

**Revisión exploratoria de la literatura
(Scoping Review) sobre los modelos de
financiación para enfermedades
huérfanas y para enfermedades
oncológicas - AstraZeneca**

Versión 1

Mayo 2024

NX2023_096 Revisión exploratoria de la literatura (Scoping Review) sobre los modelos de financiación para enfermedades huérfanas y para enfermedades oncológicas - AstraZeneca

Autores

Metodólogos

Lina María Rincón Martínez. Flga, Esp. Epidemiología General, MSc(c) Epidemiología Clínica. Investigadora de Medicina Basada en la Evidencia – NeuroEconomix

Lina María Gómez Espitia. MD, Esp. Epidemiología, MSc Epidemiología Clínica. Directora de Medicina Basada en Evidencia - NeuroEconomix.

Jahir Alexander Soto Mora. FT, MSc Epidemiología Clínica. Investigador de Medicina Basada en la Evidencia-NeuroEconomix.

Jimena García. QF- MSc Epidemiología Clínica. Investigadora de Medicina Basada en la Evidencia-NeuroEconomix.

Adriana Ramírez. QF- MSc Epidemiología Clínica. Investigadora de Medicina Basada en la Evidencia-NeuroEconomix.

Pieralessandro Lasalvia.MD, PhD(c) en Epidemiología Clínica. Director Técnico – NeuroEconomix.

Diego Rosselli. MD. Neurólogo. Director general – NeuroEconomix

Entidad que solicita la evaluación

Esta revisión exploratoria fue solicitada por AstraZeneca.

Fuentes de financiación

AstraZeneca, Colombia

Conflictos de interés

Los autores declaran que no existe ningún conflicto de interés invalidante de tipo financiero, intelectual, de pertenencia o familiar que pueda afectar el desarrollo de esta evaluación de efectividad y seguridad.

Declaración de independencia editorial

El desarrollo del presente protocolo se realizó de manera independiente, transparente e imparcial por parte de los autores.

Derechos de autor

Los derechos de propiedad intelectual del contenido de este documento son del grupo desarrollador integrado por los autores. Lo anterior, sin perjuicio de los derechos morales y las citas y referencias bibliográficas enunciadas.

NX2023_096 Revisión exploratoria de la literatura (Scoping Review) sobre los modelos de financiación para enfermedades huérfanas y para enfermedades oncológicas - AstraZeneca

Correspondencia

Para emitir comentarios sobre este protocolo, facilitar evidencia o información complementaria, escriba a:

NeuroEconomix. Calle 45 # 9-42 oficina 403

<http://www.neuroeconomix.com/> - lrincon@neuroeconomix.com

1. Objetivo y alcance de la evaluación

1.1. Objetivo

Identificar, caracterizar y resumir la evidencia científica disponible a nivel local e internacional sobre los modelos de financiación para enfermedades huérfanas y enfermedades oncológicas mediante una síntesis narrativa de la evidencia.

1.2. Alcance

Desarrollar un documento que describa y caracterice los modelos de financiación para enfermedades huérfanas y enfermedades oncológicas, mediante síntesis narrativa de la literatura existente identificada, tanto en el contexto local como internacional.

2. Pregunta de investigación

La presente revisión exploratoria de la literatura se desarrollará siguiendo la metodología planteada por Arksey & O'Malley (2005) y la actualización de la metodología realizada por el Joanna Briggs Institute (JBI) para el "Scoping Review" (1–3) y estará enmarcada en la siguiente pregunta de investigación:

Para el tratamiento de pacientes con enfermedades raras o enfermedades oncológicas, ¿cuáles son los modelos de financiación existentes de acuerdo con la evidencia científica local e internacional?

La formulación de esta pregunta de investigación se basó en la revisión de evidencia identificada mediante búsquedas exploratorias en diferentes bases de datos, incluyendo las siguientes fuentes:

- EMBASE, Elsevier
- The National Institute for Health and Care Excellence - NICE
- Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health – CADTH
- Google Scholar y Google

En la Tabla 1 se presenta la pregunta de investigación desagregada en cada uno de sus componentes empleando la estructura PCC "Población, Concepto, Contexto" sugerida para el desarrollo de un Scoping Review.

Tabla 1. Pregunta de evaluación para la revisión exploratoria

Población	Pacientes con enfermedades raras o enfermedades oncológicas
Concepto	Modelos de financiación para tratamiento - Región geográfica

	- Complejidad - Arquetipo de programas - Partes interesadas - Resultados obtenidos
Contexto	o Sistemas de Salud
Consideraciones acerca de los comparadores y desenlaces no incluidos en esta pregunta	
	o Ninguna

3. Criterios de elegibilidad

3.1. Criterios de inclusión

- Población, concepto y contexto incluidos en la pregunta de investigación.

Población: Se considerará cualquier definición de enfermedad rara (huérfana) empleada en los documentos, excepto el cáncer que será considerado de manera independiente.

Concepto: Se acoge la definición de modelos de financiación dada por la OCDE (4): “Acuerdos entre un fabricante y un pagador/proveedor que permiten el acceso a (cobertura/reembolso de) una tecnología sanitaria sujeta a condiciones específicas. Estos acuerdos pueden utilizar una variedad de mecanismos para abordar la incertidumbre sobre el desempeño de las tecnologías o para gestionar la adopción de tecnologías con el fin de maximizar su uso efectivo o limitar su impacto presupuestario”.

Contexto: Se considerará cualquier acuerdo establecido dentro de un sistema de salud, representado por pagadores de atención médica, departamentos gubernamentales o autoridades nacionales responsables de las decisiones de cobertura o fijación de precios y/o evaluación de tecnologías sanitarias (ETS) (4).

- Diseño, calidad metodológica y de reporte

Diseño: Se incluirá todo tipo de literatura identificada que permita obtener información mínima sobre la pregunta de investigación, incluyendo estudios de investigación primaria y secundaria, directrices, resúmenes de política (*Policy Brief*) y documentos similares.

Calidad metodológica: La calidad metodológica no será considerada un criterio de elegibilidad.

Calidad de reporte: Se incluirán documentos que reporten información mínima básica sobre la pregunta de investigación, es decir, aquellos que permitan identificar y definir el tipo modelo de financiación, el entorno de implementación y algunas de sus características.

- Formato, idioma y fecha de publicación de los estudios.

Formato de publicación: se tendrán en cuenta documentos disponibles en publicación completa.

Idioma de publicación: inglés o español.

Estado de publicación: estudios publicados, en prensa o literatura gris.

Fecha de publicación: No se considerará criterio de elegibilidad, pero según el volumen de evidencia se priorizará evidencia identificada publicada en los últimos 20 años.

3.2. Criterios de exclusión:

Se excluirán documentos que traten sobre modelos de financiación de la investigación, es decir aquellos realizados con el fin de financiar el desarrollo de nueva tecnología, así como aquellos que solo presenten resultados de evidencia de mundo real (*Real World Evidence*) obtenida durante la implementación de los modelos de financiación.

4. Metodología para desarrollar la pregunta de evaluación

4.1. Búsqueda de estudios

Se llevará a cabo una búsqueda sistemática y exhaustiva de literatura por personal entrenado. Todo el proceso se acogerá a las recomendaciones dadas por Arksey & O'Malley (2005) (1) y la actualización de la metodología realizada por el Joanna Briggs Institute (JBI) para el "Scoping Review" (2,3).

Para la búsqueda de evidencia en el contexto local, se realizará una búsqueda dirigida a diferentes recursos disponibles como:

- Consulta en revistas electrónicas y organizaciones relevantes que identifiquen evidencia científica en el contexto local.
- Uso de Google y Google Scholar (como fuente de literatura gris).
- Búsqueda manual "en bola de nieve" mediante la revisión del listado de referencias bibliográficas de los estudios seleccionados e identificados en el contexto local.

4.1.1. Búsqueda en bases de datos electrónicas

Se realizará una búsqueda exhaustiva en bases electrónicas con el fin de encontrar artículos de investigación a nivel local e internacional, optando por una metodología sensible que permitirá incluir toda la evidencia disponible sobre los modelos de financiación para el tratamiento de enfermedades raras y enfermedades oncológicas.

Para identificar publicaciones indexadas, se consultarán las siguientes fuentes:

- MEDLINE, incluyendo los repositorios *In-Process & Other Non-Indexed Citations* y *Daily Update* (plataforma Ovid).
- EMBASE (*Elsevier*)
- Cochrane Database of Systematic Reviews (plataforma Ovid)
- LILACS (Biblioteca Virtual en Salud - BVS, interfaz iAHx)
- Health Technology Assessment Database (plataforma Ovid)
- Red de Evaluación de Tecnologías en Salud de las Américas - RedETSA
- Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía - AETSA
- Centro Nacional de Excelencia Tecnológica en Salud (CENETEC)
- Organización Panamericana de la Salud - OPS
- Organización Mundial de la Salud - OMS
- Ministerio de Salud y Protección Social, Colombia
- Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS
- Otras páginas públicas de entidades de salud de la región y gubernamentales

Se diseñará una estrategia de búsqueda genérica con base en los términos clave “managed entry agreements”, “managed access agreements”, “rare disease”, “orphan”, “cancer therapy” y “neoplasms” y compuesta por vocabulario controlado (MeSH, Emtree y DeCS) y lenguaje libre, considerando sinónimos, abreviaturas, acrónimos, variaciones ortográficas y plurales. La sintaxis se complementará con expansión de términos controlados, identificadores de campo, truncadores, operadores de proximidad y operadores booleanos, sin límites ni restricciones. La estrategia se adaptará para las diferentes fuentes de información.

4.1.2. Métodos de búsqueda complementarios

Se usarán métodos de búsqueda complementarios para identificar evidencia científica a nivel internacional:

- Herramienta “Similar articles” de PubMed: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/>
- Búsqueda de información en las bases de datos especializadas como: Orphanet, Orphan working group, European Union Committee of Experts on Rare Diseases)
- Búsqueda en revistas claves y organizaciones relevantes que identifiquen guías de práctica clínica y conferencias

4.2. Tamización de referencias y selección de estudios

La tamización de referencias basada en título y resumen se efectuará por dos revisores de forma independiente. Los desacuerdos entre los pares serán resueltos por consenso. Dos revisores realizarán la selección de estudios verificando los criterios de elegibilidad en el texto completo de las referencias preseleccionadas. Los resultados de estas fases se resumirán mediante un diagrama de flujo propuesto por la declaración PRISMA en su versión para Scoping Review (PRISMA-ScR) (5).

4.3. Extracción de datos y síntesis de la evidencia

Las características de los estudios serán resumidas a partir de lo reportado en el documento original, empleando formatos estandarizados. Todo el proceso estará a cargo de un revisor y se complementará el control de calidad por un segundo revisor, confrontando los resultados incluidos en el reporte de evaluación con los resultados presentados en el documento original como:

- Autor
- Año de publicación
- Origen de la fuente/país de origen
- Objetivo/propósito
- Tipo de documento
- Condición (patologías específicas)
- Región geográfica
- Complejidad
- Arquetipo de programas
- Partes interesadas
- Principales resultados relacionados logrados

Se creará un archivo en Excel para el manejo y extracción de los datos obtenidos de los estudios incluidos en la selección, con información principal de cada publicación y los desenlaces evaluados. La validación de la extracción de la información extraída será realizada por un segundo metodólogo.

Con los datos obtenidos de cada estudio para los desenlaces de interés se realizará una síntesis narrativa de la evidencia, haciendo uso de cuadros resumen o tablas de evidencia, además de las características de los estudios.

5. Preguntas de consulta pública

¿Existe evidencia científica que cumplan los criterios de elegibilidad descritos en este protocolo? Por favor, adjunte los estudios o cite las fuentes correspondientes.

¿Existe alguna consideración especial acerca de la evidencia científica que sea relevante para esta revisión exploratoria?

Nota: la información suministrada será analizada e incluida en el reporte final a juicio del grupo desarrollador de la evaluación.

Referencias

1. Arksey H, O'malley L. Scoping studies: towards a methodological framework. *Int J Soc Res Methodol*. 2005;8(1):19-32.
2. Peters MD, Marnie C, Tricco AC, Pollock D, Munn Z, Alexander L, et al. Updated methodological guidance for the conduct of scoping reviews. *JB I Evid Synth*. 2020;18(10):2119-26.
3. Peters MD, Godfrey CM, McInerney P, Soares CB, Khalil H, Parker D. The Joanna Briggs Institute reviewers' manual 2015: methodology for JBI scoping reviews. 2015;
4. Wenzl M, Chapman S. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward. 2019;
5. Tricco AC, Lillie E, Zarin W, O'Brien KK, Colquhoun H, Levac D, et al. PRISMA extension for scoping reviews (PRISMA-ScR): checklist and explanation. *Ann Intern Med*. 2018;169(7):467-73.