

# Los costes socioeconómicos y la calidad de vida relacionada con la salud en pacientes con enfermedades raras en España

LÓPEZ BASTIDA, J. ET AL.

Serie Proyectos de Imserso, nº 167/10, Sevilla: Federación Española de Enfermedades Raras (2012)



## SIIS Centro de Documentación y Estudios

Fundación Eguía-Careaga

<documentacion@siis.net>

CUANTIFICAR CON LA mayor exactitud posible la carga económica de las llamadas enfermedades raras resulta muy útil para marcar prioridades de intervención y evaluar la eficacia de las estrategias terapéuticas. En esta línea, el Imserso ha financiado un estudio con pacientes de ocho de estas patologías –distrofia muscular de Duchenne, epidermolisis bullosa, esclerodermia, fibrosis quística, hemofilia, histiocitosis, síndrome de Prader-Willi y síndrome X frágil– a fin de averiguar los costes directos e indirectos que deben afrontar, así como su calidad de vida relacionada con la salud.

Las citadas enfermedades fueron elegidas por un panel de especialistas, utilizando la técnica Delphi y atendiendo a criterios que garantizaran una selección equilibrada y representativa. La muestra, formada por un total de 593 pacientes, fue reclutada por entidades asociadas a la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), y el trabajo de campo se realizó entre septiembre de 2011 y enero de 2012, mediante cuestionarios autoadministrados por pacientes o cuidadores/as. Se recogieron datos sociodemográficos, información sobre visitas a profesionales y servicios sanitarios, pruebas, tratamientos y tiempo empleado en cuidados informales.

El coste de las enfermedades se ha estimado considerando los costes directos (sanitarios y no sanitarios) e indirectos de la prevalencia (o existencia) de cada dolencia en 2011. Para determinar la calidad de vida relacionada con la salud, se ha empleado la herramienta EQ-5D; el índice de Barthel ha servido para medir el grado de discapacidad/dependencia; y el cuestionario de Zarit, para evaluar la sobrecarga de las y los cuidadores.

El estudio pone de manifiesto los elevados costes económicos que pacientes y familiares deben afrontar, y aconseja priorizar la investigación sobre el coste-efectividad de las intervenciones para estas dolencias. Atendiendo al desembolso medio del último año, la enfermedad que requiere un mayor desembolso es la distrofia muscular de Duchenne (94.171 €), seguida del síndrome X frágil (59.824 €), el síndrome de Prader-Willi (57.772 €), la fibrosis quística (37.343 €), la histiocitosis (30.537 €), la epidermolisis bullosa (33.903 €), la hemofilia (19.746 €) y la esclerodermia (18.288 €). Si se examina la distribución del gasto, se comprueba que las partidas a las que se dedica mayor coste son la de cuidados informales, visitas a profesionales, y servicios sanitarios y medicamentos, en este orden.

En lo que se refiere a la calidad de vida relacionada con la salud, el EQ-5D-5L arroja una puntuación de -23 para la distrofia muscular de Duchenne, 0,61 para la epidermolisis bullosa, 0,67 para la esclerodermia, 0,87 para la fibrosis quística, 0,72 para la hemofilia, 0,70 para la histiocitosis, 0,60 para el síndrome de Prader-Willi, y 0,79 puntos para el síndrome X frágil. El índice de Barthel permite calificar el grado de discapacidad/dependencia de los pacientes de la muestra como grave. Las personas con epidermolisis bullosa, histiocitosis, síndrome de Prader-Willi y síndrome X frágil, en cambio, presentan una discapacidad/dependencia moderada; y los de esclerodermia, fibrosis quística y hemofilia, una discapacidad/dependencia leve. Se da la circunstancia de que los pacientes con mayor grado de discapacidad/dependencia soportan unos costes más elevados y una peor calidad de vida relacionada con la salud. Por último, el cuestionario de Zarit revela sobrecarga leve entre quienes cuidan a pacientes con histiocitosis y síndrome de Prader-Willi, sin detectar ningún tipo de sobrecarga entre quienes atienden a pacientes de otras dolencias analizadas.

Revista Española de Discapacidad,  
1 (1): 251.

