

# EVIDENCIAS EN PEDIATRÍA

Toma de decisiones clínicas basadas en las mejores pruebas científicas  
www.evidenciasenpediatria.es

## Artículos Valorados Críticamente

### En niños con asma grave alérgica el tratamiento con omalizumab podría ser costoefectivo

Ortega Páez E<sup>1</sup>, González Rodríguez P<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Pediatra. CS Góngora. Distrito Granada-Metropolitano. Granada. España.

<sup>2</sup>Pediatra. CS Barrio del Pilar. Madrid. España.

Correspondencia: Eduardo Ortega Páez: edortegap@gmail.com

**Palabras clave en español:** anticuerpos monoclonales humanizados; asma/tratamiento; niños; omalizumab.

**Palabras clave en inglés:** antibodies monoclonal humanized; asthma/drug therapy; children; omalizumab.

**Fecha de recepción:** 15 de enero de 2024 • **Fecha de aceptación:** 6 de febrero de 2024

**Fecha de publicación del artículo:** 10 de abril de 2024

Evid Pediatr. 2024;20:17.

#### CÓMO CITAR ESTE ARTÍCULO

Ortega Páez E, González Rodríguez P. En niños con asma grave alérgica el tratamiento con omalizumab podría ser costoefectivo. Evid Pediatr. 2024;20:17.

Para recibir Evidencias en Pediatría en su correo electrónico debe darse de alta en nuestro boletín de novedades en <http://www.evidenciasenpediatria.es>

Este artículo está disponible en: <http://www.evidenciasenpediatria.es/EnlaceArticulo?ref=2024;20:17>.

©2005-24 • ISSN: 1885-7388

# En niños con asma grave alérgica el tratamiento con omalizumab podría ser costoefectivo

Ortega Páez E<sup>1</sup>, González Rodríguez P<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Pediatra. CS Góngora. Distrito Granada-Metropolitano. Granada. España.

<sup>2</sup>Pediatra. CS Barrio del Pilar. Madrid. España.

Correspondencia: Eduardo Ortega Páez: edortegap@gmail.com

**Artículo original:** Nieto Cid M, Garriga Baraut T, Plaza Martín A, Tortajada Girbés M, Torres Borrego J, Lozano Blasco J, *et al.* Cost-effectiveness of omalizumab for the treatment of severe pediatric allergic asthma. Results of a real-life study in Spain. *Pediatr Allergy Immunol.* 2023;34:e13942.

## Resumen

**Conclusiones de los autores del estudio:** el uso de omalizumab es una opción costoefectiva para la mayoría de los niños con asma alérgica grave mal controlada, especialmente para aquellos que tienen reagudizaciones frecuentes; los costes se reducen progresivamente en los años sucesivos de tratamiento.

**Comentario de los revisores:** según los resultados de este estudio, el uso de omalizumab en el tratamiento del asma grave, a pesar de su coste, parece ser eficiente, siendo más rentable en la prevención de exacerbaciones que en el control continuo de la enfermedad. Estos resultados son aplicables específicamente a nuestro entorno hospitalario.

**Palabras clave:** anticuerpos monoclonales humanizados; asma/tratamiento; niños; omalizumab.

## In children with uncontrolled severe pediatric allergic asthma, the use of omalizumab could be a cost-effective option

**Authors' conclusions:** the use of omalizumab is a cost-effective option for most children with uncontrolled severe pediatric allergic asthma, especially those who have frequent exacerbations; the costs are progressively reduced in successive years of treatment.

**Reviewers' commentary:** according to the results of this study, the use of omalizumab in the treatment of severe asthma, despite its cost, appears to be efficient, being more cost-effective in the prevention of exacerbations than in the continuous control of the disease. These results are specifically applicable to our hospital setting.

**Key words:** antibodies monoclonal humanized; asthma/drug therapy; children; omalizumab.

## RESUMEN ESTRUCTURADO

**Objetivo:** evaluar la evolución de los costes médicos directos relacionados con los recursos sanitarios y medicación en una cohorte de niños con asma alérgica grave (AAG) tratados con omalizumab (OMZ).

**Diseño:** estudio de costoefectividad.

**Emplazamiento:** servicios hospitalarios de neumología y alergia de España.

**Población de estudio:** un total de 426 pacientes menores de 18 años, con AAG procedentes de 25 unidades de alergia y neumología infantil en España se incluyeron en el estudio ANCHORS (asma en niños: omalizumab en la vida real en España). Se trata de un estudio observacional retrospectivo multicéntrico para evaluar el uso de OMZ en niños con AAG. Empezaron el tratamiento con OMZ entre 2006 y 2018.

**Intervención:** en niños >6 años con AAG no controlados con alta dosis de corticoides inhalados (ICS) y beta 2 adrenérgicos de larga duración (LABA), se inició tratamiento con OMZ. En la muestra de niños del estudio se calculó el

incremento de costoefectividad (ICER) para evitar las reagudizaciones y la mejora del asma.

**Medición del resultado:** en el estudio ANCHORS la variable principal fue la aparición de reagudizaciones anuales moderadas o graves (RMG) en comparación con la situación basal. Se consideraron reagudizaciones moderadas cuando los síntomas de asma precisaron el doble de corticoides inhalados (ICS) o corticoides sistémicos, y graves si precisaron hospitalización.

La variable secundaria fue la mejoría del asma valorada con la prueba de control de asma (c-ACT) o con el cuestionario de control de asma (ACQ5). En este estudio el objetivo es valorar la costoefectividad del uso de OMZ, midiendo los costes desde la perspectiva del sistema nacional de salud español.

Se calculó el incremento del cociente costoefectividad para evitar RMG y para mejoras significativas en los resultados de las pruebas de control de asma. Los puntos de corte para considerar que el asma estaba bien controlada fueron por encima de 20 puntos en c-ACT, y debajo de 1 punto en ACQ5. Se evaluó el coste de la diferencia clínica mínimamente importante (MID) que se consideraron 3 puntos para c-ACT y 0,5 para ACQ5.

Las dosis reales de ICS o ICS + LABA recibidas por cada paciente fueron transformadas a dosis equivalentes de budesonida o budesonida + formoterol, utilizadas para un cálculo armonizado de costes. Se estimó el coste unitario de cada encuentro de salud y del medicamento, así como el coste de cada paciente a euros del año 2018.

**Resultados principales:** de los 484 pacientes que comenzaron el tratamiento, se siguieron 426 (edad media: 11,1 años; desviación estándar (DE): 2,9 años). Tras una media de 7,86 RMG el año previo al tratamiento con OMZ, estas disminuyeron a 1,08 el primer año de tratamiento (86% de reducción).

El coste de las citas médicas disminuyó el 93% desde el primer año, especialmente por hospitalizaciones y admisiones en cuidados intensivos. Durante el primer año tras el inicio de OMZ hubo un aumento de 9823€ en costes en visitas y medicación, que fue disminuyendo progresivamente a 4715€ al sexto año.

En el primer año de tratamiento, el ICER medio para evitar una RMG fue de 2107€ (mediana 998€) y disminuyó a 656€ en aquellos seguidos durante 6 años. El ICER de la diferencia mínima importante en las pruebas de control tuvo una disminución de 2059 a 380€ por cada 0,5 puntos de mejora en ACQ5 y de 3141 a 2322€ por cada 3 puntos de mejora en el c-ACT, al año y 6 años, respectivamente.

**Conclusión:** el uso de OMZ es una opción costoefectiva para la mayoría de los niños con asma alérgica grave mal controlada, especialmente para aquellos que tienen reagudizaciones frecuentes en los que los costes se reducen progresivamente en los años sucesivos de tratamiento. Para conocer su valor en la mejora de la calidad de vida y si es asequible en algunos países son precisos estudios adicionales.

**Conflicto de intereses:** los autores no describen conflictos de intereses.

**Fuente de financiación:** este artículo ha recibido una beca parcial de NOVARTIS para realizar el análisis fármaco económico por AXENTIVA SOLUTIONS.

## COMENTARIO CRÍTICO

**Justificación:** el asma es una de las enfermedades crónicas más comunes en España, afectando aproximadamente al 15,3% de los adolescentes y al 10,4% de los escolares, y el 5% se presenta en su forma grave (Global Asthma Network [GAN])<sup>1</sup>. Para el tratamiento de estos niños en los últimos años disponemos de tratamientos biológicos específicos, uno de ellos el OMZ<sup>2</sup>, cuyo creciente uso está generando un aumento en los gastos directos en el sistema de salud. Por lo tanto, resulta relevante realizar un análisis detallado de los costes sanitarios directos, los recursos médicos y el uso de OMZ.

**Validez o rigor científico:** se trata de un estudio de evaluación económica de costoefectividad, que mide los costes del tratamiento en unidades monetarias y los resultados en unidades clínicas habituales (MSE). Existe una definición adecuada de los objetivos. La población de estudio está bien definida (pacientes con asma grave), así como la intervención. Los costes unitarios de medicación y de eficiencia (visitas médicas, ingresos hospitalarios) se calcularon de forma adecuada, aunque en la equivalencia a unidades de tratamiento única de ICS y LABA pudo haber alguna heterogeneidad en los precios y producir algún sesgo marginal con aumento del gasto. Se calculó el ICER que mide el coste incremental monetario por unidad clínica adicional de efectividad obtenida, en nuestro caso MSE, a lo largo de los años. Una debilidad del estudio es que se consideraron solo los costes directos, sin la medición de los indirectos e intangibles, lo que podría haber aumentado el ICER. El coste unitario se realizó respecto a los precios del año 2018; aunque se añadió una tasa de descuento, no se pueden descartar sesgos en cuanto al aumento del coste. El carácter retrospectivo del estudio hizo que no se pudieran recoger algunas variables en relación con las visitas de salud; este hecho, junto con las pérdidas (12%) y la variabilidad en la interpretación de las pruebas de control del asma, podrían sesgar los datos de forma impredecible. En el

análisis no se incluyeron los días de ausencia escolar o laboral, esto podría haber subestimado la rentabilidad del OMZ. Por último, el no haber realizado un estudio de costoutilidad hace que el trabajo no sea comparable con otros estudios en los que los recursos sean distintos, como otros sistemas de salud.

**Importancia clínica:** el tratamiento con OMZ redujo el incremento de la costoefectividad para prevenir ingresos por asma grave a los seis años, en un 69% (de 2107 a 656€). Además, se observó una disminución significativa del ICER en las pruebas de control, reduciéndose en un 26% (de 3141 a 2322€) por cada aumento de 3 puntos en el cuestionario de control del asma (c-ACT). Estos datos son de magnitud importante en la reducción de los costes asociados a ingresos por asma grave, aunque la relevancia en el control general de la enfermedad parece ser más limitada. No hemos encontrado estudios que valoren la costoefectividad del OMZ en el asma grave en pediatría, existen algunos de costoutilidad no aplicables por la distinta metodología y en otros países con sistemas de salud distintos al nuestro (EE. UU.), por lo que los costes no son comparables. En adultos, Vennera *et al.*, en un estudio realizado en España metodológicamente equivalente realizado incluyendo los costes indirectos, describen un ICER para evitar una exacerbación algo menor (1130€) y un ICER para control de la enfermedad mayor 424€<sup>3</sup>. En otro estudio español realizado en adultos por Entrena *et al.* en España, se describe para los costes directos del OMZ un ICER de 1712€ por exacerbación evitada y 3859€ para control de la enfermedad (c-ACT)<sup>4</sup>.

**Aplicabilidad en la práctica clínica:** según los resultados de este estudio, el uso de OMZ en el tratamiento del asma grave, a pesar de su coste, parece ser eficiente. Su rentabilidad es más evidente en la prevención de exacerbaciones, especialmente cuando estas son frecuentes, mientras que su eficacia en el control continuo de la enfermedad es menos evidente. Estos resultados son aplicables específicamente a nuestro entorno hospitalario.

Es fundamental considerar la realización de futuros estudios que aborden los costes indirectos e intangibles, utilizando un diseño de costoutilidad y midiendo la efectividad en términos de años de vida ajustados por calidad (AVAC), con el propósito de facilitar la comparación con investigaciones similares en otros contextos.

**Conflicto de intereses de los autores del comentario:** no existe.

## BIBLIOGRAFÍA

1. Bercedo Sanz A, Martínez Torres A, González Díaz C, López Silvarrey Varela A, Pellegrini Belinchón FJ, *et al.* Grupo GAN España. Prevalencia y evolución temporal de síntomas de asma en España. Estudio Global Asthma Network (GAN). *An Pediatr.* 2022;97:161-71.
2. Nieto García A, Garriga Baraut T, Plaza Martín AM, Nieto Cid M, Torres Borrego J, Folqué Giménez MDM, *et al.* Omalizumab outcomes for up to 6 years in pediatric patients with severe persistent allergic asthma. *Pediatr Allergy Immunol.* 2021;32: 980-91.
3. Vennera MC, Valero A, Uría E, Forné C, Picado C. Cost-Effectiveness Analysis of Omalizumab for the Treatment of Severe Persistent Asthma in Real Clinical Practice in Spain. *Clin Drug Investig.* 2016; 36:567-78.
4. Entrenas Costa LM, Casas Maldonado F, Soto Campos JG, Padilla Galo A, Levy A, Álvarez Gutiérrez FJ, *et al.* Economic impact and clinical outcomes of omalizumab add-on therapy for patients with severe persistent asthma: a real-world study. *Pharmacoecon Open.* 2019;3(3):333-42.