismo año⁴. Las infecciones, además de ser una de las manifestaciones clínicas más importantes del MM, destacan por ser una de las principales causas de muerte, y se estima que son causantes de entre el 20% y el 30% de los fallecimientos^{5,6}.

En los últimos años ha habido avances significativos en el diagnóstico, pronóstico, tratamiento y evaluación de la respuesta al tratamiento del MM que han resultado en una mejora importante de las tasas de supervivencia⁷⁻⁹. No obstante, el MM sigue siendo una enfermedad incurable, en la que la mayoría de los pacientes presentan episodios de recaída o progresión de la enfermedad a lo largo de su evolución. Adicionalmente, la proporción de pacientes refractarios luego de un tratamiento con lenalidomida y/o un inhibidor del proteosoma ha ido en aumento, y se espera que esta tendencia continúe. Por estas razones, además de impactar gravemente en la CVRS de los pacientes y sus familias, el MM impone una carga económica considerable al sistema sanitario, en gran parte como consecuencia de los avances terapéuticos de los últimos años^{8,9}. La actitud terapéutica de rescate en las sucesivas recaídas constituye entonces una parte fundamental en el tratamiento de esta enfermedad, ya que de ella depende el conseguir un mayor control, optimizar la CVRS de los pacientes, y hacer un uso eficiente y sostenible de los recursos sanitarios.

Este proyecto tiene por objetivo recabar la visión y las opiniones de diferentes agentes, representativos de sus colectivos, involucrados en el manejo del Mieloma Múltiple en Recaída y Refractario (MMRR), sobre la atención sanitaria actual, las necesidades no cubiertas de los pacientes, las prioridades de actuación, y el abordaje terapéutico de esta enfermedad en el Sistema Nacional de Salud (SNS) de España. En concreto, se pretende revisar, desde distintos puntos de vista, el manejo general de esta patología, su abordaje terapéutico actual y futuro, y generar un documento de consenso, con recomendaciones para mejorar el abordaje integral del MMRR.

Se llevaron a cabo entrevistas individuales y personales, mediante una plataforma virtual, a 10 expertos de relevancia en el campo del MMRR, a partir de un guion de preguntas estructurado y homogéneo para todos ellos.

El grupo de entrevistados incluyó: cuatro profesionales de hematología con importante trayectoria en el MM, dos expertos en farmacia hospitalaria, dos profesionales de gestión sanitaria regional; la presidenta de AEAL, Asociación Española de Afectados por Linfoma, Mieloma y Leucemia; y la presidenta de la Comunidad Española de Pacientes con Mieloma Múltiple (CEMMP) que además es paciente de MM.

La entrevista recabó la visión y opiniones de los expertos en siete áreas relacionadas con el manejo del MMRR:

1. PROCESO ASISTENCIAL
2. TERAPIA FARMACOLÓGICA
3. SERVICIOS DE APOYO
4. COMUNICACIÓN SANITARIO-PACIENTE
5. RESULTADOS EN SALUD
6. SOSTENIBILIDAD DEL SISTEMA SANITARIO
7. IMPACTO DE LA COVID-19

Las respuestas de los expertos fueron analizadas por tres investigadores expertos en análisis cualitativos y volcadas en una matriz de análisis de contenido para su revisión integral. Posteriormente, se agruparon las aportaciones de los entrevistados en términos del grado de consenso o de divergencia entre ellas. Finalmente, se procedió a elaborar un resumen detallado de los resultados para cada área relacionada con el manejo de los pacientes con MMRR, subrayando los puntos de consenso. Asimismo, para cada área, se resumieron los retos identificados por los expertos y las sugerencias para afrontarlos y mejorar la atención a los pacientes con MMRR.

Es importante subrayar que el conjunto de opiniones y recomendaciones recogidas en este documento no son el resultado de una discusión y puesta en común grupal. Todas las respuestas de los expertos fueron expresadas de manera personal e individual, sin conocimiento de las opiniones manifestadas por los demás entrevistados. De igual manera, a excepción de los representantes de pacientes, quienes participaron en este proyecto en nombre de sus asociaciones, las opiniones y recomendaciones de los entrevistados no necesariamente reflejan ni representan el sentir de los diferentes colectivos de profesionales involucrados en el manejo del MM en España.

PROCESO ASISTENCIAL EN EL MANEJO DEL MMRR

Con el fin de mejorar la calidad de vida de los pacientes de MM, entidades como la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) o las asociaciones de pacientes vinculadas al MM han recomendado un proceso asistencial multidisciplinar integrado, con una hoja de ruta única para cada paciente, garantizando equidad de información, tratamientos y recursos psicosociales^{10,11}.

Los entrevistados coincidieron en que, a día de hoy, no existe una ruta única en el proceso asistencial del paciente con MMRR.

Pacientes con MM de nuevo diagnóstico

La mayoría de los entrevistados resaltó las dificultades de unificar la ruta asistencial de los pacientes recién diagnosticados de MM debido a la alta variabilidad de las vías de llegada a la atención sanitaria (Figura), así como los distintos niveles de urgencia que presentan.

“A diferencia de otras enfermedades hematológicas, los problemas con el que puede debutar un mieloma son más variados”.

Albert Oriol, Hematólogo.



Hubo consenso en que, a pesar de las dificultades para diseñar una ruta única para pacientes de nuevo diagnóstico en MM, se puede mejorar el proceso reforzando y aumentando las capacidades para un diagnóstico precoz de la enfermedad. En este sentido, es importante trabajar para que las personas con sospecha de MM que entren al sistema sanitario por una vía que no sea el hematólogo, se encuentren con profesionales de otras especialidades u otros niveles de atención

con un nivel de formación en diagnóstico o sospecha de MM suficiente para que sean atendidos y diagnosticados lo antes posible. Esto es especialmente importante en Atención Primaria (AP), ya que suele ser la vía de entrada más frecuente.

Ahora bien, se reconoce que el colectivo de Medicina de Familia es muy heterogéneo y resulta complicado pedirle esfuerzos adicionales a la presión asistencial a la que se encuentra sometido. Por ende, se propone mejorar la sensibilización para el diagnóstico precoz del MM facilitando el acercamiento y los espacios de comunicación entre distintas especialidades y niveles de atención, para que los Médicos de Familia puedan referir a los pacientes a Atención Especializada (AE) en cuanto se tenga la sospecha de un MM.

“Hay que trabajar en ese sentido, sensibilizando a todos los colectivos, y que nuestras sociedades faciliten puntos de encuentro entre distintas especialidades para que nos pongamos de acuerdo [para poder diagnosticar un MM en cuanto sea posible]”.

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

Desde el punto de vista de una de las representantes de pacientes, uno de los elementos que ayudaría a lograr el diseño de una ruta única individualizada para pacientes de nuevo diagnóstico, sería promover la integración sociosanitaria, mejorando no solamente la comunicación entre los distintos niveles de atención sanitaria, sino la comunicación entre los servicios sociales y los sanitarios con respecto a la situación de cada paciente.

Pacientes en recaída o refractarios (MMRR)

En el caso de los pacientes en recaída, los entrevistados coincidieron en que el diseño de la ruta asistencial es más individualizado, entrando en consideración la experiencia, conocimientos y posibilidades de su médico. Al igual que en el caso de los pacientes debutantes, los participantes concuerdan en que detectar la recaída lo antes posible es fundamental para un mejor pronóstico. A partir de aquí, lo ideal es contar con criterios bien definidos, como la edad cronológica del paciente, su estado general, si presenta comorbilidades y qué nivel de control tiene, para definir:

- 1. QUÉ PACIENTES EN RECAÍDA DEBEN RECIBIR TRATAMIENTO, Y CUÁLES PODRÍAN NO NECESITAR TRATAMIENTO INMEDIATO SINO UN SEGUIMIENTO MUY ESTRECHO DE LA ENFERMEDAD.**
- 2. QUÉ TIPO DE PRUEBAS DE LABORATORIO Y DE IMAGEN SON NECESARIAS PARA CADA PACIENTE.**
- 3. EL TRATAMIENTO A SEGUIR, SEGÚN LOS FÁRMACOS QUE HA RECIBIDO EL PACIENTE HASTA ESE MOMENTO Y SUS RESULTADOS EN TÉRMINOS DE NIVEL DE TOXICIDAD Y EFICACIA.**

Aunque lo anterior, en teoría, es suficiente para que el médico cuente con toda la información necesaria para decidir la ruta de tratamiento para cada paciente, los expertos estuvieron de acuerdo en que en este punto la buena comunicación entre la asistencia social y la sanitaria es clave.

“Cuanto más conocimiento se tenga no solamente de la enfermedad, sino del paciente, de su ambiente, de cómo vive, de dónde vive, es decir, de sus características personales y su estilo de vida, mejor se podrá intentar individualizar, en la medida de lo posible, el tratamiento para cada paciente.”

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Sin embargo, los expertos también coincidieron en que, aunque se establezca una hoja de ruta única individualizada, las circunstancias en el camino de cada paciente pueden ir variando por distintas razones. Por ende, debería informársele al paciente que el tratamiento establecido podría cambiar con el tiempo, y que muchas veces es complicado mantener la ruta establecida en un principio.

“Es importante que el paciente sepa que tenemos que ser flexibles, y que lo que podemos pensar que es nuestro camino terapéutico puede cambiar: a lo mejor se abren nuevas alternativas que no teníamos en ese momento, o bien se descubre que el camino actual tiene asociadas toxicidades.”

Estela Moreno, Farmacéutica hospitalaria.

Importancia de la calidad de vida en la valoración clínica del paciente de MMRR

Todos los participantes coincidieron en que, según se han hecho disponibles más opciones de tratamiento y se ha ido prolongando la esperanza de vida, la calidad de vida del paciente ha venido cobrando mucha mayor importancia a la hora de valorarle clínicamente y establecer la estrategia terapéutica a seguir. En un pasado no tan lejano, la meta principal y casi única era la supervivencia global y, en general, los hematólogos estaban concentrados en lograr que el paciente viviera la mayor cantidad de tiempo posible, aunque fuese a costa de visitas constantes al hospital, ingresos repetidos y un tratamiento muy difícil.

“Antes, cuando hacíamos el diagnóstico de mieloma, sabíamos que la supervivencia global era corta y el paciente lo daba todo por intentar vivir lo más posible. Ahora esa ya no es la situación: los pacientes con mieloma pueden vivir muchos años, con lo cual ellos demandan también calidad de vida. Para ellos no es válido ofrecerles una supervivencia superior a diez años a costa de tener que estar unidos a un hospital de manera permanente y continua, o a costa de unos efectos adversos que no le permitan mantener una cierta calidad de vida”.

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Sin embargo, uno de los profesionales de hematología expresó preocupación acerca de que al hablar de calidad de vida se puedan confundir algunos factores. En su opinión, la toxicidad de un tratamiento no va en detrimento de la calidad de vida necesariamente, porque si el medicamento es eficaz terminará dándole al paciente más calidad de vida en el largo plazo. El riesgo que se corre es que se use el término “calidad de vida” para dar menos tratamiento del que realmente se puede dar.

“A mí me gusta diferenciar lo que es preservar la calidad de vida del paciente de lo que es darle un tratamiento poco tóxico. Son dos cosas que no tienen nada que ver. Un tratamiento más tóxico, si es más efectivo, acabará dando más calidad de vida. Un tratamiento poco tóxico, si es poco efectivo, acabará dando muy mala calidad de vida, porque el principal factor que influye en la calidad de vida del paciente es la enfermedad, no los tratamientos”.

Albert Oriol, Hematólogo.

Ambas representantes de pacientes afirmaron que para los pacientes es cada vez más importante el balance entre cantidad y calidad de vida. Coincidieron en que es importante que los pacientes se mantengan informados sobre qué tratamientos que limitan la calidad de vida son imprescindibles y cuáles no.

“La calidad de vida es muy importante. El paciente tiene que saber qué opciones tiene y hasta dónde puede llegar. Si un medicamento no tiene una función indispensable en el tratamiento, pero le está haciendo mucho daño, debe atreverse a plantear que le hace daño y si puede prescindir de él o no. En este sentido es importante que el paciente esté informado, porque algunos medicamentos son accesorios a los tratamientos y, si hacen daño, es posible dejarlos.”

Teresa Regueiro, paciente y representante de pacientes.

Conveniencia de tener un equipo interdisciplinar para la atención del MMRR

Entre las opiniones de los entrevistados existió un cierto grado de divergencia con respecto a la necesidad y conveniencia de conformar un equipo interdisciplinar para abordar el MMRR. Mientras una de las representantes de pacientes desearía la formalización de un equipo interdisciplinar que “arropase” a cada paciente, la otra representante expresó más seguridad en una ruta donde el hematólogo determine cada decisión y procedimiento, comunicándose con otros especialistas si fuese necesario. En esta misma línea, la mayoría de los hematólogos participantes señalaron que, aunque es fundamental tener especialistas de referencia a mano, la decisión sobre el tratamiento del paciente con MMRR corresponde al hematólogo. Igualmente, hicieron hincapié en que solo algunos pacientes con MMRR necesitan integrar a otro especialista en su tratamiento, y consideran más eficiente referirlos que tener un equipo multidisciplinar de apoyo constante. Por ejemplo, en su opinión sería preferible referir a un paciente con insuficiencia renal a un nefrólogo, que mantener a un nefrólogo permanentemente en un equipo de MMRR.

“El tratamiento del paciente con mieloma no es una cosa multidisciplinar. Lo acaba decidiendo el hematólogo prácticamente en solitario, pero necesita buenos especialistas de apoyo. Y entre ellos son imprescindibles el cardiólogo, el nefrólogo y el traumatólogo.”

Albert Oriol, Hematólogo.

Los expertos señalaron también las diferencias de capacidades y recursos de los hospitales para formar estos equipos multidisciplinarios. Coincidieron en que mientras los hospitales más grandes y con más recursos cuentan con la tecnología y los profesionales necesarios para tratar una enfermedad tan compleja y poco común como el MMRR, una gran cantidad de hospitales, generalmente más pequeños, no puede cubrir todas las especialidades y pruebas de imagen necesarias.

“En los grandes hospitales existen, de manera indirecta, equipos multidisciplinarios muy cerrados, con personas dedicadas a cada especialidad. Pero en hospitales más pequeños probablemente sea complicado tenerlos, porque a lo mejor existe solamente un fisioterapeuta o solo un par de nefrólogos”

María Victoria Mateos, Hematóloga.

“Se están constituyendo equipos asistenciales que funcionan de una manera multi profesional. El otro día me comentaba un compañero que, en alguna unidad del hospital, aparte de todos los profesionales, habían incluido un coach cuyo papel era formar este equipo y coordinarlo. Estaba realmente satisfecho con esta incorporación, porque pensaba que iba a aportar mucho a la hora de hacer equipo y hacerles sentir a todos parte del mismo proyecto”.

Olga Delgado, Farmacéutica Hospitalaria

Más allá de la necesidad de contar con equipos multidisciplinares, hubo consenso entre los expertos en que para lograr que los pacientes de MMRR de cualquier hospital puedan tener acceso a los apoyos médicos necesarios, es imprescindible mantener una comunicación fluida y eficiente entre las distintas especialidades involucradas en el tratamiento del MMRR, incluyendo los especialistas en farmacia hospitalaria, que son un nexo indispensable. La comunicación es también muy importante para poder referir al paciente, si esto fuese necesario, a un especialista que se encuentren en otro hospital.

“Tiene que haber comunicación entre todos los especialistas involucrados, y evitar que sea el paciente el que “viaje” con la comunicación. Los profesionales tienen que hablar entre ellos, decidir el tratamiento, y plantearse al paciente. Es muy importante que la información que le da cada profesional al paciente sea similar, que no le den mensajes contradictorios”.

Estela Moreno, Farmacéutica Hospitalaria.

Vías y gestión de comunicación entre diferentes servicios hospitalarios

En relación con la existencia de vías de comunicación directa entre las distintas especialidades que se encargan del manejo del MMRR, los participantes expresaron opiniones variadas. Algunos de ellos expresaron que para el MMRR no existen vías de comunicación oficiales que se distingan del circuito hospitalario normal: el hematólogo pauta el tratamiento al paciente y, sin necesidad de llamada, el farmacéutico consulta en un sistema electrónico lo prescrito. Una de las representantes de pacientes opinó que, debido a esta falta de formalidad, las comunicaciones suelen ser dispersas y circunstanciales. Apuntó que la comunicación entre los profesionales de Atención Primaria y el hematólogo es mejorable, así como la comunicación entre el Servicio de Farmacia Hospitalaria y el paciente.

“Entre el hematólogo y el médico de AP no hay comunicación. Pero hay cosas más importantes que la comunicación entre estos dos especialistas. Por ejemplo, que en AP se detecte mejor el mieloma o la sospecha de mieloma, es más importante que la comunicación posterior entre AP y el hematólogo”.

Begoña Barragán, Representante de pacientes.

Otros participantes opinaron que la comunicación directa entre especialidades existe a través de la historia clínica electrónica del paciente. Se reconoce que su efectividad en la práctica depende de las plataformas electrónicas que tenga cada hospital, y que para casos urgentes suele usarse la vía telefónica.

En algunos casos, cuando el tratamiento del MMRR implica una relación más compleja entre los servicios, los hospitales cuentan con una figura encargada

de gestionar estas interrelaciones. Esta figura suele pertenecer al personal de enfermería (como la enfermera gestora de casos hospitalaria, EGCH) o al personal de administración. Por lo general, estas personas se encargan de manejar las citas de pruebas diagnósticas (por ejemplo, unificarlas en un mismo día para reducir los viajes del paciente al hospital), y de la comunicación con la farmacia hospitalaria. En algunos hospitales, esta figura de gestión tiene un teléfono al que el paciente puede llamar si tiene alguna duda y el gestor sirve como interlocutor entre el paciente y su médico. Los expertos coincidieron en que la EGCH, cuando la hay, tiene un papel fundamental y aporta ventajas muy significativas a la organización hospitalaria y a los pacientes. Uno de los participantes compartió que en su centro hospitalario esta figura se ha vuelto indispensable.

“Esta figura la tenemos en el hospital desde hace tres años y se ha convertido en una herramienta vital para los enfermos. El enfermo se siente mucho más acompañado, sabe que tiene un teléfono al que puede llamar y ponerse en contacto con el médico con facilidad. Desde que tenemos esta figura, hemos notado un cambio muy relevante en nosotros y en los enfermos”.

Javier de la Rubia, Hematólogo.

No obstante, muchos hospitales no cuentan con una figura de gestión de casos como la EGCH. En su lugar, algunos centros disponen de un comité de tumores hematológicos para facilitar la comunicación entre las distintas especialidades involucradas en cada caso. En estos comités se discute sobre cuáles son las mejores opciones para el paciente, para lo que incluso se toman en cuenta factores sociales y familiares.

Se acotó también que la figura de EGCH o gestor de casos suele crearse alrededor de los ensayos clínicos. En aquellos hospitales donde no se realizan ensayos clínicos, es más difícil encontrar este rol. Se recomendó entonces que se trabaje para instituir esta infraestructura de personal, a la que atribuye una importancia significativa, en los centros donde no la haya, para garantizar el tratamiento integral del paciente.

“El abordaje multidisciplinar del paciente puede quedarse reducido o no hecho al cien por cien por la falta de estas figuras de gestión”.

María Victoria Mateos, Hematóloga.

RETOS IDENTIFICADOS

- Es complicado diseñar una hoja de ruta única de atención tanto para pacientes debutantes como para pacientes con MMRR. Esto se debe en parte a las características propias de la enfermedad, de los pacientes, pero en parte se debe también a la falta de comunicación e integración entre diferentes especialidades, niveles de atención y servicios socio-sanitarios.
- No todos los hospitales cuentan con una figura de gestión de casos que ayude a la organización de las citas del paciente y funja como lazo entre las especialidades.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Reforzar y aumentar las capacidades en especialidades diferentes a la hematología, para conseguir un diagnóstico precoz del MM, a través de espacios de comunicación entre distintas especialidades y niveles de atención.
- Facilitar la integración entre la asistencia social y los servicios sanitarios, para contribuir a la detección temprana del MM.
- En pacientes con MMRR es fundamental facilitar que el hematólogo cuente con otros especialistas para referir a sus pacientes, y que pueda mantener una comunicación fluida y eficiente con las demás especialidades, incluyendo la farmacia hospitalaria.
- Instituir una figura de enlace entre los servicios hospitalarios, ya sea personal de enfermería o de administración, para garantizar al paciente con MMRR un tratamiento integral y para facilitar la gestión de sus citas a consultas y a pruebas.

■ TERAPIA FARMACOLÓGICA

El tratamiento del MM ha cambiado de forma significativa en los últimos años¹². Desde 2015, se han aprobado nuevos fármacos que ofrecen más opciones de tratamiento, como monoterapia o en regímenes combinados (esquemas triples o incluso cuádruples), la mayoría de ellos dirigidos a pacientes con MM en primera y segunda línea; añadiendo complejidad a las terapias existentes. Además, se han llevado a cabo numerosos ensayos clínicos en pacientes con MMRR con el fin de priorizar tratamientos¹².

Todos los entrevistados estuvieron de acuerdo en que los avances en la terapia farmacológica para tratar el MMRR en los últimos 20 años ha sido, cuando menos, revolucionario. La innovación ha sido considerable y ha traído cambios radicales en la calidad de vida y el pronóstico de los pacientes con MMRR. Hubo consenso en que los nuevos fármacos son más eficaces, más seguros y con un perfil de toxicidad mucho más bajo. Su ventaja fundamental es que han prolongado la supervivencia global de los pacientes, que pasó de no más de 3 años a una mediana de nueve a diez años.

“Los nuevos fármacos han cambiado la perspectiva del paciente en recaída, porque sabe que tiene otra oportunidad. A mí esto me parece un avance espectacular, un triunfo, porque todos los fármacos tienen su camino y ayudan a la llegada de nuevos fármacos, toda línea de investigación tiene una continuación y no acaba solamente en ese fármaco. Esto es muy esperanzador”.

Teresa Regueiro, paciente y representante de pacientes.

Los clínicos entrevistados coincidieron en que, al tratarse el MMRR de una enfermedad compleja genéticamente, para poder producir fármacos más eficaces y más tolerables, ha sido importante estudiar y entender con más profundidad la enfermedad. Estuvieron de acuerdo en que lo que marca la diferencia actualmente en la terapia farmacológica para el MMRR es la combinación sinérgica de

los distintos fármacos disponibles que, en su mayoría, permite brindar opciones optimistas a pacientes en primera y segunda línea.

“La revolución [en la terapia farmacológica] ha sido la aparición de fármacos más dirigidos, y las combinaciones sinérgicas de estos fármacos que nos permiten tener tratamientos mucho más eficaces. Con estos nuevos tratamientos tenemos quizá un 60% o 70% de mielomas que durante muchos años nos van a dar muy pocos problemas. Antes esto no sucedía”.

Albert Oriol, Hematólogo.

Los expertos clínicos compartieron la visión de que los retos terapéuticos más significativos empiezan a manifestarse a partir de los pacientes en tercera línea cuando, después de haber sido tratados con las últimas combinaciones de fármacos, quedan pocas opciones ante una enfermedad tan agresiva. Consideraron que es imprescindible continuar trabajando en la generación de nuevas combinaciones que sean aplicadas en la fase más temprana de la recaída, para aumentar su eficacia. En este sentido, las representantes de pacientes manifestaron sentirse optimistas, y estar al tanto de que las investigaciones siguen adelante. Ambas manifestaron que tienen esperanza en que se producirán nuevos y mejores fármacos que generarán nuevas líneas de tratamiento, permitiendo un porcentaje mayor de pacientes con supervivencia libre de progresión, aún en recaída.

Enfermedad Mínima Residual como factor de decisión de estrategia terapéutica en líneas más tempranas

Los entrevistados clínicos compartieron su opinión sobre la posibilidad de que la Enfermedad Mínima Residual (EMR) sea considerada un factor pronóstico en el futuro cercano y por tanto ayude a decidir la estrategia terapéutica en líneas tempranas. Coincidieron en que la EMR es el factor pronóstico más importante, que predice supervivencia libre de progresión y supervivencia global. Sin embargo, aún no se utiliza como factor predictivo y, por lo tanto, se tiene que evaluar una vez que se ha puesto el tratamiento.

Hubo consenso en que todo apunta a que esta variable será determinante para establecer la estrategia terapéutica para pacientes de MMRR y coincidieron en que, al elegir el tratamiento, se debe buscar el tratamiento que ofrezca una mayor probabilidad de respuesta mínima negativa.

“En medicina no hay nunca un 100% de certeza, pero la elección debe ser el tratamiento que garantiza una mayor probabilidad de conseguir una respuesta completa con EMR negativa. Lo que no está garantizado hoy en día todavía es si los resultados de la EMR ayudan a la toma de decisiones en el tratamiento (es decir, retirar el tratamiento o reducir la intensidad)”.

Javier de la Rubia, Hematólogo.

Más de un experto comentó que, aunque no sea de manera oficial, ya se está usando la EMR como variable clave en la toma de ciertas decisiones terapéuticas. Se comentó incluso que esta tendencia parte de los propios pacientes, quienes se encuentran cada vez más informados y empoderados, pudiendo llegar a rechazar la opción de un trasplante porque han alcanzado la una EMR negativa y asumen que tienen una alta probabilidad de vivir con buena calidad de vida durante un tiempo significativo.

Por otro lado, se alertó sobre el riesgo de transmitir al paciente frustración si no alcanza una EMR negativa, ya que a pesar de que la EMR es muy relevante como factor pronóstico, muchos pacientes tienen supervivencias largas aun cuando no han alcanzado una EMR negativa.

“Transmitir frustración al paciente si no alcanza una EMR negativa es una tendencia actual que no es correcta.”

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Entre los clínicos, se expresó expectativa sobre los avances en investigación para poder determinar si la EMR puede usarse como un factor de decisión terapéutica o como criterio para establecer si un paciente está curado. Algunos participantes comentaron que, actualmente, al no existir ese criterio para decidir sobre el tratamiento, muchos pacientes continúan en tratamiento cuando podrían dejarlo y mantenerse con un seguimiento estrecho.

“Yo creo que en algún momento la EMR, sola o combinada con otro parámetro, nos tiene que servir para determinar si a los pacientes que tratamos desde hace tiempo se les puede retirar el tratamiento porque ya no van a recaer. Hoy por hoy, lo que tenemos para acercarnos a ese punto, aunque no está todavía validado, es la EMR”.

Albert Oriol, Hematólogo.

Los expertos en farmacia hospitalaria coincidieron en que es probable que la EMR se establezca como objetivo en líneas más tempranas. No obstante, se argumentó que no puede ser el único objetivo a perseguir, sino que se debe utilizar en combinación con variables que ya están instituidas, tales como la supervivencia libre de progresión (SLP) y la supervivencia global.

Retos actuales en las terapias de rescate en pacientes refractarios a la lenalidomida

Los participantes coincidieron en que el reto principal en las terapias de rescate en pacientes refractarios a la lenalidomida reside en que ésta forma parte del tratamiento estándar de los pacientes de MMRR entre la primera y segunda línea, y en que los rescates que se tienen actualmente para este tipo de pacientes son menos eficaces, ya que los ensayos fase III antiguos no estaban diseñados para incluir esta población. Los hematólogos señalaron que se está intentando diseñar una estrategia terapéutica que venza la resistencia a la lenalidomida, pero hay que tener en cuenta si el paciente refractario a la lenalidomida obtiene más beneficio con lenalidomida en primera línea que con otra combinación de medicamentos.

“Si tratamos con lenalidomida en la primera línea y tenemos una SLP mediana de más de cuatro años, son datos óptimos. Lo que no es óptimo es que, si rescatamos a ese paciente con otra combinación, la SLP sea de sólo nueve o diez meses. Está claro que esos pacientes necesitan de combinaciones que den mejores resultados”.

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Se comentó que cuando el tratamiento de primera línea no funciona, el tratamiento alternativo tiene eventualmente resultados pobres, y que esto sigue su-

cediendo en aproximadamente una cuarta parte de los pacientes. En pacientes refractarios a la lenalidomida, el pronóstico es mejor cuantos más años tarde el paciente en recaer tras estar en mantenimiento con lenalidomida. Sin embargo, no existe necesariamente un perfil concreto del paciente refractario a la lenalidomida, y un indicador de mal pronóstico sería entonces una recaída muy precoz. Uno de los médicos señaló que los pacientes resistentes a la lenalidomida no representan un reto más significativo que otros pacientes refractarios: la refractariedad, ya sea a la lenalidomida o a otro fármaco, hace todo el tratamiento más complicado, incluso en pacientes doble refractarios.

Elementos de decisión terapéutica y nuevas combinaciones

Los participantes coincidieron, sin atisbo de duda, en que el elemento más importante a la hora de diseñar un tratamiento o tratar de mejorarlo, es la eficacia. Esta es la garante de que el paciente tendrá una mejor calidad de vida y más tiempo fuera del hospital. En segundo lugar, se encuentra la consideración del perfil de toxicidad del rescate, que es ahora posible porque hay más opciones de rescate que hace unos años. A partir de allí, la elección del tratamiento debe tomar en cuenta otros factores, tales como la seguridad y posibles efectos adversos, las comorbilidades del paciente, y la forma de administración que más convenga al paciente según sus circunstancias de vida. Pero los participantes reiteraron que estos elementos de decisión son secundarios a la eficacia.

“En la primera recaída precoz temprana, o incluso la segunda, para mí el beneficio más importante es la eficacia anti-tumoral del tratamiento. Si tengo dos opciones de tratamiento igual de eficaces, entonces consideraré cuál es más cómodo de administrar, cuál es más fácil para el paciente, cuál es menos tóxico, etc. Pero el primer escalón de decisiones es la eficacia anti-tumoral”.

Javier de la Rubia, Hematólogo.

En relación con la valoración del uso de nuevas combinaciones que incluyan fármacos no utilizados anteriormente, también hubo un acuerdo unánime: mientras cuenten con datos clínicos que respalden su eficacia, estas combinaciones son la mejor opción frente a la alternativa de agotar los tratamientos que los pacientes han recibido anteriormente. Uno de los participantes señaló que es fundamental el uso de fármacos nuevos en las combinaciones, siendo los únicos que pueden dar garantía de una mejor respuesta. Habiendo, a día de hoy, tantas opciones, no tiene sentido recurrir a las prácticas del pasado, cuyo objetivo era sacar el máximo provecho de las pocas opciones que había hasta que ya no aportaran ningún beneficio.

“Lo considero necesario [el uso de nuevas combinaciones de fármacos no utilizados anteriormente]. En algunos casos no está indicado en ficha técnica o hay problemas administrativos y financieros para su utilización. Pero se entiende que se soliciten en base a la evidencia científica ya disponible”.

Olga Delgado, Farmacéutica Hospitalaria

Acceso a innovación farmacéutica para MMRR

Todos los expertos consideraron necesario el acceso de pacientes de MMRR a nuevos tratamientos y recalcaron las dificultades para lograrlo ante los retrasos y complicaciones que se presentan a lo largo del proceso de aprobación de un nuevo fármaco. En general, identificaron el origen de estos obstáculos en la mala organización y falta de personas especializadas en hematología en el sistema de acceso de estos fármacos. De la misma forma, expresaron desacuerdo con que el Ministerio de Sanidad (MSCBS) no considere que las aprobaciones de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) son suficientemente rigurosas, y se tenga que esperar a tener un informe de posicionamiento de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Se comentó que entre la aprobación de la EMA y la de la AEMPS pueden pasar hasta cuatro años.

Algunos participantes resaltaron que la accesibilidad en general es importante, pero que no hay que dejar a un lado la búsqueda de la equidad en el acceso entre diferentes CC.AA. e incluso entre hospitales dentro de una misma Comunidad Autónoma.

“Como SNS no debíamos permitir que el acceso a una terapia innovadora fuese asimétrico en función de quién es el paciente y de dónde es tratado. Para mí, eso es lo más relevante. La accesibilidad en patologías en las que la alternativa terapéutica es deficiente tiene que ser primada y, por tanto, todos los trámites previos a la incorporación y al acceso al mercado debieran de agilizarse”.

Félix Rubial, Gestor sanitario.

En esta misma línea, destacó la importancia de disponer de una evidencia clínica sólida, para poder negociar con el MSCBS la financiación del fármaco.

“Para mí, la clave es la existencia de datos de eficacia sólidos, basados en un estudio aleatorizado Fase III que muestre un beneficio claro.”

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Acceso de pacientes con MMRR a ensayos clínicos

El acceso de los pacientes con MMRR a ensayos clínicos es de gran e incuestionable importancia para todos los expertos. Consideraron que los ensayos clínicos son oportunidades invaluable para probar nuevas combinaciones de fármacos en pacientes que no han respondido a tratamientos ya integrados en el SNS.

Se comentó que, a través de los centros en red, cada centro de referencia con ensayos clínicos tiene un área que se encarga de recibir a pacientes referidos de otros hospitales, para que participen en los ensayos. Un participante destacó que muchos pacientes que son candidatos para un ensayo clínico no entran porque tienen que desplazarse desde muy lejos. Para este participante, resultaría más rentable que el SNS le costee el desplazamiento y estadía a los pacientes que viven lejos de donde se realizan los ensayos, que financiar fármacos más costosos que no están haciendo efecto. Considera que este tipo de abordaje convendría no solo al SNS, sino a la comunidad científica.

“Un ensayo puede estar haciéndose durante años porque no recluta pacientes, y eso está retrasando que un fármaco potencialmente útil se apruebe”.

Albert Oriol, Hematólogo.

Los representantes de pacientes expresaron que para ellos, formar parte de un ensayo clínico es una realidad que tendrán que vivir tarde o temprano, cuando se agoten sus opciones terapéuticas. Se hizo énfasis en la necesidad de que los pacientes estén informados de todos los ensayos clínicos que se estén llevando a cabo a nivel nacional, aunque no se realicen en la Comunidad Autónoma donde residen.

Desde el punto de vista de los gestores sanitarios, los ensayos clínicos son una opción valiosa que debe estar al alcance de todos los pacientes que sean candidatos. Además, benefician a la organización en términos económicos, porque normalmente se utilizan los fármacos sin coste para el SNS. De esta forma, se acelera el avance en investigación y la consolidación de oportunidades para acceder a nuevos recursos.

Los entrevistados compartieron sus opiniones sobre los aspectos que se pueden optimizar en relación con la captación de pacientes para los ensayos clínicos. Entre ellos, se propuso mejorar la difusión de los ensayos clínicos existentes, para mantener a médicos y pacientes al día. Otra propuesta fue intentar incluir a los pacientes más frágiles, aunque esto resulte complicado, ya que la mayoría de los ensayos clínicos están destinados a jóvenes, o bien a personas mayores que se encuentran relativamente bien. Finalmente, se planteó optimizar el proceso de derivación de pacientes entre CC.AA. para poder maximizar el número de personas en un ensayo clínico.

Enfermedad Mínima Residual como objetivo primario en ensayos clínicos

Sobre la conveniencia de que la EMR sea un objetivo primario en los ensayos clínicos, hubo ciertas divergencias entre las opiniones de los participantes. Algunos de los médicos sostuvieron que alrededor de la mitad de los ensayos clínicos ya consideran la EMR como un objetivo primario. Estos ensayos serían los realizados por grupos cooperativos, ya que las autoridades sanitarias aún no han aceptado la EMR como objetivo primario para el registro de los fármacos. Para balancear esta situación, se tiene a la EMR como co-objetivo primario, junto con la SLP. Otros médicos resaltaron la utilidad de generar más datos que correlacionen de una forma clara y nítida a la EMR con la supervivencia global.

Participación del paciente en la estrategia terapéutica

Se estuvo de acuerdo en que el grado de implicación de los pacientes en la toma de decisiones sobre la mejor estrategia terapéutica para ellos depende en gran parte de su perfil. Los pacientes tratados en primera línea suelen confiar más en el médico, y a medida que llevan más años conviviendo con la enfermedad, comunican más sus preferencias con respecto a un tratamiento u otro; y tienen más experiencia y criterio para decidir qué quieren hacer con su vida y su enfermedad. Para ellos, cada vez cobra más valor la calidad de vida, además de la cantidad de vida, por lo

que las decisiones terapéuticas se toman considerando ambos aspectos de cara a las expectativas del paciente. Sin embargo, uno de los expertos clínicos consideró que en España sigue habiendo un cierto “paternalismo médico”.

Comunicación de la estrategia terapéutica entre el Servicio de Hematología y el de Farmacia Hospitalaria

La implicación activa del Servicio de Farmacia Hospitalaria en la atención al paciente con MMRR, puede mejorar la adherencia a los tratamientos y cobrar una especial relevancia en la consecución de los objetivos fijados en la estrategia terapéutica, a través de servicios como la contribución en la selección del régimen farmacológico, la monitorización y optimización del tratamiento, la detección precoz de los signos y síntomas que acompañan una recaída, hasta la educación del paciente en el uso correcto y seguro del medicamento¹³.

En relación con la importancia y factibilidad de una comunicación directa entre el Servicio de Farmacia Hospitalaria y el de Hematología, los entrevistados compartieron diferentes puntos de vista. Para algunos entrevistados la comunicación directa es importante porque el Servicio de Farmacia tiene también peso en la decisión que se toma sobre los fármacos. Sin embargo, se expuso que los médicos y los farmacéuticos valoran las decisiones desde perspectivas distintas: mientras el farmacéutico toma en cuenta la información farmaeconómica relativa al coste-efectividad del medicamento; el médico toma una decisión basada sobre todo en la eficacia del tratamiento.

“Sin duda es importante [la comunicación directa entre el Servicio de Farmacia y el de Hematología]. La ha habido siempre, porque farmacia Hospitalaria tiene también un papel en la contención del gasto. Los clínicos somos los que pedimos lo que consideramos lo mejor para nuestros pacientes, ellos son los que ajustan, y detrás está la administración, la que finalmente paga. Entonces, hay que buscar un equilibrio en todo el proceso, en el que el objetivo es ofrecer a cada paciente el mejor tratamiento disponible”

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

RETOS IDENTIFICADOS

- Los retos terapéuticos más significativos empiezan a partir de la tercera línea, cuando quedan pocas opciones de tratamiento.
- Aunque todos los pacientes refractarios representan un reto, las terapias de rescate en pacientes refractarios a lenalidomida son menos eficaces que en otros pacientes.
- Algunos pacientes refractarios que podrían mantenerse con un seguimiento estrecho continúan recibiendo tratamiento farmacológico. Unificar la estrategia terapéutica a partir de la tercera línea, para evitar estos casos, es muy complejo.
- El acceso a nuevos tratamientos de MMRR es muy lento y complicado debido al proceso de aprobación actual de un nuevo fármaco, a la vez que puede ser inequitativo entre CC.AA. y dentro de una misma Comunidad Autónoma.
- Hay inequidad entre hospitales en el acceso a ensayos clínicos.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Continuar trabajando en la generación de nuevas combinaciones terapéuticas que sean aplicadas en la fase más temprana de la recaída, para aumentar su eficacia.
- Obtener la EMR al evaluar un tratamiento y avanzar en la investigación para determinar si la EMR, sola o en combinación con otras variables como la SLP, puede usarse como un criterio de decisión terapéutica.
- Avanzar en la investigación para obtener datos que correlacionen de una forma clara y nítida a la EMR con la supervivencia global para poder usarla como objetivo primario en ensayos clínicos.
- Disponer de evidencia clínica sólida, basada en estudios en fase III, para poder negociar con el MSCBS la financiación de innovaciones terapéuticas.
- Agilizar los trámites del proceso de financiación, previos a la incorporación al mercado y al acceso de tratamientos nuevos en MMRR.
- Proveer información a pacientes y médicos sobre todos los ensayos clínicos que se estén llevando a cabo a nivel nacional, aunque sea en una Comunidad Autónoma diferente a donde reside el paciente.
- Incluir pacientes más frágiles en los ensayos clínicos para aumentar las muestras y medir la eficacia de los fármacos en estos pacientes.
- Optimizar el proceso de derivación de pacientes entre CC.AA. para maximizar el número de personas incluidas en ensayos clínicos.

■ SERVICIOS DE APOYO

La disponibilidad y nivel de integración de recursos y servicios de apoyo, tales como psicooncología, nutrición, fisioterapia, rehabilitación física, servicios paliativos, trabajo social, unidad del dolor, y otros programas de soporte para pacientes con MMRR no es homogénea a lo largo del mapa hospitalario nacional. Esto genera una situación de inequidad en el acceso a estos servicios y dificulta el desarrollo de un protocolo único que aborde las necesidades clínicas y psicosociales de estos pacientes^{10,11}.

Servicios de apoyo al paciente dentro y fuera del SNS

Todos los participantes coincidieron en que los servicios de apoyo son muy importantes y marcan una gran diferencia en la calidad de vida del paciente. También estuvieron de acuerdo en que no necesariamente todos los servicios son necesarios para todos los pacientes y que el beneficio que se puede obtener de cada uno de ellos dependerá del cuadro del paciente. De la misma manera, coincidieron en que en ningún hospital existen todos los servicios y en

que es necesario establecer prioridades a la hora de decidir qué servicios de apoyo ofrecer a los pacientes dadas las limitaciones presupuestarias de cada centro hospitalario.

Hubo consenso entre los encuestados en que el principal servicio de apoyo que sale a relucir como el más relevante para la gran mayoría de los pacientes es el del control del dolor. Otro servicio que podría estandarizarse entre los hospitales es el de la orientación nutricional. A partir de allí, la conveniencia de contar con otros servicios, como fisioterapia y apoyo psicológico dependerá de las lesiones de cada paciente o de qué pacientes consideran que lo necesitan, respectivamente, en un punto de su enfermedad.

“El psicólogo es necesario en el diagnóstico y en la recaída, pero no durante todo el tratamiento, ni durante toda la enfermedad. Porque esta es una enfermedad tan larga que, en algún momento, tendrás que tomar tú mismo las riendas de tu vida para enfrentarte a los obstáculos que conlleva.”

Teresa Regueiro, paciente y representante de pacientes.

En el caso de los servicios de asistencia domiciliar se comenta que, aunque están desarrollados, hay diferencias significativas en el acceso a ellos entre los hospitales grandes y los pequeños. Mientras los más grandes pueden ofrecer servicios como administración de tratamientos subcutáneos o transfusiones a domicilio, los más pequeños tienen otras prioridades.

En cuanto al papel que desempeñan los servicios de apoyo fuera del SNS, los participantes aseguran que son muy utilizados por los pacientes, especialmente los que se ofrecen a través de las asociaciones de pacientes. Además, algunos pacientes hacen uso de servicios privados de fisioterapia, dietista y psicólogo.

Se destaca la importancia de que el apoyo externo a los pacientes esté alineado con la hoja de ruta del tratamiento hospitalario, como suele suceder con los servicios ofrecidos por las asociaciones de pacientes. En este sentido, la opinión generalizada fue que las asociaciones que proveen estos servicios hacen un buen trabajo.

“La Asociación Española Contra el Cáncer desarrolla programas de soporte emocional, físico, y trabajo social que complementan, no sustituyen, a los servicios de apoyo públicos. Aunque para el SNS estos servicios no suelen ser una prioridad, cada vez tienen una mayor demanda.”

Félix Rubial, Gestor Sanitario.

Sin embargo, se comentó que las asociaciones de pacientes dependen de donaciones externas que les permitan mantenerse, y la posibilidad que tienen para ofrecer más o menos servicios depende de los recursos que tengan, con lo que sus servicios de apoyo a los pacientes no están garantizados en el tiempo.

Servicios de apoyo para la medición de la EMR y de la citogenética adversa

Al hablar de los apoyos existentes para la medición de la EMR en los hospitales, hubo consenso en que este servicio está relativamente bien cubierto en todos los hospitales en España.

“Hay una plataforma nacional, financiada por la industria farmacéutica, que permite el envío de muestras de EMR a laboratorios en España donde hacen la determinación sin coste y le mandan el resultado al médico de manera muy ágil. Eso está bien cubierto y se utiliza mucho”.

Javier de la Rubia, Hematólogo.

Se distinguieron dos tipos de apoyo diferentes para la medición de la EMR: para evaluar la EMR precisa en ensayos clínicos (el apoyo más común), y para medir la EMR en el campo puramente asistencial.

En el caso del apoyo para la medición de la citogénica adversa, se comentó que sucede lo mismo que con la EMR: se envían las muestras a los laboratorios de los hospitales grandes de cada provincia, y el servicio suele funcionar muy bien.

Servicios paliativos

Todos los entrevistados estuvieron de acuerdo en que, en el caso de los pacientes con MMRR, los servicios paliativos y el apoyo psico-oncológico al final de la vida, son imprescindibles para ayudar a morir al paciente. En opinión de todos, se trata de servicios fundamentales, porque el MMRR es una enfermedad que todavía causa la muerte a un porcentaje alto de pacientes. No obstante, la relación del hematólogo con sus pacientes no debe nunca terminar al transferirlos a los cuidados paliativos.

“El paciente con MMRR que está al final de su vida es un paciente que lleva con uno alrededor de diez años, pero por el hecho de estar al final de su vida no deja de ser nuestro paciente. Podemos buscar la ayuda del paliativista, pero no es el mejor momento para que el paciente se quede sin hematólogo o con menos ayuda del hematólogo de la que tenía”.

Albert Oriol, Hematólogo.

Por otro lado, algunos participantes aclararon que es erróneo concebir el apoyo paliativo como un cuidado que se presta únicamente al final de la vida. Estos entrevistados coincidieron en que este apoyo debería prestarse desde el comienzo, porque los paliativistas no solo manejan el dolor al final de la vida, sino que ayudan a manejar el dolor y la sintomatología desde el momento del diagnóstico.

En las entrevistas se confirmó que, aunque se ha avanzado mucho en los últimos 10 a 15 años para integrar a los servicios paliativos en el proceso asistencial del paciente con MMRR, las unidades hospitalarias de servicios paliativos se enfocan en pacientes oncológicos y suelen encontrarse saturadas, al tiempo que escasea el soporte paliativo domiciliario. Hubo consenso en que la prestación de servicios paliativos hospitalarios puede incluso ser desigual entre distritos sanitarios dentro de una misma ciudad. En opinión de uno de los entrevistados, eso exige no solamente crear nuevas unidades en los hospitales, sino que la atención al final de la vida pase a ser una prioridad.

Desde la perspectiva de la gestión sanitaria, se consideró que el acceso efectivo a los servicios paliativos domiciliarios es una inversión especialmente rentable desde la perspectiva social, ya que permite liberar camas hospitalarias y otros recursos sanitarios, a la vez que posibilita que la familia acompañe al paciente en sus últimos momentos, desde la comodidad de su hogar.

“En Galicia, el 60% de las muertes se producen en el entorno hospitalario, cuando muchas de ellas podrían suceder en un entorno familiar con ayuda de servicios paliativos domiciliarios. Necesitamos intentar, como organización, valorar lo que representa la muerte digna, sin dolor, para la persona y para la familia”.

Félix Rubial, Gestor sanitario.

Los expertos coincidieron que es fundamental resolver el acceso desigual a los servicios paliativos al final de la vida porque todavía no podemos garantizar en España que una persona que llega a la etapa final, tenga una muerte digna. Los médicos coincidieron en que, a día de hoy, los hematólogos todavía no están debidamente formados para dar esos cuidados o para saber en qué momento solicitar el apoyo de un paliativista para un paciente. En este sentido, varios expertos señalaron que, aún si la mayoría de los hematólogos intentan dar a sus pacientes una muerte digna con los recursos que tienen a disposición, otros tratan de prolongarles la vida con tratamientos subsecuentes, aunque no exista evidencia de poder cambiar el curso de la enfermedad y con una afectación muy elevada a la calidad de vida del paciente. Para evitar este “ensañamiento terapéutico”, se necesita formar al hematólogo en la aceptación del final de vida del paciente. Los hematólogos entrevistados coincidieron en que la formación en su especialidad está muy centrada en la actualización constante sobre la innovación de los tratamientos y su eficacia, pero no reciben suficiente formación en cuidados paliativos, ni en las necesidades de otros servicios de apoyo que requiere el paciente al final de su vida.

“En los simposios y congresos de MM no suele haber sesiones de cuidados paliativos, aun cuando una gran mayoría de los pacientes fallece después de años de evolución, cuando la enfermedad ya no responde a los tratamientos médicos, y necesitan de apoyo psicológico, de especialistas en manejo del dolor, y de acompañamiento social. Estas son medidas que los hospitales muchas veces no tienen.”

Javier de la Rubia, Hematólogo

La formación a los profesionales debe ir acompañada de una homogeneización de los criterios para referir a un paciente a cuidados paliativos, ya que a día de hoy estos criterios no son homogéneos a nivel nacional o entre distintos profesionales. En la ausencia de un protocolo nacional para conocer cuándo se debe referir al paciente a cuidados paliativos cada profesional intenta actuar de la mejor manera posible.

👉 RETOS IDENTIFICADOS

- El acceso a servicios de apoyo a pacientes con MMRR, tales como psicooncología, nutrición, fisioterapia, rehabilitación física, servicios paliativos, trabajo social, y unidad del dolor, es desigual e inequitativo entre hospitales grandes y pequeños
- Las asociaciones de pacientes que proveen servicios de apoyo suelen ser muy efectivas, pero dependen de financiación externa, lo que pone en riesgo la continuidad de la oferta de sus servicios, y el que lleguen a todos los pacientes que lo requieren.
- En los hospitales donde se cuenta con ellas, las unidades de cuidados paliativos suelen estar saturadas.
- Los criterios para referir a un paciente a cuidados paliativos no son homogéneos a nivel nacional.
- Es necesario un mayor nivel de formación de los profesionales de hematología en el área de cuidados paliativos.
- Es necesario conseguir que la atención al final de la vida sea una prioridad en los pacientes con MMRR.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Estandarizar los servicios de cuidados paliativos y de control del dolor al paciente con MMRR en todos los hospitales, creando unidades de cuidados paliativos en los hospitales que no las tengan.
- Garantizar el acceso efectivo a la atención paliativa domiciliaria para pacientes con MMRR.
- Elaborar un protocolo nacional que homogeneice los criterios clínicos para referir a un paciente a cuidados paliativos.
- Incrementar la formación en cuidados paliativos de los profesionales de hematología, incluyéndola como parte curricular de la especialidad, y realizando sesiones y cursos sobre cuidados paliativos en congresos de MM.
- Realizar acuerdos de colaboración entre el SNS y las asociaciones de pacientes que han demostrado ofrecer servicios de apoyo efectivos, que garanticen la financiación suficiente para respaldar la continuidad de sus servicios.

COMUNICACIÓN ENTRE PROFESIONALES SANITARIOS Y PACIENTES

Dada la heterogeneidad y complejidad de los pacientes con MMRR, resulta fundamental la formación y comunicación permanente entre los profesionales sanitarios, los pacientes, los cuidadores y las asociaciones o grupos de apoyo¹⁰⁻¹². Por su parte, la relación sanitario-paciente es esencial, no solo para comunicar información al paciente de la forma más efectiva, sino también para involucrar al paciente en la toma de decisiones y el manejo de su enfermedad¹².

Comunicación médico-paciente

Todos los participantes convergieron en que la comunicación médico-paciente es vital en el proceso asistencial al paciente con MMRR. Para todos, el pilar fundamental que se construye a través de esta comunicación es la confianza del paciente hacia su médico. Esto puede tomar algún tiempo, pero es determinante para el manejo de la enfermedad.

“Tiene que haber buena comunicación, honesta, fluida, transparente, recíproca, para conseguir un lazo de confianza. A mí los pacientes me llaman como si fuera su amigo, y me causa mucha satisfacción saber que puedo estar ahí para ellos y apoyarlos mejor. Es importante conseguir este nivel de confianza para estar más cerca del paciente y que todo vaya mejor.”

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

Sin embargo, todos concordaron también en que cada médico y cada paciente son distintos, y algunos médicos son más distantes que otros. Por ejemplo, unos tienen más habilidad que otros para comunicar información clínica a pacientes y cuidadores; a la vez que algunos pacientes comprenden lo que se les comunica de forma más rápida y completa que otros.

“Hay que establecer una cierta sintonía con el paciente. Eso es un proceso continuo, pero yo me vería bastante incapaz de escribir un manual sobre cómo comunicar las cosas a los pacientes. Aparte de cuatro generalidades que creo que todos conocemos a nivel teórico, pero el plano práctico es muy individual. Tenemos pacientes que no quieren saber, que se estresan, o que escuchan, pero no entienden. No son cosas que se puedan sistematizar demasiado bien.”

Albert Oriol, Hematólogo.

Además de las capacidades de comunicar la información de forma adecuada a los pacientes, también es importante mejorar la comunicación no verbal, el tiempo dedicado y los niveles de empatía del profesional. Para los participantes, proporcionar confianza y tranquilidad al paciente es uno de los servicios fundamentales que deben prestar los sanitarios.

“La formación y la comunicación son esenciales, pero la clave está en la actitud del profesional. Esa actitud empática con la que algunos nacen y que otros tienen capacidad de desarrollar. La de entender que la persona que está en tu consulta es muy vulnerable, teme por su vida, y deposita en tus manos lo más preciado que tiene, que es su salud y su esperanza”.

Félix Rubial, Gestor sanitario.

Uno de los participantes consideró necesario, aunque complejo, crear guías de

comunicación normalizada para enfermedades como el MMRR. En cuanto a la posibilidad de establecer programas de formación en comunicación con el paciente, que incluyan formación sobre empatía, capacidad de escucha, comprensión, etc., dirigidos a los profesionales sanitarios, la mayoría de los participantes manifestó dudas. Sin minimizar la importancia de comunicación de calidad, argumentaron que los médicos con más experiencia no estarían dispuestos a cambiar a estas alturas, y que la forma de comunicarse es demasiado individual como para abordarla de esa manera. Estuvieron de acuerdo en que, de proponerse este tipo de formación, quizá sería más atractiva y fructífera para los médicos más jóvenes.

Comunicación remota médico-paciente

Al hablar sobre la adaptación de los profesionales, en los últimos meses, al entorno de llamadas y/o video-consultas, la mayoría de los participantes coincidieron en que ha prevalecido la comunicación telefónica sobre las videollamadas. Esto es, en parte, debido a las distintas capacidades tecnológicas de cada hospital, y también al hecho de que los médicos consideran la vía telefónica más práctica y cercana.

Hubo consenso entre los profesionales sanitarios en que las consultas telefónicas funcionan muy bien, excepto cuando el paciente necesita mostrar algo físicamente. Al mismo tiempo, se manifestó la importancia de regular las llamadas para poder considerarlas como una consulta, un acto clínico.

Sin embargo, aunque para los médicos las consultas telefónicas no impliquen cambios en la calidad de la atención que se da al paciente, una de las representantes de pacientes opinó que los pacientes sí notan una diferencia entre una consulta telefónica y una presencial.

“Las llamadas y las video-consultas deben durar lo que dure la pandemia, no más, porque pierdes mucho sin ir a la consulta. Es mi opinión y lo que oigo a los pacientes. Tienen que seguir yendo al hematólogo porque se sienten más seguros y reconfortados, porque, al fin y al cabo, con la llamada telefónica parece que no te han visto”.

Teresa Regueiro, paciente y representante de pacientes.

RETOS IDENTIFICADOS

- La capacidad de comunicación y de empatía de los sanitarios es esencial para conseguir una relación de confianza con el paciente e involucrarlo en la toma de decisiones. Sin embargo, es muy heterogénea entre los hematólogos.
- Las llamadas médico-paciente, cada vez más frecuentes, no están consideradas como actos clínicos.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Desarrollar guías de comunicación normalizada con el paciente de MM.
- Desarrollar talleres de comunicación dirigidos a las generaciones de sanitarios más jóvenes.
- Regular las llamadas para poder considerarlas como un acto clínico.

■ RESULTADOS EN SALUD

Para conocer en profundidad la idoneidad de las estrategias terapéuticas y planes de cuidado implementados actualmente y evaluar la necesidad de cambios para mejorar la eficiencia calidad de vida de los pacientes, es imprescindible medir sus resultados en salud a través de variables y estándares de calidad centrados en el paciente¹⁵.

Resultados en salud desde la perspectiva del paciente

Todos los expertos coincidieron en que prácticamente no existen instrumentos de recolección de datos que reflejen la percepción, preferencias y objetivos, de los pacientes de MMRR sobre sus tratamientos, su calidad de vida y su satisfacción con el manejo de su enfermedad en general. Solo se encuentran cuestionarios de satisfacción en ensayos clínicos, porque son obligatorios.

Al no contar con estos instrumentos, son pocos o casi nulos los datos disponibles sobre la perspectiva del paciente que se puedan utilizar para investigación, decisiones clínicas o farmacológicas y evaluaciones económicas de nuevos tratamientos.

Se comentó que parte del problema es que los médicos no tienen tiempo para dedicar a esta recogida de datos, y que tendría que organizarse a través de enfermería. Igualmente, se opinó que los pocos cuestionarios de satisfacción del paciente que existen, suelen rellenarlos los acompañantes, ya que los pacientes son mayores y frágiles, por lo que se pone en duda su validez.

Uno de los participantes comentó el caso de la plataforma electrónica ESAUDE en Galicia que, para hacer frente a la dificultad de obtener datos desde la perspectiva del paciente, ofrece acceso voluntario a toda la ciudadanía y permite a los pacientes incluir información propia, estructurada o desestructurada. El facultativo decide después qué parte de esa aportación pasa a formar parte de la historia clínica, con lo que este proceso exige una validación clínica. Hay profesionales que han aprovechado esta herramienta para poder incorporar encuestas estructuradas que el paciente cumplimenta cuando quiere. Esta información puede ser utilizada posteriormente con fines de investigación.

Herramientas para recoger resultados en salud objetivos

Los participantes coincidieron en que la única herramienta generalizada que está disponible en los hospitales para recoger datos de resultados en salud objetivos,

tales como eficacia o factores de mal pronóstico, es la historia clínica electrónica (HCE). Sin embargo, el mayor problema de esta herramienta es la heterogeneidad en la recogida y codificación de los datos, ya que los lenguajes de codificación difieren entre hospitales e incluso dentro de los mismos centros hospitalarios. Esto impide utilizar la información de la HCE para explotarla.

Varios participantes señalaron como ejemplo de la poca utilidad de la HCE para recoger y luego analizar resultados en salud, la escasez de publicaciones realizadas en hospitales que cuentan con herramientas como Savana -cuyo propósito es extraer los datos de las HCE y convertirlos en Big Data para facilitar su análisis-. Atribuyeron dicha escasez de publicaciones, sin ninguna duda, a la falta de estandarización de la información de la HCE.

Además de la heterogeneidad en los lenguajes de codificación, la mayoría de los entrevistados refirió que en la HCE no suelen recogerse con minuciosidad variables clínicas que pudieran permitir analizar resultados de eficacia o factores de buen o mal pronóstico de los pacientes con MM. La mayoría de los participantes coincidieron en que, si se dejase bien reflejado en la historia clínica los factores del pronóstico de la enfermedad, tales como las características del paciente (edad, sexo, raza, profesión, etc.), el grado de riesgo del mieloma, la anomalía citogenética, la LDH, y la respuesta al tratamiento, se tendría suficiente material para enmarcar el pronóstico del paciente y las posibles necesidades terapéuticas que tendrá. Sin embargo, no todos los clínicos recogen esta información fundamental.

El acceso a datos complementarios a los registrados en las historias clínicas es meramente circunstancial y depende de la disposición y recursos de cada centro hospitalario. Además, cuando existe, suele tratarse de datos que no son realmente útiles para analizar la idoneidad de los tratamientos en MMRR. Por ejemplo, la mayoría de los centros hospitalarios tienen disponibles indicadores administrativos como tasas de ingresos, mortalidad, duración de hospitalizaciones, y otros, pero resultan de poca utilidad para analizar resultados en salud de los pacientes con MM. Un participante narró que en su hospital se registran periódicamente resultados en salud en términos de supervivencia global, por sexo y por edad, que son revisados en el Instituto Catalán de Oncología (ICO), donde se recogen los resultados de varios centros en Cataluña. Sin embargo, se trata de resultados en salud muy genéricos y globales, que pueden no ser suficientes para evaluar eficacia o factores de mal pronóstico. Además, podrían estar sesgados para sacar conclusiones ya que los pacientes tratados en los hospitales grandes, donde se realizan estos registros, suelen ser más complicados que aquellos tratados por los hospitales comarcales, donde no suele haber un registro de datos de resultados de supervivencia.

“Seguimos sin tener un programa de codificación estandarizado para que, tanto en MM como en muchas otras patologías, se recoja información suficiente, factible y útil para explotarla a nivel del hospital, de una región o de España. Sigue habiendo mucha heterogeneidad, y la explotación de la información no es fácil. Hace tres años que estamos intentando disponer de una base de datos que integre información de AE y AP en nuestra área de salud de 350.000 pacientes. Pero, dados los sistemas de información que tenemos, es prácticamente imposible crearla y explotar la información.”

José Luis Trillo, Gestor sanitario.

La tecnología de Big Data para la recolección y análisis de resultados en salud podría ser de gran utilidad, pero su uso es aún limitado, según los participantes. A pesar de que hay actualmente empresas con la capacidad de generar este tipo de bases de datos desde las historias electrónicas, existen tantas trabas de las administraciones sanitarias que al final se desiste de este tipo de abordaje. Algunos participantes señalaron que los hospitales que ya disponen de herramientas de inteligencia artificial para transformar las historias clínicas electrónicas en Big Data, como por ejemplo el programa Savana, no han conseguido todavía que los datos de las historias clínicas estén registrados de forma que el programa los pueda analizar.

Los participantes coincidieron en que las experiencias sobre el uso de Real World Data (RWD), son pocas y aún más limitadas que el uso del Big Data. De nuevo, hubo consenso en que las oportunidades para superar los obstáculos pasan principalmente por la necesidad imperante de estandarizar los lenguajes informáticos de codificación, de forma que los hospitales no dependan de crear cada uno su base de datos. De estar estandarizados los lenguajes, se podría generar RWD de forma más expedita, y programar los informes de resultados en salud que sean pertinentes.

“Es básico tener datos de calidad, en el ensayo clínico y en la vida real. Necesitamos unir fuerzas entre los grupos colaborativos. Por ejemplo, tenemos el Grupo Español de Mieloma, que permite obtener muchos datos de pacientes seleccionados en los estudios clínicos y la Red de Registro de Cáncer de España, REDECAN, que ofrece datos epidemiológicos de calidad. Ambos funcionan muy bien. Deberíamos intentar, y estamos en ello, de unir fuerzas, para disponer de datos en ambos sentidos, porque ayudan a los clínicos y a los administradores a tomar decisiones”.

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

RETOS IDENTIFICADOS

- Prácticamente no se dispone de datos sobre la perspectiva del paciente que se puedan utilizar para investigación, para la toma de decisiones clínicas o farmacológicas, o en evaluaciones económicas de nuevos tratamientos, y se carece de instrumentos estandarizados y validados para recogerlos.
- Los médicos carecen de tiempo suficiente para recoger datos de perspectiva del paciente.
- Los pacientes son mayores y frágiles, lo cual hace que sea más difícil que puedan o estén dispuestos a rellenar cuestionarios.
- Se carece de herramientas para recoger resultados en salud clínicos de los pacientes con MM, más allá de la HCE.
- Hay gran heterogeneidad en los lenguajes de codificación de las HCE, lo que impide el análisis de los datos.
- Se identifican trabas administrativas para instrumentar herramientas que ayuden a analizar los datos que recoge la HCE en los hospitales.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Formar e involucrar al personal de enfermería y de farmacia hospitalaria en la recogida de resultados en salud.
- Diseñar cuestionarios específicos para ser rellenados por los cuidadores de los pacientes mayores, validarlos, y evitar así poner en duda su información.
- Estandarizar el lenguaje de codificación de la HCE, y homogeneizar la recogida de variables de eficacia y factores de mal pronóstico en todos los hospitales, para poder explotarlos con facilidad y generar RWD de forma expedita.
- Facilitar el proceso administrativo para el uso de herramientas de inteligencia artificial en los centros hospitalarios que permita transformar datos estandarizados de la HCE en Big Data para su posterior análisis.

■ SOSTENIBILIDAD DEL SISTEMA SANITARIO

En los últimos años las recomendaciones de diversos informes para la sostenibilidad de un sistema sanitario público, de progreso y calidad incluyen mejoras en la financiación, la racionalización del nivel de cobertura y la eficiencia¹⁶. En el contexto actual, los sistemas de salud se encuentran ante el reto de decidir acerca de qué programas o reformas posibilitan la sostenibilidad del sistema sin comprometer la calidad, la equidad en el acceso y el beneficio del paciente.

Sobre este tema, los participantes coincidieron en que, gracias a los tratamientos de última generación, la esperanza de vida de los pacientes con MMRR es cada vez mayor, al tiempo que crece la incidencia del MM. Estos dos factores generan una situación en la que cada año hay más pacientes que sufren de una enfermedad crónica para la que necesitan tratamiento por muchos años. Además, las nuevas combinaciones de tratamientos representan un gasto farmacéutico significativo para el hospital.

Entre las opiniones de los entrevistados salió a relucir la satisfacción por la eficacia que alcanzan los nuevos tratamientos y que conlleva una mayor supervivencia de los pacientes, pero también la preocupación por el coste creciente que esto representa para el hospital, que obliga a los gestores a enfrentarse a decisiones económicas cada vez más difíciles. Se hizo énfasis en que, en efecto, el tratamiento del MMRR ha cobrado mucha importancia en el presupuesto hospitalario en los últimos años, porque los costes se han incrementado significativamente. Además, se puntualizó que no todas las terapias están financiadas, lo que representa un reto adicional: no solo se trata de conseguir financiar con el presupuesto del hospital lo que ya está disponible, sino de conseguir el acceso a terapias que aún no tienen autorización de financiación por parte del MSCBS.

Hubo consenso en que tener acceso a tratamientos anti-mieloma cada vez más eficaces, con beneficios sostenidos en el tiempo, es el objetivo principal del abordaje de esta enfermedad, y ninguno de los participantes estuvo de acuerdo con dejar a ninguna población de pacientes con MMRR sin tratamiento para garantizar la sostenibilidad del sistema sanitario. En este sentido, se escucharon algunas propuestas para ayudar a construir un futuro económicamente sostenible para el sistema, sin dejar de lado a ningún grupo de la población con MMRR. Entre ellas, algunos participantes recalcaron la importancia de medir la EMR para determinar qué pacientes muestran menos probabilidades de recaída a corto y mediano plazo, y tienen como mejor opción suspender el tratamiento y mantenerse en seguimiento estrecho. Estandarizar esta medición permitiría disminuir el coste de los tratamientos, eliminando aquellos que resultan innecesarios. Igualmente, se consideró la posibilidad de que el creciente aumento de medicamentos genéricos pudiese liberar presupuesto para cubrir terapias más innovadoras. Se comentaron también algunos aspectos del abordaje del MMRR que se podrían mejorar para que resulte más eficiente, como la necesidad de impulsar una mayor estandarización de los circuitos de atención y los tratamientos, especialmente en primera y segunda líneas.

“Los hospitales tendrían que hacer esfuerzos para establecer circuitos de atención estandarizados para los pacientes con el mismo diagnóstico. Y es que no siempre es así: las cosas dependen del médico de turno, de que esté disponible una cierta prueba, etc. Esto se tendría que evitar y crear vías clínicas que establezcan de forma rutinaria lo hay que pedir para cada paciente, en cada momento de la enfermedad”.

Javier de la Rubia, Hematólogo.

Aunque hoy en día el tratamiento en primera y en segunda línea está cada vez más y mejor estandarizado, se opinó que una mayor inversión en los pacientes de las líneas más tempranas podría reducir el gasto farmacológico en el largo plazo: de conseguir una EMR negativa, el paciente puede mantenerse con un tratamiento muy sencillo durante mucho tiempo.

Uno de los gestores participantes señaló que, aunque la innovación terapéutica en MMRR puede afectar negativamente el presupuesto de un hospital, sobre todo si este es pequeño, el impacto presupuestario de una enfermedad de prevalencia tan reducida como el MM es irrelevante para la sostenibilidad del sistema sanitario en general. En este sentido, resultan más preocupantes las enfermedades que afectan a una gran cantidad de pacientes, que pueden llegar a tener un impacto mayor en detrimento de esta sostenibilidad.

Desigualdades en el acceso a terapias farmacológicas y pruebas diagnósticas entre CC.AA. y dentro de las mismas

Los comentarios de los participantes acerca de la desigualdad en el acceso a fármacos y pruebas diagnósticas para MM cubrieron varios niveles. Todos coincidieron en que la desigualdad de acceso a tratamientos y pruebas entre hospitales de una misma Comunidad Autónoma deberían minimizarse.

“Me preocupan más las diferencias entre territorios homogéneos que las diferencias entre CC.AA., porque es muy difícil explicar que un paciente tenga acceso a un determinado medicamento en el hospital A, y que en el hospital B ese acceso no esté autorizado.”

Félix Rubial, Gestor sanitario.

Se señaló que cuando los pacientes con MM son tratados en hospitales pequeños, suelen tener que ser referidos muchas veces a distintos hospitales grandes para poder ser evaluados por distintas especialidades y recibir las pruebas necesarias. Consideró que sería más eficiente evitar estos viajes, y que el paciente fuera referido desde un inicio a un hospital grande donde reciba todas las alternativas diagnósticas y terapéuticas, incluso si el paciente debe hacer el esfuerzo de trasladarse con frecuencia a un hospital más lejano, pero más grande.

En referencia a la desigualdad de acceso entre las CC.AA., la opinión general fue que, a pesar de los beneficios que aportan, el contar con distintos sistemas regionales de salud tiene la desventaja de que puede existir inequidad en determinadas cosas entre las propias CC.AA., incluyendo la política de medicamento, que es una competencia que, en buena parte, recae en el propio gobierno del Estado. Hubo consenso en que la causa más evidente de las desigualdades de acceso radica en el proceso de acceso al mercado que tenemos en España, donde tras los informes de positivos de la EMA y la AEMPS se somete al fármaco a un proceso de decisión de precio y reembolso que lleva un tiempo muy considerable, para que finalmente las CC.AA. evalúen a su vez si el tratamiento se ofrece o no en sus territorios. Por ende, un paciente de una Comunidad Autónoma puede no tener acceso a un fármaco que está disponible en otra.

Hubo insistencia entre la mayoría de los entrevistados en el tiempo innecesario que transcurre entre la aprobación de comercialización de un fármaco por parte de la EMA, la aprobación de su financiación a nivel nacional, y el proceso de aprobación de cada Comunidad, que en algunas CC.AA. tampoco garantiza el acceso a todos los hospitales, porque cada uno de ellos vuelve a evaluar los beneficios y costes que conlleva comprar el fármaco.

Salieron a relucir varias opciones para mejorar esta situación desde su origen. Entre ellas, que cuando un fármaco sea aprobado por la EMA, las compañías farmacéuticas negocien un precio que se aplique en todos los países europeos a nivel nacional. Se reconoció que eso es complicado, y se sugirió, como posible alternativa que la aprobación de la financiación del fármaco por parte del MSCBS no tenga que volver a pasar por negociaciones de precio en el proceso de acceso regional, para reducir las desigualdades en el acceso. Paralelamente, se reclamó una mayor flexibilidad del precio por parte de los laboratorios farmacéuticos.

“Lo ideal sería que, tan pronto la EMA aprueba un fármaco, existiera la obligación de que cada país revisara el dossier de ese fármaco y acordara un precio con la compañía farmacéutica, que fuera válido para todo el territorio nacional sin tener que volver a pasar por las CC.AA.”

María Victoria Mateos, Hematóloga

Finalmente, un participante del área de gestión administrativa precisó que las diferencias en el acceso a los tratamientos no siempre se derivan del proceso

administrativo actual en España, sino de la variabilidad en la práctica clínica dentro de un mismo territorio.

Condiciones especiales de financiación

Durante la entrevista, se preguntó a cada uno de los participantes su opinión sobre la implementación de condiciones especiales de financiación, como los contratos de riesgo compartido y los techos de gasto, como herramientas para mejorar el acceso a terapias para pacientes de MMRR en los hospitales.

La opinión generalizada entre los entrevistados fue que ambos sistemas representan posibilidades interesantes para generar más certidumbre a quien tiene que tomar la decisión de financiamiento, sobre todo para las patologías de prevalencia pequeña, como el MM, y los fármacos nuevos indicados para tratarlas.

Sobre los contratos de riesgo compartido, hubo consenso acerca de que, en el caso de tratamientos muy costosos, son una opción atractiva para reducir desigualdades en el acceso. Sin embargo, la mayoría de los participantes señaló que, aunque se trata de una aproximación interesante y en la que hay que seguir avanzando, todavía es complejo llevar a cabo un sistema de pago por resultados en la práctica. Si este sistema aplica a demasiados fármacos, se puede convertir en una cuestión muy compleja a nivel de gestión en el hospital, e incluso volverse insostenible en ausencia de un grupo de personas dedicadas específicamente a la monitorización y el registro de las respuestas de los pacientes. En pocas palabras, puede resultar un fracaso por la falta de conexión entre los sistemas de información y el trabajo adicional de registro que se necesita.

“Es necesario avanzar en la firma de contratos de riesgo compartido. Es importante que haya transparencia a la hora de compartir datos, de tal forma que quien asume riesgos con nosotros tenga acceso también a información relevante para analizar claramente sus propios resultados en práctica clínica, en vida real, y que dejemos de pagar por eficacia y seguridad y paguemos por efectividad. El ámbito oncológico y el de las enfermedades raras son probablemente los terrenos mejor abonados para que esto sea factible.”

Félix Rubial, Gestor sanitario.

En el caso del techo de gasto, hubo también acuerdo en que se trata de un instrumento más fácil de aplicar que los contratos de riesgo compartido, y que ayudan a delimitar en cierta medida la incertidumbre económica y a ajustar el gasto farmacéutico para no desestabilizar el presupuesto.

“Son medidas y territorios que se están explorando desde el Ministerio en su legítimo anhelo de tener tratamientos más eficaces y que podamos pagar, y que esta eficacia se pueda medir y conocer. Es aún complicado llevar a cabo el tipo de registros de resultados necesario en un esquema de pago por resultados. Pero en el caso de un techo de gasto, lo único que se intenta es delimitar la incertidumbre económica y garantizar la estabilidad presupuestaria”.

Olga Delgado, Farmacéutica Hospitalaria.

“No creo que, en el futuro cercano, en España, estas vayan a ser herramientas del día a día que provean un elemento diferencial en la utilización de los fármacos. Pero sí creo que pueden facilitar la incorporación de un fármaco dentro de las condiciones de financiación, si la prevalencia es baja y el techo de gasto da certidumbre a los gobiernos. Eso fue muy importante en la anterior crisis y será muy importante en los próximos años.”

José Luis Trillo, Gestor sanitario.

También, se mencionó que la sostenibilidad económica en el largo plazo se debe basar en financiar fármacos en aquellos subgrupos de pacientes para los que se tiene evidencia que hay una mayor respuesta al tratamiento. En ausencia de datos sobre la potencial respuesta de los diferentes grupos, no se puede aprobar la financiación.

“Tenemos que ser eficientes y tener un posicionamiento claro acerca de aquellos subgrupos de pacientes en donde creemos que tendremos una mejor respuesta al tratamiento. Nos puede gustar o no, pero, al final, el que paga decide los tratamientos que se financian y por eso existen negociaciones de precio y acuerdos de riesgo compartido”.

Estela Moreno, Farmacéutica hospitalaria.

Asimismo, se podría financiar de acuerdo al valor que un fármaco tiene para la sociedad, que se podría generar a través de estudios de disposición a pagar. Sin embargo, se señaló que en España la disposición a pagar por una indicación está menos estudiada que en otros países.

“El modelo de precio-reembolso que existe en España es más restrictivo que el que existe en otros países de Europa. Además, la reevaluación de precios en España es más bien estática. No tenemos la estructura para revisar precios de manera dinámica ni capacidad para poner un precio justo al valor que realmente puede aportar un determinado medicamento”.

Félix Rubial, Gestor sanitario.

Innovación terapéutica e informes de posicionamiento terapéutico al margen de la aprobación europea

Los participantes concordaron en que la innovación terapéutica ha crecido mucho a medida que se han abierto nuevas áreas de tratamiento para el MMRR y se requieren nuevos recursos. Se subrayó la importancia de una constante innovación terapéutica que ofrezca más opciones de tratamiento a partir de la tercera línea terapéutica.

“Creo que estamos en una década de mucha innovación terapéutica, y la necesitamos, porque todo lo que hemos inventado hasta ahora lo vamos a gastar de golpe. Esto va a beneficiar a una proporción muy importante de pacientes, pero va a suponer nuevos retos. No vamos a poder tratar al paciente que recae con ciclofosfamida o lenalidomida otra vez.”

Albert Oriol, Hematólogo.

Se expresó de manera generalizada que se necesitan nuevos medicamentos de rescate que sean seguros y eficaces, y hubo de nuevo consenso en el hecho de que un condicionante para que las innovaciones puedan ser financiadas es que se cuente con datos robustos de eficacia.

Se preguntó a los participantes su opinión sobre el hecho de que, en algunos casos, los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPTs) se alejan de la aprobación europea, pudiendo ser la indicación terapéutica o la población financiada más restrictivas que las que están aprobadas por la Comisión Europea y que están reflejadas en la ficha técnica.

La mayoría de las respuestas coincidieron en que últimamente se ha diversificado la composición de los grupos que realizan los IPTs que publica la AEMPS y cada vez se incluyen más conceptos como el de coste-eficiencia o se toma en cuenta el beneficio para los pacientes. No obstante, se identificaron dos problemas. En primer lugar, los IPTs son realizados por personas que no son especialistas en el tema, en vez de ser encargados a médicos especialistas. Se señaló que una de las causas de este problema radica en que los médicos especialistas suelen presentar conflictos de intereses, ya que, al ser invitados frecuentemente a charlas o reuniones de asesoría organizadas por la industria farmacéutica, quedan excluidos como autores para realizar el IPT. El segundo problema es que las personas que toman las decisiones de financiación no son médicos especialistas en MMRR, y no siempre se guían por las recomendaciones del IPT. Por lo tanto, aún si el IPT recomienda la financiación, el pagador puede decidir no financiar el fármaco. El IPT tiene utilidad, pero no es de obligado cumplimiento. Además, se comentó que muchas veces los IPTs están sujetos a recortes por parte de la autoridad sanitaria.

Desde el punto de vista de la gestión se estuvo de acuerdo en que las condiciones de financiación sugeridas por el IPT se restrinjan a una subpoblación determinada, debido al alto coste del fármaco o a la falta de evidencia sobre su eficacia.

Uno de los participantes recordó que, al evaluar el beneficio-riesgo de un medicamento, la EMA no tiene nunca en cuenta el precio. Esto es parte de sus estatutos. Por tanto, la evaluación del precio de un tratamiento en términos del valor que representa el beneficio clínico que tiene para la sociedad, se realiza en cada país, y no tiene por qué ser valorado de la misma manera. Este mismo participante señaló que a día de hoy, en España, si una innovación terapéutica realmente tiene un valor clínico demostrable se financia, por más cara que sea. Sin embargo, cuando la innovación tiene valores clínicos similares a productos que ya están financiados, pero un precio muy superior o cuyas mejoras son pequeñas en términos de conveniencia de beneficio clínico, entonces es posible que se decida no financiar en España. Desde el punto de vista de este participante, eso es lo correcto.

Por último, algunos entrevistados comentaron que en la SEHH se están realizando IPTs que ofrecen la opinión del especialista sobre un esquema determinado de tratamiento, con intención de compartir con la administración la opinión de los médicos especialistas. Estos informes no tienen carácter vinculante, pero son mucho más transparentes que los realizados por la AEMPS porque no están sujetos a recortes por parte de la autoridad sanitaria. Los hematólogos participantes en este proyecto que mencionaron estos informes consideraron que deberían ser válidos para poder tomar decisiones de financiación.

Dado que la aparición de nuevos fármacos es tan frecuente en los últimos años, algunos de los entrevistados pronosticaron que se utilizarán innovacio-

nes terapéuticas constantemente en el futuro cercano, y expresaron la preocupación de que, si su precio es cada vez es mayor, llegará un momento en que el sistema no pueda financiarlas. Es por tanto importante llegar a un acuerdo entre los clínicos, los gerentes, y la administración, por el bien de todos los pacientes, y buscar un horizonte de sostenibilidad a través de recomendaciones en las cuales nadie se sienta excluido. Se señaló que es importante tener en cuenta las restricciones presupuestarias y entender que existen múltiples necesidades que cubrir, pero de lo que se trata es de hacer una repartición justa de los recursos. En este sentido varios hematólogos expresaron el deseo que los clínicos pudieran estar en la formulación de los IPTs, al menos representados por sus sociedades.

Por último, hubo consenso en que los medicamentos genéricos pueden ayudar a la sostenibilidad del sistema, y no solamente de la atención a pacientes con MM. Fármacos como el bortezomib, por ejemplo, se emplean con mucha más tranquilidad porque se trata de genéricos cuyo precio ha caído, y esto beneficia a los pacientes del SNS en general.

“Cuando se cuente con más medicamentos genéricos, el ahorro no será exclusivo para MM, ya que los cotejos del balance presupuestario para el año siguiente no se hacen por patología, sino en función de qué pérdidas de patentes se van a producir. Es decir, los cálculos no se hacen en función de cómo distribuir el montante del ahorro que habrá en MM debido a la entrada de medicamentos genéricos o similares. La introducción de genéricos será positiva para el conjunto de medicamentos del SNS.”

José Luis Trillo, Gestor sanitario.

RETOS IDENTIFICADOS

- Cada año crece la tasa de incidencia y de prevalencia del MM.
- Las nuevas combinaciones de tratamientos impactan en el presupuesto hospitalario, porque los costes se han incrementado significativamente.
- Existe desigualdad en acceso a tratamientos y pruebas entre CC.AA. y entre hospitales dentro de las mismas CC.AA.
- El proceso de acceso al mercado de las innovaciones farmacéuticas conlleva un tiempo significativo, además de que se traduce en desigualdades en acceso entre CC.AA.
- Los contratos de riesgo compartido como condición especial de financiación son útiles, pero difíciles de gestionar.
- Se carece de datos sobre la respuesta a muchos tratamientos nuevos según diferentes grupos poblacionales, lo cual impide aprobar su financiación.
- Los IPTs son realizados por personas no especialistas en MMRR.
- Las decisiones de financiación son tomadas por personas no especialistas en MMRR.

▲ SUGERENCIAS DE MEJORA

- Medir la EMR para determinar qué pacientes con MMRR muestran menos probabilidades de recaída y valorar la suspensión de los tratamientos innecesarios, con seguimiento estrecho.
- Buscar una EMR negativa en líneas tempranas, y mantener tratamientos sencillos por más tiempo.
- Estandarizar los circuitos de atención, los tratamientos y las pruebas, especialmente en primera y segunda líneas.
- Concentrar tratamientos y pruebas de los pacientes tratados en hospitales pequeños en un solo hospital grande, en lugar de varios.
- La industria farmacéutica podría negociar un precio que se aplique en todos los países europeos a nivel nacional.
- Que la aprobación de la financiación del fármaco por parte del Ministerio de Sanidad sea acatada obligatoriamente por todas las CC.AA., para reducir las desigualdades regionales en el acceso.
- Mayor flexibilidad en el precio de las innovaciones terapéuticas por parte de los laboratorios farmacéuticos.
- Fomentar el uso de contratos de riesgo compartido y techos de gasto para medicamentos innovadores, en aras de limitar la incertidumbre económica y de pagar por efectividad del medicamento en vida real.
- Facilitar la transparencia de datos de efectividad y compartirlos con los laboratorios farmacéuticos.
- Buscar maneras de facilitar la administración de los contratos de riesgo compartido.
- Fomentar la investigación para obtener datos sobre la eficacia de los tratamientos innovadores en diferentes grupos de pacientes.
- Financiar fármacos en grupos poblacionales para los que se tiene evidencia sobre una mayor respuesta al tratamiento.
- Promover estudios de disposición a pagar, y financiar de acuerdo al valor que la sociedad le otorga al fármaco.
- Seguir invirtiendo en investigación en innovación terapéutica que ofrezca más opciones de tratamiento a partir de la tercera línea.
- Tomar en cuenta los informes de posicionamiento de la SEHH y sus recomendaciones a la hora de tomar decisiones de financiación.
- Invitar a las sociedades médicas a participar en la formulación de los IPTs.
- Fomentar el uso de medicamentos genéricos siempre que sea posible.

IMPACTO DE LA COVID-19

La pandemia ocasionada por la COVID-19 está creando desafíos importantes en todos los ámbitos de la sociedad, con un impacto masivo en el sistema sanitario. Aún no conocemos el alcance de las secuelas del confinamiento en la población, o las derivadas de las necesidades de salud no atendidas durante este tiempo, y sus implicaciones en la sostenibilidad del SNS¹⁷. De igual manera, en la actualidad existe poca información acerca de pacientes de cáncer o MM en relación a la COVID-19¹⁸. Respecto a los pacientes de MMRR se recomienda que los profesionales sanitarios encargados de su manejo sean proactivos en hablar con sus pacientes para fijar objetivos y planear tratamientos, con el fin de evitar efectos adversos y reducir los riesgos de contagio¹⁸.

Al hablar del impacto que ha podido tener la crisis sanitaria de la COVID-19 en los tratamientos de pacientes de MM y MMRR, los profesionales sanitarios estuvieron de acuerdo en que, durante la primera ola (meses de marzo y abril de 2020) se redujeron significativamente las visitas a los hospitales, lo que derivó en un retaso en los diagnósticos de pacientes nuevos, que llegaban en muy malas condiciones. También, se comentó que se interrumpieron los tratamientos intravenosos y se enlenteció el paso de la atención primaria al especialista. Los participantes coincidieron en que la mortalidad por COVID-19 fue más alta en pacientes con MMRR que en la población general.

“La mortalidad de los pacientes con MM es aproximadamente 30-35% cuando se confirma la infección por COVID-19, mucho mayor que en población general. Son pacientes inmuno-deprimidos, y cualquier infección, incluso la gripe, puede ser potencialmente mortal, pero esta tasa de mortalidad es aún mucho mayor que la tienen con la gripe”.

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

En la primera ola de la pandemia también se paralizó el reclutamiento de candidatos para ensayos clínicos de MM y hubo problemas con el envío de muestras a los laboratorios centrales por falta de vuelos. La falta de movilidad afectó la comunicación y organización de reuniones necesarias para monitorear los ensayos clínicos, hasta que se fueron normalizando las videoconferencias.

“En el mes de marzo se pararon todos los ensayos clínicos en mi hospital. La unidad de ensayos clínicos desapareció: era como una mini isla rodeada de COVID, y se decidió cerrar”.

María Victoria Mateos, Hematóloga.

Pese a todo lo anterior, los participantes coincidieron en que durante las siguientes olas de la pandemia se han hecho esfuerzos por mantener las citas para la administración de tratamientos en los hospitales y el seguimiento adecuado de los pacientes, por vía telefónica o videoconferencia. Los médicos comentaron también que estas alternativas a la visita presencial en muchos casos han venido para quedarse. Coincidieron en que se intentará reducir las visitas de los pacientes al hospital, mientras se pueda hacer un seguimiento apropiado por vía telefónica. Esto podría mejorar la calidad de vida en el día a día de muchos pacientes.

Igualmente, las videoconferencias han supuesto un cambio en el modo de reunirse de los profesionales sanitarios.

“Hay cosas que nos gusta más hacer cara a cara, pero hemos aprendido que la eficiencia de reunirse por este medio es tremenda. Creo, por ejemplo, que no tiene ya sentido hacer un viaje de Granada a Madrid, como hacíamos antes, a alguna reunión de una o dos horas. Yo creo que las videoconferencias han venido para quedarse, y la consulta telefónica a los pacientes, también”.

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

A pesar de estos elementos relacionados con la comunicación, que se mantendrían, y todos los aprendizajes que han sido necesarios para sobrellevar la pandemia, los participantes coinciden en que no perciben nada realmente bueno que se pueda sacar del impacto que ha tenido la COVID-19 en sus vidas personales o profesionales.

“¿Todo esto qué te enseña? Pues no sé si me enseña o no algo. A lo mejor es que yo no quiero que me enseñe nada, porque yo no quiero aprender así.”

Begoña Barragán, Representante de pacientes.

Gracias a la disciplina que se ha aplicado en intentar prevenir las fracturas de la atención sanitaria que trajo la primera ola de la pandemia, se espera que el impacto de la COVID-19 en las siguientes olas haya sido, en alguna medida, menos severo para un grupo tan vulnerable como el de los pacientes de MMRR.

RETOS IDENTIFICADOS

- Retraso en los diagnósticos.
- Reducción de visitas hospitalarias.
- Interrupción de ensayos clínicos.
- Mayor mortalidad por COVID-19 en pacientes con MM.

Los resultados de las entrevistas a los expertos en MMRR pusieron de manifiesto que aún queda mucho por mejorar en el manejo general de esta patología. Su abordaje terapéutico actual y futuro depende de la innovación terapéutica, que en los últimos años ha sido significativa y creciente, de los avances en investigación para poder determinar si la EMR puede usarse como un factor de decisión terapéutica, y de la capacidad de generar condiciones adecuadas para la financiación de los fármacos.

Los participantes coincidieron también en que, para mejorar la calidad de vida de los pacientes de MMRR, el abordaje de esta enfermedad requiere de la coordinación de muchas áreas y especialidades, y que es esencial una buena comunicación y un trabajo en equipo sólido para apoyar y dar contención al paciente.

“Esta enfermedad necesita un acompañamiento de muchos agentes externos, especialistas, asociaciones de pacientes, etc., para manejarla con dignidad y con ilusión. Para que la gente vea que no está sola. Muchas veces los pacientes recién diagnosticados no saben qué es un mieloma y para ellos es el fin del mundo. Entonces creo que un mayor acompañamiento del paciente sería muy deseable.”

Javier de la Rubia, Hematólogo

“Remar juntos siempre aporta beneficios en la asistencia, y en la vida en sí misma”.

Félix Rubial, Gestor sanitario.

Los entrevistados compartieron algunas recomendaciones finales sobre cómo se podría mejorar el abordaje del MMRR. En primer lugar, se subrayó la importancia de apoyar y financiar nuevos ensayos clínicos.

“Tengo la esperanza de que las combinaciones de los nuevos medicamentos puedan reacomodar las diferentes líneas de tratamiento. Que los estudios permitan pasar de un 50% de supervivencia a los cinco años, al 75% en breve. Creo que los estudios son la mayor esperanza que tenemos”.

José Luis Trillo, Gestor sanitario.

“No se puede parar ni la investigación ni el acceso a los tratamientos. Que se aprueben para líneas anteriores. Hay que poner lo mejor en primera línea.”

Teresa Regueiro, paciente y representante de pacientes.

Asimismo, se subrayó que fomentar la financiación y el acceso a nuevas combinaciones no es suficiente. Es indispensable también que los hematólogos estén formados para poder aprovechar todos los beneficios de las innovaciones terapéuticas.

“Tenemos recursos nuevos y los tenemos que saber aprovechar. Como hematólogos nos tenemos que reciclar, porque lo que no nos podemos permitir es tener muy buenas armas y no saberlas usar. Yo creo que es una cosa en la que se hace poco énfasis: los nuevos fármacos hay que saber usarlos. El uso experto de los recursos que tenemos es lo que nos va a dar mejoras.”

Albert Oriol, Hematólogo.

Del mismo modo, los expertos insistieron en la importancia de agilizar los trámites burocráticos para que quienes padecen esta enfermedad no tengan que

preocuparse y trasladarse tanto de un sitio a otro. En este sentido se subrayó tanto la necesidad de brindar al paciente todos los apoyos de especialidades que necesite como la de identificar a aquellos que necesiten menos especialistas involucrados, apoyando a estos últimos para que puedan llevar en lo posible una vida más normal y con más libertad.

“Bastante sufrimiento es tener una enfermedad tan dura como el mieloma, para que encima, por cuestiones de burocracia, el paciente esté “dando vueltas” entre diferentes hospitales y especialistas. Se le puede ayudar mucho unificando y evitando consultas, evitando y agilizando trámites. Todo lo que esté en nuestra mano para hacer más llevadero el itinerario del paciente, porque tiene un contrato para toda la vida con nosotros”.

Rafael Ríos Tamayo, Hematólogo.

“El trabajo en equipo y la comunicación entre el equipo y con el paciente son fundamentales. Iremos avanzando si trabajamos todos juntos.”

Estela Moreno, Farmacéutica hospitalaria.

“Todos tenemos que remar en la misma dirección: en el centro de la barca tiene que estar el paciente, y no podemos olvidarnos nunca de él, pero sin atosigarlo. Hay pacientes que necesitarán de nutricionista, fisioterapia, traumatólogo, psicólogo, cura. A ese paciente hay que darle todo, pero el paciente que no precise de todo eso, démosle libertad para que no se sienta enfermo y haga su vida normal.”

María Victoria Mateos, Hematóloga.

“Entre todos los que nos debemos a los pacientes, incluyendo las asociaciones, debemos pedir para ellos lo que nos gustaría tener nosotros si estuviésemos en esa situación.”

Begoña Barragán, representante de pacientes.

“En los últimos años se ha dado una esperanza a estos pacientes en términos de diagnóstico, de respuestas y de disponibilidad de tratamientos. Creo que esta es muy buena noticia y seguiremos trabajando en ello”.

Olga Delgado, Farmacéutica hospitalaria.

REFERENCIAS

1. International Classification of Diseases 11th Revision: The global standard for diagnostic health information. International Classification of Diseases 11th Revision: The global standard for diagnostic health information <https://icd.who.int/> (2018).
2. Lin, P. Multiple Myeloma and Other Plasma Cell Neoplasms. in Hematopathology 642–663 (Elsevier, 2018).
3. Teh, B. W. et al. Changing treatment paradigms for patients with plasma cell myeloma: Impact upon immune determinants of infection. *Blood Reviews* **28**, 75–86 (2014).
4. Bray, F. et al. Global cancer statistics 2018: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries. *CA: A Cancer Journal for Clinicians* **68**, 394–424 (2018).
5. Blimark, C. et al. Multiple myeloma and infections: a population-based study on 9253 multiple myeloma patients. *Haematologica* **100**, 107–113 (2015).
6. Brioli, A. et al. The risk of infections in multiple myeloma before and after the advent of novel agents: a 12-year survey. *Annals of Hematology* **98**, 713–722 (2019).
7. Kumar, S. K. et al. Continued improvement in survival in multiple myeloma: changes in early mortality and outcomes in older patients. *Leukemia* **28**, 1122–1128 (2014).
8. Fonseca, R. et al. Trends in overall survival and costs of multiple myeloma, 2000–2014. *Leukemia* **31**, 1915–1921 (2017).
9. Maiese, E. M., Evans, K. A., Chu, B.-C. & Irwin, D. E. Temporal Trends in Survival and Healthcare Costs in Patients with Multiple Myeloma in the United States. *Am Health Drug Benefits* **11**, 39–46 (2018).
10. AEAL, Asociación Española de Afectados por Linfoma, Mieloma y Leucemia. INFORME de RECOMENDACIONES para la ATENCIÓN de CALIDAD del MIELOMA MÚLTIPLE. https://www.sehh.es/images/stories/recursos/2017/11/21/AEAL_Recomendaciones_para_Atenci%C3%B3n_de_Calidad_MM.pdf (2017).
11. Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia. Acciones dirigidas a la normalización de la vida de los pacientes con Mieloma Múltiple y sus familiares. (2018).
12. Mikhael, J et al. Treatment of Multiple Myeloma: ASCO and CCO Joint Clinical Practice Guideline. *Journal of Clinical Oncology* (2019).
13. Consejo General de Colegios Farmacéuticos. Mieloma Múltiple. Punto Farmacológico No 144. (2020).
14. Fajardo, S., Zook, F. & Dotson, E. Specialty pharmacy for hematologic malignancies. *Am J Health Syst Pharm* **73**, 797–809 (2016).
15. Rudolph, C., Petersen, G. S., Pritzkeleit, R., Storm, H. & Katalinic, A. The acceptance and applicability of a patient-reported experience measurement tool in oncological care: a descriptive feasibility study in northern Germany. *BMC Health Services Research* **19**, 786 (2019).
16. Fernández i Alegre, R., Argenter i Giralt, M. & Rodríguez i Guasch, X. Sostenibilidad y excelencia del sistema sanitario catalán. Nuevos paradigmas, retos y respuestas. *Med Clin (Barc)* **145**, 8–12 (2015).
17. European Centre for Disease Prevention and Control (ECDC). Coronavirus disease 2019 (COVID-19) in the EU/EEA and the UK – ninth update 23 April 2020. (2020).
18. Jethava, Y., Fonseca, R. & Landgren, O. Management of multiple myeloma during COVID-19 pandemic. *Leuk Res Rep* **14**, 100212 (2020).

Realizado por:

weber ^{Fundación} weber

Con la colaboración de:

Sin Límites
Avances para todos en Mieloma Múltiple

SANOFI GENZYME 