

Experiencia y resultados de una Unidad de Evaluación de Tecnologías Sanitarias Hospitalaria

Marcela Rousseau, Farmacéutica, Mg en Farmacoepidemiología

rousseau.marcela@gmail.com

Graciela Demirdjian, Medica Pediatra. Mg en Efectividad Clínica

Hospital de Pediatría Juan P. Garrahan.

Resumen

La Unidad de Evaluación de Tecnologías Sanitarias Hospitalaria (UETS) cuenta desde 2019 con un Sector de Evaluación de Medicamentos que evalúa todas las solicitudes de medicamentos de alto precio o alto riesgo. Los informes realizados no son vinculantes. También realiza evaluaciones proactivas

Objetivo :Analizar producción y tiempos de respuesta, costo anual por paciente, recomendaciones, aceptación por parte de la dirección y resultados en los pacientes de los medicamentos incorporados durante los últimos cinco años.

Metodología Hospital de Pediatría Juan P. Garrahan. Diseño: descriptivo, retrospectivo Población: pacientes del hospital. Se analizó la proporción de informes completos y rápidos, la tasa de rechazo, el tiempo de respuesta, el costo anual por paciente y resultados clínicos en los pacientes

Resultados El Sector de Evaluación de Medicamentos elaboró 24 informes (el 56 % fueron completos), el 76 % correspondió a alto precio y el 96 % fueron aceptados por la dirección. La mediana del tiempo de respuesta fue de 106 días (rango: 5 a 511). Las recomendaciones incluyeron aprobaciones para afecciones restringidas (36 %) y rechazos (21 %). El costo anual estimado por paciente osciló entre USD 1.757 y USD 314.265. El seguimiento de seis medicamentos durante un mínimo de dos años en 44 pacientes que cumplieron con las recomendaciones de uso restringido y no presentaron resultados clínicos que justificaran la desinversión.

Conclusiones

A pesar de las recomendaciones no vinculantes, la aceptación fue alta.

Los informes clínicos de los resultados de los pacientes permitieron la revisión de las decisiones tomadas.

Palabras claves: Unidad de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, medicamentos alto costo, selección de medicamentos, hospital

Summary

Since 2019, the Hospital Health Technology Assessment Unit (UETS) has had a Drug Evaluation Sector that assesses all requests for high-priced or high-risk medications. The reports produced are not binding. It also conducts proactive evaluations.

Objective: To analyze production and response times, annual cost per patient, recommendations, management acceptance, and patient outcomes for medications added during the last five years.

Methodology: Juan P. Garrahan Pediatric Hospital. Design: descriptive, retrospective. Population: hospital patients. The proportion of complete and timely reports, the rejection rate, response time, annual cost per patient, and clinical outcomes were analyzed.

Results: The Drug Evaluation Sector produced 24 reports (56% were complete), 76% of which were for high-priced drugs, and 96% were accepted by management. The median response time was 106 days (range: 5 to 511). Recommendations included approvals for restricted conditions (36%) and rejections (21%). The estimated annual cost per patient ranged from USD 1,757 to USD 314,265. Six drugs were followed for a minimum of two years in 44 patients who met the restricted-use recommendations and did not present clinical outcomes justifying discontinuation.

Conclusions: Despite the non-binding recommendations, acceptance was high.

Clinical reports of patient outcomes allowed for a review of the decisions made.

Keywords: Health Technology Assessment Unit, high-cost drugs, drug selection, hospital

Introducción

La Evaluación de Tecnología Sanitaria (ETS) se define como la Evaluación sistemática de las propiedades, efectos y/u otros impactos de las tecnologías sanitarias (TS), comprende un proceso multidisciplinario que utiliza métodos explícitos para determinar el valor de una tecnología sanitaria en diferentes puntos de su ciclo de vida. El propósito es informar la toma de decisiones para promover un sistema de salud equitativo, eficiente y de alta calidad .

Las tecnologías sanitarias están representadas por medicamentos, dispositivos y procedimientos médicos y quirúrgicos usados en la atención médica, así como a los sistemas de organización, administración y soporte dentro de los cuales se proporciona dicha atención. Incluye también prácticas y procedimientos clínicos, instrumental médico, productos farmacéuticos y sistemas de organización

La ETS tiene como objetivo otorgar información científica de calidad para la toma de decisiones acerca de las tecnologías sanitarias y promover un sistema de salud equitativo, eficiente y de alta calidad mediante la asignación adecuada de los recursos, basada en el análisis sistemático de la mejor evidencia científica disponible. Puede aplicarse en diferentes puntos del ciclo de vida de una tecnología de salud, es decir, antes

de la comercialización, durante la aprobación del mercado, después de la comercialización, hasta la desinversión de una tecnología de salud y se caracteriza por ser formal y transparente .

A diferencia de la instancia de aprobación de medicamentos por parte de una agencia del medicamento (FDA, ANMAT, EMA), que se hace en base a estudios que demuestran eficacia, y seguridad, sin establecer comparaciones, la ETS se basa cotejar el valor sanitario de la TS entre varias disponibles según consideraciones de relación eficacia, la seguridad, la calidad y el costo .

Los niveles de decisión en ETS comprenden distintos niveles de decisión: el nivel macro comprende altos niveles de decisión, ej. a nivel de un ministerio e involucra las políticas de salud puede abarcar países, provincias, regiones sanitarias; el nivel meso se refiere a instituciones de salud, ej. hospitales y el nivel micro es la decisión en la práctica médica con el paciente .

La ETS tiene mayor injerencia en políticas públicas e instituciones, en el nivel micro, ETS se manifiesta principalmente en las Guías de práctica clínica basadas en la evidencia⁵.

El Hospital de Pediatría Juan P. Garrahan es un centro pediátrico de alta complejidad de tercer nivel de atención, con más de 500 camas de las cuales 120 corresponden a cuidados críticos, posee programas únicos en Argentina en un hospital público como ECMO, trasplante hepático, renal, cardiaco, células hematopoyéticas, enfermedades del metabolismo, oncología y otros. En este contexto es frecuente el pedido de incorporación de TS de alto costo que requieren análisis integrales con procesos que faciliten la toma de decisión. Para ello se realiza un análisis completo de la evidencia científica mediante la realización de informes breves o completos de ETS por parte de la Unidad de Evaluación de Tecnología Sanitaria (UETS) que son el “puente” para facilitar las decisiones finales a cargo de la dirección del hospital .

La UETS se creó en 2019 en el Hospital Garrahan, con una coordinación a cargo de una médica metodóloga y dos sectores: uno Sector de Evaluación de Medicamentos y otro de Evaluación de equipos y tecnologías médicas a cargo de farmacéuticas .

El Sector de Evaluación de Medicamentos de la UETS analiza la incorporación de nuevos medicamentos o resuelve cuestiones no relacionadas a la incorporación como causas de amparos judiciales o revisión de la seguridad. También realiza evaluaciones proactivas, como análisis anuales del gasto en medicamentos de farmacia, la variabilidad del uso de medicamentos, la sobreutilización, las tendencias de consumo, la intercambiabilidad entre biosimilares y la farmacovigilancia.

El Sector de Evaluación de Medicamentos de la UETS como parte de la política de calidad de la institución revisa periódicamente su actuación y el impacto obtenido en los pacientes.

Los objetivos del estudio son analizar la producción y tiempos de respuesta, el costo anual por paciente de los medicamentos evaluados, la proporción de recomendaciones de rechazo, la aceptación por parte de la dirección y los resultados en los pacientes con los medicamentos incorporados durante los últimos cinco años por parte de la Coordinación de evaluación de medicamentos de la UETS.

Material y Métodos

Estudio descriptivo observacional llevado a cabo desde marzo de 2019 a diciembre de 2024 con datos propios de la UETS en el Hospital Garrahan.

El proceso de incorporación de medicamentos en el hospital al Formulario Farmacoterapéutico sigue un procedimiento estandarizado: la primera solicitud se envía al Comité de Farmacia y Terapéutica, que realiza una evaluación de pertinencia inicial. Todas las solicitudes de incorporación de medicamentos de alto costo o alto riesgo o aquellas que tuvieran un impacto organizacional significativo se envían a la UETS para su revisión sistemática, ésta confecciona informes de ETS que pueden recomendar la aprobación del medicamento, la incorporación bajo condiciones restringidas, la utilización bajo protocolos específicos, o su rechazo. Por sus características e inmediatez, los informes de ETS pueden ser breves o completos (ver figura 1).

Los informes de ETS no son vinculantes, pero son el sostén para respaldar la toma de decisiones por parte de la Dirección.

Se analizó la proporción de informes completos y rápidos con sus correspondientes recomendaciones elaborados por el Sector de Evaluación de medicamentos de la UETS en respuesta a la solicitud de incorporación, según las siguientes definiciones:

Aprobación o incorporación: la evidencia de eficacia y seguridad es lo suficientemente alta y su costo-efectividad conveniente para recomendar su aprobación de incorporación.

Uso restringido: existe evidencia de eficacia y seguridad, pero por diferentes razones: alto riesgo, eficacia tomada por extrapolación de estudios en adultos, alto costo/efectividad se posicionan con recomendaciones precisas de uso que pueden ser: poblaciones con factores de riesgo o refractariedad a tratamientos previos. Estas recomendaciones se explicitan con detalle en el informe, ej con scores o diagnósticos determinados que deben cumplir los pacientes para su utilización.

Uso bajo protocolo de investigación: para los casos de muy escasa evidencia y donde exista la factibilidad de generar la evidencia necesaria en el hospital, se puede recomendar (sujeto la aprobación de Dirección) que el solicitante elabore un protocolo de investigación que se remite a la UETS para ser evaluado por el Comité de Revisor de Ética e Investigación (CREI) para su aprobación. La Coordinación de Investigación también puede solicitar a la UETS informes técnicos sobre estudios de nuevos medicamentos y otras nuevas tecnologías que se presentan por la vía protocolos de investigación, la incorporación al formulario farmacoterapéutico aprobados para esta categoría queda supeditada los resultados del estudio que son analizados por la UETS junto a la nueva evidencia aparecida durante ese periodo para la reevaluación en un nuevo informe de ETS

No incorporación: la evidencia de eficacia y seguridad es lo suficientemente alta para NO recomendar su aprobación de incorporación⁸.

Se analizaron también los informes surgidos por otros motivos distintos a la incorporación y sus causas, el tiempo de respuesta de cada evaluación por parte de la UETS, si se trató de informes completos cuando se realiza una valoración sistemática y detallada de una TS o breves: son versiones resumidas de los informes completos, destinados a entregar información clave de manera rápida a tomadores de decisiones⁹ ; la naturaleza de pertenecer o no al grupo de alto precio según la siguiente definición interna:

- Medicamentos de alto precio unitario: cuyo precio por unidad de dispensación se encuentre por encima de un valor a designar según mercado.
- Medicamentos de alta valorización por consumo anual: todos aquellos medicamentos adquiridos por el hospital cuya valorización del consumo acumulado del año anterior se encuentre dentro del ranking de los primeros 50 medicamentos⁶.

También se estudiaron el grado de aceptación por parte de la dirección de los informes y el costo anual por paciente de cada medicamento analizado en pesos argentinos (\$) y dólares estadounidenses (UDS).

Para aquellos medicamentos analizados con anterioridad a 2 años (Vedolizumab, ustekinumab, burosumab, dinutuximab, letermovir y burosumab) se analizaron los resultados clínicos en los pacientes de acuerdo a: respuesta completa, respuesta parcial, no respuesta, no evaluable o muerte. Esta información fue solicitada a cada médico especialista solicitante del medicamento.

Resultados

En cinco años, el Sector de Evaluación de Medicamentos de la UETS elaboró 24 informes (el 56 % fueron completos). De estos, el 76 % correspondió a medicamentos de alto costo y el 96 % fueron aceptados por la dirección. La mediana del tiempo de respuesta fue de 106 días, rango: 5 a 511 (Tabla 1). El detalle de los informes de ETS realizados según los años de publicación puede verse en la figura 2.

Las recomendaciones incluyeron aprobaciones para situaciones médicas restringidas (36 %) y rechazos (21 %) motivado por problemas de seguridad, falta de evidencia de eficacia o alto impacto presupuestario.

Los informes de ETS relacionados a la incorporación fueron: Trametinib, Gadoxetato, Terapia para COVID 19, Cisapride, Ruxolitinib, Vedolizumab, PIMS COVID 19, Emicizumab, Deferasirox, Belimumab, Immunoglobulina G SC, Letermovir, Dinutuximab, Ustekinumab y Burosumab, de los cuales se recomendó la no incorporación de Trametinib por falta de evidencia y Cisapride, por cuestiones de seguridad, aun en el uso restringido para Reflujo Gastroesofágico Severo. Todos constituían medicamentos de alto costo, con excepción de Cisapride y terapia inicial COVID 19.

Los informes de ETS no relacionados a la incorporación que involucraron situaciones de alto costo fueron: sistemas de automatización de la farmacia (se trató de un análisis de equipos disponibles y su priorización para automatizar la distribución de medicamentos), Vosoritide (informe breve y luego completo) niservimab, maralixibat e Impacto Presupuestario de Medicamentos de Alto Costo. Los informes de vosotiride y maralixibat fueron realizados para responder a amparos judiciales como entidad de consulta de juzgados que piden opinión formal al Hospital Garrahan, sin que fueran solicitados para nuestros propios pacientes. Otros informes de ETS no relacionados a la incorporación de otro carácter fueron: amikacina en monitoreo plasmático en enfermedad fibroquística del páncreas y problemáticas de biosimilares en surfactante pulmonar y hormona de crecimiento.

Los informes realizados a pedidos de la dirección por inquietudes propias fueron: los relacionados con la problemática de los biosimilares y el monitoreo plasmático de amikacina en enfermedad fibroquística del páncreas.

Por iniciativa propia con acuerdo de la dirección se realizaron los Impacto Presupuestario de Medicamentos de Alto Costo, sistemas de automatización de la farmacia, terapia de COVID 19 y PIMS COVID 19.

En la figura 3 puede observarse la distribución de las recomendaciones de los informes respecto a su calidad de alto precio o no alto precio. Todas las recomendaciones de uso restringido, un 40 % de las de aprobación y un 20 % las de no aprobación corresponden a alto costo.

El costo anual estimado por paciente de los medicamentos evaluados osciló entre ARS 10.528 y ARS 304.837.050 (USD 1.757 y USD 314.265), correspondiendo a los de mayor costo año paciente a Burosumab (UDS 163 000) y Dinutuximab (UDS 171 000)

El seguimiento durante un mínimo de dos años incluyó seis medicamentos con un total de 44 pacientes, que cumplieron con las recomendaciones de uso restringido, tuvieron respuestas completas y parciales, siendo el ruxolitinib el de peor respuesta (FIG 4)

Discusión

La tarea de ETS hospitalaria referida a medicamentos permite realizar decisiones más rápidas y ajustadas a la realidad local evitando inversiones innecesarias y priorizando las TS de mejor valor . En nuestra experiencia hemos tenido tiempos de respuesta muy variables que se debieron a la urgencia y a las solicitudes coexistentes en un mismo momento, las respuestas se programaron siempre en base a la urgencia de la respuesta.

A pesar de las recomendaciones no vinculantes, la aceptación por parte de la gerencia fue alta (96 %), ya que autores como Sampietro et al consideran este valor mayo al 50 % .

Los costos elevados de los medicamentos evaluados requieren de la coordinación de cobertura con otras instituciones ya sea cobertura sanitaria o ministerios, ya que se dificulta la provisión por nuestro hospital, en

ese sentido la dirección del hospital define los procedimientos internos y coordina la comunicación con esas instituciones.

La judicialización de la salud es cada vez más alta no solo en Argentina, sino en la región, por ej. en Uruguay en 2024 se registraron 2.027 amparos judiciales por medicamentos y tratamientos, lo que representa un incremento del 26% respecto a los 1.610 amparos registrados en 2023 . En Argentina un informe que comprendió los años 2017–2022 de la Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio reportó un total de 131 amparos activos al 31 de diciembre de 2022. De estos, el 62,3% correspondía a enfermedades poco frecuentes, el 24,6% a enfermedades oncológicas y el 13% a otras patologías . El hospital Garrahan no escapa a esta realidad por la alta complejidad de las patologías allí tratadas, entre ellas enfermedades poco frecuentes y oncológicas, por eso es consultado cada vez con mayor frecuencia por diversos Juzgados que reciben amparos para coberturas de medicamentos de alto costo, siendo el vosoritide para tratamiento de la acondroplasia el más requerido. Todas las respuestas se acompañan del informe de ETS realizado en UETS, que aún no recomienda su uso por la limitada evidencia científica en resultados claves de la patología.

Si bien la mayoría de los informes realizados fueron completos, los breves, generalmente se realizaron por pedido de la dirección para inquietudes puntuales ante el abastecimiento de medicamentos con alguna controversia Ej. biosimilaridad, nuevas coberturas ante virus sincicial respiratorio, y otros que hacen a la priorización de compra como la automatización de la farmacia en la distribución de medicamentos.

El informe sobre Impacto presupuestario medicamentos de alto costo resumió la problemática de los 10 medicamentos de alto impacto en el gasto del hospital y se propusieron estrategias para su abordaje principalmente a través de aumento de la adherencia a las recomendaciones de las Guías de Atención Pediátrica existentes y asegurar la situación actual y perspectiva futura de la cobertura de los bancos de drogas oncológicas, que por su retraso de entrega hizo necesario la compra por parte del hospital.

El seguimiento y los informes clínicos de los resultados de los pacientes permitieron la revisión de las decisiones tomadas, en la mayoría de los casos hubo respuesta completa o parcial a los tratamientos, solo en cuatro pacientes no se pudo hacer la evaluación por no haber cumplido el plazo razonable para considerar el resultado clínico. En el caso de ruxolitinib se utilizó en 11% de los trasplantados de células hemotopoyéticas refractarios a corticosteroides, el número de muertes ocurrió en pacientes muy resistentes al tratamiento de enfermedad injerto vs huésped, donde cinco pacientes fallecieron por infecciones y una por falla terminal de un órgano (intestino).

No obstante, queda pendiente el análisis detallado de los pacientes en base a scores propios de cada patología que se especifican en cada informe de ETS.

Conclusiones

La creación de un Sector específico de Evaluación de Medicamentos en la UETS de nuestro hospital ha permitido una incorporación de medicamentos en patologías complejas, resultó útil para otorgar información en decisiones que requieren decisiones rápidas, centró su acción principalmente en medicamentos de alto precio para lograr una utilización más racional y basada en la evidencia científica

Figura 1: Esquema de aprobación de medicamentos en el Hospital Garrahan

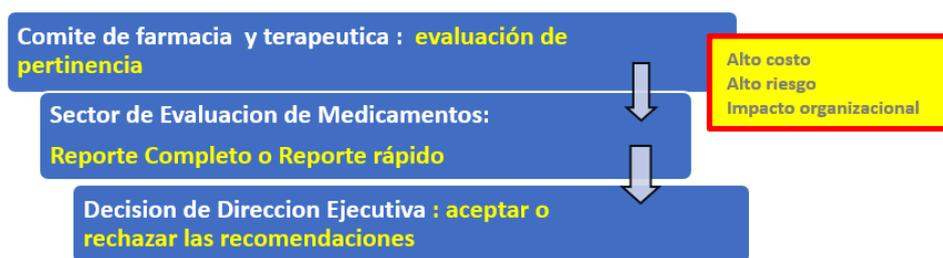


Tabla 1. Informes de ETS elaborados desde 2019 a 2024

Periodo de estudio : Marzo 2019-Diciembre 2024	
Numero de informes ETS (Sector de Evaluación de medicamentos)	24
Reportes ETS completos	14 (56%)
Tiempo de respuesta	Mediana 106 días (rango 5-511)
Medicamentos de alto costo (N, %)	18 (76%)
Recomendaciones para rechazar incorporación o el amparo judicial (N, %)	5 reportes (21%)
Aceptación por la dirección	96%
Costo por paciente/año por fármaco evaluado	U\$S1757-314265 (\$105280-304837000)

Figura 3: Medicamentos de alto precio vs recomendaciones

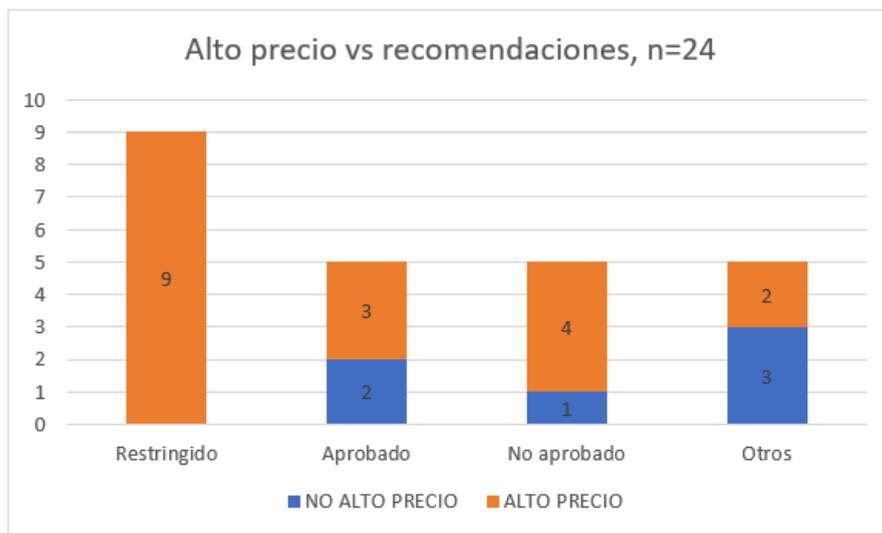
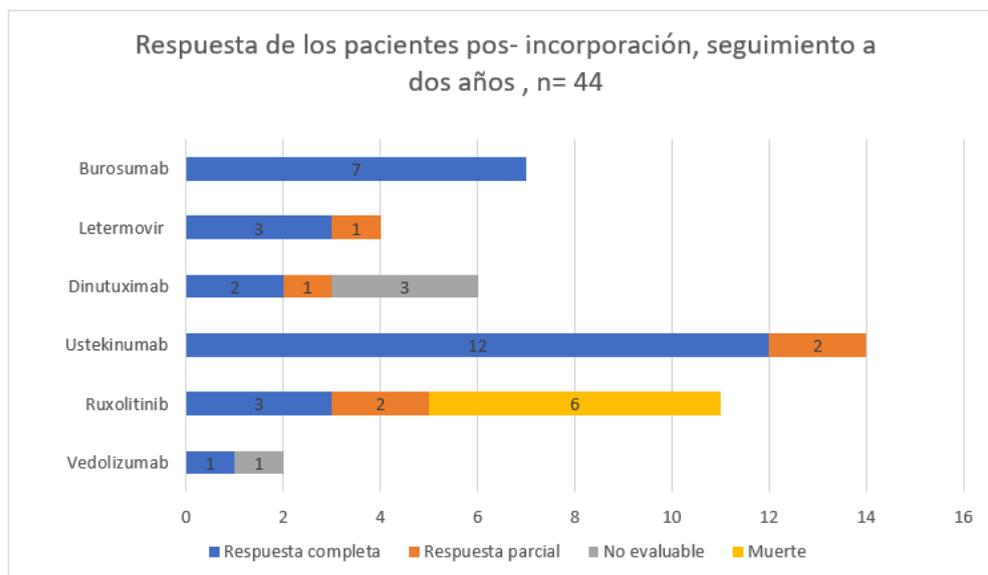


Figura 4: respuesta de los pacientes posincorporación, seguimiento a 2 años



Bibliografía

1. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. CADTH Health Technology Review Methods and Guidelines [Internet]. Ottawa (ON): CADTH; 2022 [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK571348/>
2. World Health Organization. Health technology assessment of medical devices [Internet]. Geneva: WHO; 2015 [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://apps.who.int/iris/handle/10665/162407>
3. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Fit for purpose: Findings and recommendations of the external review of the pan-Canadian health organizations. Ottawa (ON): Health Canada; 2017 [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://www.canada.ca/en/health-canada/services/health-care-system/reports-publications/health-care-system/findings-recommendations-external-review-pan-canadian-health-organization.html>
4. Sampietro-Colom L, Martin J, editors. Hospital-based health technology assessment: The next frontier for health technology assessment. Cham (CH): Springer; 2017. 396 p.
5. Sampietro-Colom L, Martin J, editors. Hospital-based health technology assessment: The next frontier for health technology assessment. Cham (CH): Springer; 2017. p. 5-12.
6. Hospital de Pediatría S.A.M.I.C. "Prof. Dr. Juan P. Garrahan". Sitio web oficial [Internet]. Buenos Aires: Hospital Garrahan; [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://www.garrahan.gov.ar/>
7. Resolución 695/2018. Consejo de Administración. Hospital de Pediatría Juan P. Garrahan. Julio 27, 2018
8. Disposición 152/2023. Dirección Médica Ejecutiva. Hospital de Pediatría Juan P. Garrahan. Junio 9, 2023
9. Instituto Aragonés de Ciencias de la Salud (IACS). Módulo 1: Introducción a la evaluación de tecnologías sanitarias [Internet]. Zaragoza: IACS; 2020 [Sep 24citado 2025]. Disponible en: <https://www.iacs.es/wp-content/uploads/2020/11/MODULO-1.pdf>
10. Di Bidino R, Lipska I, Kukla M, von Pinoci M, Papavero SC, Marchetti M, Sampietro-Colom L, Cicchetti A. The potential of the hospital-based Health Technology Assessment: Results of a world-wide survey. *Int J Technol Assess Health Care*. 2025 Mar 18;41(1): e19. doi: 10.1017/S0266462325000108. PMID: 40099540; PMCID: PMC12018856.
11. Sampietro-Colom L, Martin J, editors. Hospital-based health technology assessment: The next frontier for health technology assessment. Cham (CH): Springer; 2017. p. 45-50.
12. Magallanes A. Registran récord de juicios de amparo por medicamentos y tratamientos en 2024. *El País* [Internet]. 2025 Feb 21 [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://www.elpais.com.uy/informacion/salud/registran-record-de-juicios-de-amparo-por-medicamentos-y-tratamientos-en-2024>

13. Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio. Informe del Registro de Amparos 2022 [Internet]. Buenos Aires: Ministerio de Salud de la Nación; 2023 [citado Sep 24, 2025]. Disponible en: <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/bancos/2023-09/informe-amparos-2022.pdf>

