REVISIÓN SISTEMÁTICA REALISTA SOBRE LOS MODELOS DE FINANCIACIÓN DE ENFERMEDADES HUÉRFANAS

Informe final que contenga la revisión sistemática realista de las fuentes y los mecanismos del financiamiento para enfermedades huérfanas en Colombia. Incluye un capítulo de análisis comparativo de sistemas sanitarios con enfoque de implementación de los mecanismos identificados al contexto colombiano y propuesta para Colombia.

20 de noviembre de 2024

IETS
Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud
Evidencia que promueve confianza

Adriana María Robayo García
Directora Ejecutiva

Luz Mery Barragán González
Subdirectora General y de Operaciones

Kelly Patricia Estrada Orozco
Gerente Técnica

Javier Salamanca Rincón
Jefe de Gestión del Riesgo, Calidad y Proyectos

Luis Esteban Orozco Ramírez
Coordinador de la unidad de economía de la salud (UES) y líder del producto

Salud

Julio Cesar Cubillos
Subdirector de Beneficios del aseguramiento en salud

El Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS) es una corporación sin ánimo de lucro, de participación mixta y de carácter privado, con patrimonio propio, creado según lo estipulado en la Ley 1438 de 2011. Su misión es contribuir al desarrollo de mejores prácticas asistenciales en salud, mediante la producción de información basada en evidencia, a través de la evaluación de tecnologías en salud y guías de práctica clínica, producidas con rigor técnico, independencia y participación. Sus miembros son el Ministerio de Salud y Protección Social (MINSALUD), el Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación (MINCIENCIAS, antes Colciencias), el Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos (INVIMA), el Instituto Nacional de Salud (INS), la Asociación Colombiana de Facultades de Medicina (ASCOFAME) y la Asociación Colombiana de Sociedades Científicas (ACSC).

Autores

Chávez Bejarano, Diana Rocío. Bacterióloga y laboratorista clínico. Esp en epidemiología. Mgtr (c) en metodología de la investigación en ciencias de la salud. Instituto de Evaluación tecnológica de Salud (IETS).

Hurtado Jiménez, Nidya. Comunicadora social y periodista. Esp en comunicación organizacional. Mgtr en Comunicación desarrollo y cambio social. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Londoño Aguirre, Diana Isabel. Economista. M.Sc. en Economía. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Mesa-Melgarejo, Lorena. Enfermera. Mgrt en salud pública. Mgrt Economía de la Salud. PhD Salud Pública. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Orozco Ramirez, Luis Esteban. Economista. M.Sc. en Economía. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Rivera Nieto, Carolina. Médica. Genetista. Experta en enfermedades huérfanas. Fundación Cardioinfantil. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Rivera Vargas, Daniela. Economista. Esp en Analítica. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Rojas Bárcenas, Angélica. Médica. Esp en epidemiología. Epidemiologa de campo. Mgrt en Salud Pública. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS).

Revisores del Ministerio de Salud y Protección Social

Avellaneda Lozada, Paola Astrid. Economista. Esp en economía y gestión en salud. Dirección de Medicamentos y Tecnologías en Salud. Ministerio de Salud y Protección Social.

Galindo Castillo, Mario Gildardo. Economista. M.Sc Economía. M.Sc Teoría económica. Dirección de Regulación de Beneficios, Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud. Ministerio de Salud y Protección Social.

Herrera Eslava, Ana María. Química Farmacéutica. Esp en Gerencia de Mercadeo. M.Sc. Farmacología. Dirección de Regulación de Beneficios, Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud. Ministerio de Salud y Protección Social.

Conflictos de interés

Los autores de este estudio declaran que no existe ningún tipo de conflicto financiero, intelectual, de pertenencia o familiar que afecte las recomendaciones incluidas en el presente documento técnico-científico.

Citación

Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS. Revisión sistemática realista sobre los modelos de financiación de enfermedades huérfanas. Bogotá D.C.: Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS) y Ministerio de Salud y Protección Social; 2024.

Derechos de autor

En el marco del Contrato Interadministrativo No. 1346 de 2024, los derechos patrimoniales de este documento, sin perjuicio de las citas y referencias bibliográficas referenciadas, son propiedad del Ministerio de Salud y Protección Social, y los derechos morales de autor son propiedad de los colaboradores del Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS). Por tanto, está prohibida su copia, reproducción, fijación, transmisión, circulación o similares. En consecuencia, cualquier modificación, transmisión, divulgación, publicación, copia parcial o total, o el uso del contenido de este sin importar su propósito y sin que medie el consentimiento expreso y por escrito del Ministerio de Salud y Protección Social, constituirá violación a la normativa nacional, convenios y tratados internacionales ratificados por el Estado colombiano aplicables a los derechos de autor, y acarreará las sanciones civiles, comerciales y penales a que haya lugar.

Confidencialidad

El presente documento contiene información confidencial que sólo podrá ser utilizada con el propósito de realizar una debida ejecución de lo propuesto en este documento, quedando prohibido a quien la recibe compartirla con terceros. Cualquier trasgresión a la presente obligación de confidencialidad dará lugar a las acciones judiciales y la indemnización por perjuicios a que haya lugar.

Fuente de financiación

El presente documento fue financiado por el Ministerio de Salud y Protección Social, mediante el contrato 1346 de 2024, el cual fue suscrito entre el Ministerio de Salud y Protección Social y el IETS.

Correspondencia

Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS)
Bogotá, D.C., Colombia.
http://www.iets.org.co
contacto@iets.org.co
© Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud, 2024

Contenido

Abreviaturas 1

Glosario 2

1. Introducción 8

2. Contexto colombiano 9
   2.1. Definición de la condición de salud 9
   2.2. Financiación de las EHR en Colombia 10

3. Metodología 11
   3.1. Objetivo 12
   3.2. Alcance 12
   3.3. Pregunta de investigación 13
   3.4. Teorías iniciales de la revisión 13
   3.5. Metodología de la revisión 14

4. Resultados 24
   4.1. Búsqueda de la literatura 24
   4.2. Tamización y selección de documentos 24
   4.3. Extracción de la información 24
   4.4. Evaluación de la calidad 24
   4.5. Síntesis 25

5. Mapeo de actores interesados y diálogos con actores del sistema de salud 38
   5.1. Identificación de actores 38
   5.2. Mapeo de actores 39
   5.3. Metodología de involucramiento y dialogo y hallazgos 40
   5.4. Generación y deliberación de recomendaciones 43

6. Propuesta para el financiamiento de enfermedades huérfanas/raras en Colombia 46
   6.1. Marco central de la propuesta 47
   6.2. Fuentes y forma de recolección de los recursos 51
   6.3. Modalidad de pago 54
   6.4. Generación de capacidades 62
   6.5. Direccionamiento 67

7. Conclusiones 71

8. Anexos 74
   Anexo 1. Listado de términos de búsqueda 74
   Anexo 2. Estrategias de búsqueda 77
   Anexo 3. Diagrama PRISMA 89
   Anexo 4. Listado de estudios incluidos 90
   Anexo 5. Matrices de extracción de datos 92
   Anexo 6. Evaluación de la calidad de la evidencia 92
      Anexo 6.1. Evaluación de riesgo de sesgo estudios de corte transversal con herramienta JBI 93
      Anexo 6.2. Critical appraisal checklist systematic reviews JBI 94
      Anexo 6.3. Standards for Reporting Qualitative Research 95

Anexo 7. Informe de gestión de los espacios de participación 97
9. Referencias 103

Litado de tablas

Tabla 1. Listado de actores identificado 39
Tabla 2. Recomendaciones por componente del mecanismo de financiamiento de la propuesta 44
Tabla 3. Escala para votación de la relevancia y factibilidad 44
Tabla 4. Resultados valoración - relevancia y factibilidad 45
Tabla 5. Términos MeSH 74
Tabla 6. Términos DeCS 75
Tabla 7. Expertos temáticos 98
Tabla 8. Actores identificados y convocados para el panel 99
Tabla 9. Asistentes a espacio deliberativo 100
Tabla 10. Categorías de participación 102

Litado de figuras

Figura 1. Estructura de financiamiento para EHR 11
Figura 2. Tipo o método de financiamiento – conteo de artículos 28
Figura 3. Fuente de los recursos – conteo de artículos 29
Figura 4. Forma de recaudo – conteo de artículos 29
Figura 5. Población objetivo – conteo de artículos 29
Figura 6. Países – conteo de artículos 30
Figura 7. Destino – conteo de artículos 31
Figura 8. Medida de evaluación – conteo de artículos 31
Figura 9. Número de métodos de financiamiento y modalidades de pago de acuerdo con el nivel de ingreso 32
Figura 10. Métodos de financiamiento por país 33
Figura 11. Métodos de financiamiento por nivel de ingresos de los países 34
Figura 12. Métodos de financiamiento vs PIB per cápita 36
Figura 13. Diagrama de cuadrantes para priorización 46
Figura 14. Principales líneas estratégicas del fondo único y específico de EHR 49

Abreviaturas

COPRAS	Complex Proportional Assessment
EHR	Enfermedades huérfanas/raras
EPS	Entidades promotoras de salud
MGI	Massive Group Insurance
MMAT	Mixed Methods Appraisal Tool
MOORA	Optimization based on Ratio Analysis
MSPS	Ministerio de Salud y Protección Social
OCDE	Organización para la Cooperación y el Desarrollo Económico
ROR	Rate of Return
SISPRO	Sistema Integrado de Información de la Protección Social
TOPSIS	Technique for Order Preference by Similarity to Ideal Solution
UPC	Unidad de Pago por Capitación

Cra. 45 #108a-50 Oficina 401, Bogotá • Línea IETS: 318 3355525 • contacto@iets.org.co • www.iets.org.co

Glosario

Acuerdo de acceso administrado o de distribución de riesgos: "son acuerdos entre empresas y aseguradoras de la atención sanitaria que permiten la cobertura de nuevos medicamentos al tiempo que gestionan la incertidumbre en torno a su impacto financiero o su rendimiento. Los acuerdos financieros, que pueden reducir los precios o el impacto presupuestario de los medicamentos sin revelar concesiones de precios a terceros y sin vincularlas al rendimiento del producto, se utilizan actualmente o se utilizaron en el pasado en al menos dos tercios de los países de la Organización para la Cooperación y el Desarrollo Económico (OCDE) y los estados miembros de la Unión Europea (EU). Muchos de estos países también utilizan acuerdos basados en el rendimiento, que condicionan la cobertura, los pagos a las empresas o los descuentos pagados por las empresas al rendimiento del producto, pero estos son menos comunes y sus objetivos principales a menudo también son financieros. El pago por resultado a nivel de paciente y la cobertura a nivel de población con desarrollo de evidencia son los diseños de acuerdo más comunes" (1).

Análisis de costo-efectividad: compara el costo por unidad de efecto de un proyecto o programa específico con los costos por unidad de efecto de sus alternativas. En salud, estudio que compara dos o más tecnologías en salud en términos de los costos y los beneficios en salud para una población especifica (2). La comparación entre costo y efectividad facilita la clasificación de las alternativas o la comparación con intervenciones o proyectos similares. Es relevante destacar que las medidas de costo-efectividad permiten clasificar intervenciones que producen el mismo efecto (3). El análisis de costo-efectividad (ACE) proporciona, en primer lugar, las bases para políticas de precios que fomenten la innovación socialmente beneficiosa y generen satisfacción en los ciudadanos con los servicios de salud financiados públicamente, lo que se traduce en apoyo a través del voto. En segundo lugar, asegura la sostenibilidad financiera del componente sanitario del Estado de Bienestar a través de su «deseabilidad» (4).

Análisis de impacto presupuestal: "estudio que aborda los cambios esperados en el gasto para el cuidado de la salud (en un sistema de salud, hospital, asegurador, etc.), después de la adopción de una nueva intervención. Se utiliza generalmente para la planificación presupuestaria o de recursos monetarios" (5).

Bonos de impacto social (BIS): es un acuerdo con el sector público, en el que se financian mejores resultados sociales en áreas específicas y se entregan parte de los ahorros generados a los inversores. Este tipo de bono no funciona como un bono tradicional, porque el reembolso y el rendimiento de la inversión dependen de que se logren los resultados sociales establecidos. Si no se cumplen los objetivos, los inversores no obtienen ni ganancias ni la devolución de su inversión inicial (6).

Capitación: un método de pago por servicios médicos en el cual un proveedor individual o institucional recibe una cantidad fija per cápita independiente del número o naturaleza de

los servicios prestados a cada paciente, cuyas necesidades sanitarias se encarga de satisfacer (por ej., atención primaria y secundaria (7).

Compensaciones por exclusividad de mercado o expansión de mercado: se refiere a los incentivos o beneficios económicos otorgados a una empresa o entidad a cambio de obtener derechos exclusivos sobre un producto o servicio durante un período determinado, o por ampliar el acceso a un mercado específico. Estos mecanismos son comunes en industrias como la farmacéutica, donde se otorgan períodos exclusivos de comercialización para fomentar la innovación y la inversión, o en acuerdos que permiten a las empresas expandir su presencia en nuevos mercados, promoviendo el desarrollo económico (8).

Compras conjuntas: se refieren al acto de dos o más entidades (individuos, empresas u organizaciones) que se unen para comprar un producto o servicio de manera colectiva. Esta colaboración se realiza generalmente para lograr ahorros de costos, acceder a mejores ofertas o ganar poder adquisitivo que podrían no tener individualmente. Las compras conjuntas pueden ocurrir en diversos contextos, como cuando los consumidores comparten el costo de un producto o cuando las empresas juntan recursos para comprar al por mayor o asegurar descuentos. Es una estrategia que se usa comúnmente para reducir las cargas financieras individuales y optimizar la eficiencia en las compras (9).

Copago: la cantidad de dinero que paga un paciente con seguro médico por cada servicio de atención médica, como una visita al médico, análisis de laboratorio, medicamentos recetados y estadías en el hospital. El monto del copago generalmente depende del tipo de servicio de atención médica (10).

Crowfounding (financiamiento colectivo): es un método de recaudación de fondos para proyectos o iniciativas, que se lleva a cabo a través de plataformas en línea. Consiste en reunir pequeñas contribuciones de un gran número de personas, generalmente a través de internet, para financiar un proyecto o idea, que puede ser desde un emprendimiento empresarial hasta causas sociales o creativas. Este modelo permite a los emprendedores acceder a capital sin necesidad de intermediarios tradicionales como bancos o inversores de capital riesgo (11).

Efectividad: “evalúa si una tecnología produce más beneficios que daños cuando se proporciona en circunstancias habituales de la práctica de atención médica. Es la medida en que una intervención específica, cuando se usa en circunstancias normales, tiene el efecto que se pretende. Los ensayos clínicos que evalúan la efectividad a veces se denominan ensayos pragmáticos o de manejo” (5). Este criterio se usa en los mecanismos de financiamiento para medir resultados en salud o el valor terapéutico.

Eficacia: “medida en que una intervención produce un resultado beneficioso en condiciones altamente controladas de experimentación. El concepto se utiliza para expresar que se puede observar un efecto biológico en condiciones ideales de estudio” (5).

Eficiencia: hace referencia al mayor nivel de rendimiento alcanzado utilizando la menor cantidad de recursos para obtener los mejores resultados posibles. Es un concepto

cuantificable, que se determina a través de la relación entre la producción útil y la inversión total. Cuanto mayor es la eficiencia, menor es el desperdicio de recursos, como materiales, energía y tiempo, sin dejar de lograr el resultado esperado (12). En los análisis de eficiencia, se incluyen los estudios de costos-efectividad, análisis de impacto presupuestal y los estudios de costos acompañados por los estudios de resultados en salud.

Escaneo de horizonte: "actividad de verificación sistemática para identificar oportunidades, problemas o amenazas relacionadas con tecnologías en salud no comercializadas, con el fin de poder obtener información que sirva para la toma de decisiones en sus usos futuros" (13).

Evaluación de tecnologías sanitarias (ETES): "proceso sistemático y multidisciplinario de la valoración de las propiedades, los efectos o los impactos de la tecnología sanitaria en diferentes puntos de su ciclo de vida. Puede abordar tanto las consecuencias directas y deseadas de las tecnologías como las indirectas y no deseadas. Su objetivo principal es informar la toma de decisiones en atención sanitaria para promover un sistema de salud equitativo, eficiente, sostenible financieramente y de alta calidad. La ETES es realizada por grupos multidisciplinares utilizando marcos analíticos explícitos basados en diversos métodos" (5).

Fondos de asociaciones público-privadas: implica la cooperación entre una entidad gubernamental y una empresa privada, que puede ser utilizada para financiar, desarrollar y gestionar proyectos. Financiar un proyecto mediante una asociación público-privada puede hacer posible su finalización más rápidamente o incluso hacerlo viable desde el inicio. Estas asociaciones a menudo incluyen beneficios fiscales u otros ingresos operativos, así como protección frente a responsabilidades o la concesión de derechos de propiedad parcial sobre servicios y bienes, que son nominalmente públicos, a empresas privadas (14).

Fondos o caridades de organizaciones no gubernamentales (ONG): es un grupo sin fines de lucro, basado en la ciudadanía, que opera de forma independiente del gobierno, pero que puede participar en misiones internacionales de carácter filantrópico, de desarrollo o social. Las ONG suelen estar organizadas a nivel local, nacional o internacional para cumplir con fines sociales (15).

Fondos, caridades o programas del sector privado: una fundación privada es una organización sin fines de lucro o benéfica, creada con fondos provenientes de una única donación, conocida como dotación, realizada por un individuo, familia o empresa. Una fundación privada no obtiene dinero mediante campañas de recaudación pública, sino que depende de los ingresos por las inversiones generadas (16).

Gasto de bolsillo: la cantidad de dinero que paga un paciente por gastos médicos que no están cubiertos por un plan de seguro médico. Los costos de bolsillo incluyen deducibles, coseguros, copagos y costos de servicios de atención médica no cubiertos (17).

Implementación del mecanismo de financiamiento: describe la forma en la que se pudo desarrollar en la práctica la estrategia de financiamiento evaluada.

Impuestos específicos: impuesto que se aplica como una suma fija sobre cada unidad física del bien gravado, independientemente de su precio. Los impuestos específicos tienen ventajas administrativas cuando la medición de cantidades es sencilla. La desventaja de los impuestos específicos es que el rendimiento real de los impuestos específicos se ve erosionado por la inflación (18).

Impuestos generales: aquellos que los gobiernos aplican sobre los ingresos, el consumo o la propiedad y que se aplican a la población en general, sin estar destinados a fines específicos. Estos impuestos se utilizan normalmente para financiar operaciones y servicios gubernamentales, como infraestructura, atención médica, educación y seguridad pública (19)**.**

Impuestos pigouvianos: es un porcentaje aplicado a las empresas que causan un daño al bienestar de los ciudadanos. Estos impuestos también son conocidos como impuestos ambientales o verdes. El impuesto pigouviano debe cumplir con ciertos criterios en cuanto a la base y la tasa. La base debe reflejar el componente del producto responsable de generar la deseconomía externa, no el producto en sí. La tasa debe coincidir con el valor del daño marginal causado por el componente dañino y debe establecerse de manera específica o unitaria, ajustada por la inflación. En países que aplican un IVA general sobre el consumo, primero se debe gravar todos los productos con este impuesto y luego se añaden los impuestos pigouvianos correspondientes (20).

Incentivos a la investigación, colaboraciones y redes de investigación: son factores clave que impulsan la innovación científica, promueven el desarrollo académico y potencian el impacto de la investigación en diferentes campos. Están diseñados para motivar a los investigadores, las instituciones y otros actores a involucrarse en estudios de alta calidad, establecer colaboraciones y aportar al conocimiento global. Este enfoque también actúa como un motor de cambio, formando un grupo de recursos humanos calificados para ejecutar proyectos de investigación de manera eficiente, lo que incrementa la productividad en este ámbito. Un ejemplo adicional es la implementación de políticas de involucramiento en el proceso de desarrollo, lo que amplía las oportunidades para que los investigadores emergentes participen de manera significativa en iniciativas de investigación. Esto es clave para fomentar redes y colaboraciones más amplias y proyectos de investigación interdisciplinarios (21).

Incentivos al sector privado: beneficios económicos cuantificables que los gobiernos otorgan a empresas o grupos de empresas específicos, con el objetivo de dirigir la inversión hacia sectores o regiones favorecidos o de influir en el carácter de tales inversiones; estos incentivos pueden ser tributarios (como exenciones tributarias) o no tributarios (como las subvenciones, préstamos o reembolsos para apoyar el desarrollo empresarial o mejorar la competitividad) (22).

Mecanismo de financiamiento: estructura que permite definir la fuente de los recursos, sustento, incorporación, cumplimiento y sostenibilidad de estos para el cumplimiento del programa u objetivo propuesto (23,24).

Metodología de referencia de la financiación: se refiere a la forma en la cual se estima (ej. modelos estadísticos) o se define (ej. criterios de costo-efectividad) la obtención de los recursos de un programa.

Organizaciones internacionales: también conocida como organización intergubernamental o institución internacional, es una entidad creada mediante un tratado u otro tipo de acuerdo regido por el derecho internacional, que tiene personalidad jurídica propia. Ejemplos de estas organizaciones incluyen las Naciones Unidas, la Organización Mundial de la Salud (25).

Origen del financiamiento: se refiere a la fuente de los recursos para el sostenimiento del programa u objetivo, estos pueden ser financieros o no financieros, o pueden provenir de medios públicos, privados o de cooperación internacional (23,24,26).

Pago por resultados: es una nueva forma de financiación que condiciona los pagos a la verificación independiente de los resultados. Se considera una prioridad de reforma gubernamental transversal. Tiene tres elementos clave: i. los desembolsos están vinculados al logro de resultados claramente especificados; ii. discreción del receptor: el receptor tiene espacio para decidir cómo se logran los resultados; y iii. una verificación robusta de los resultados, que actúa como desencadenante del desembolso. Al centrarse en los resultados y no especificar los insumos, el modelo permite a los receptores innovar para lograr el resultado previsto de la manera que consideren más adecuada (27).

Pago por servicio (Fee): en el pago por desempeño parte de la remuneración está vinculada a la calidad de la atención brindada al paciente. Este enfoque es una tendencia global y se considera, según los expertos, una evolución esencial para la sostenibilidad del sector. El pago por servicio (fee-for-service) se originó en los Estados Unidos en la década de 1930. Este modelo funciona de la siguiente manera: todos los elementos utilizados en la atención, incluidos materiales y recursos humanos, se detallan en una factura. La compensación por cada servicio, como consultas, hospitalizaciones, exámenes y otros, se calcula a partir de una tabla de valores preestablecidos, y una vez completada, la factura se envía a la administradora de salud encargada del pago (28).

Pricing: la fijación de precios es un proceso mediante el cual se establece el valor que un fabricante recibirá por sus bienes y servicios. Este método se utiliza para ajustar el precio de las ofertas del productor, de manera que sea adecuado tanto para el fabricante como para el cliente. El proceso depende de los precios promedio de la empresa y del valor que el comprador percibe de un artículo, en comparación con el valor del producto ofrecido por la competencia. Al determinar el precio de un producto o servicio, se deben considerar varios factores: a) la naturaleza de los bienes y servicios, b) el costo de productos similares en el mercado, c) el público objetivo al que se dirigen, y el costo total de producción (incluyendo materias primas, mano de obra, maquinaria, transporte, inventarios, etc.), así

como factores externos como normativas gubernamentales, políticas, y condiciones económicas (29).

Programas de acceso temprano: iniciativas que permiten a los usuarios o consumidores acceder a productos, servicios o tecnologías antes de que estén disponibles para el público en general. Estos programas se utilizan frecuentemente en sectores como la tecnología, la farmacéutica y el entretenimiento, ofreciendo a un grupo selecto de personas la oportunidad de probar productos o servicios en una fase preliminar. A menudo, los programas de acceso temprano incluyen un proceso de retroalimentación que ayuda a los desarrolladores a ajustar el producto antes de su lanzamiento oficial (30).

Reembolso: es el proceso mediante el cual una entidad, como un seguro de salud, el gobierno o una compañía, paga a un proveedor de servicios o a un paciente por los costos de los productos o servicios adquiridos, tales como tratamientos médicos o medicamentos. Este proceso está generalmente regulado por políticas y criterios específicos que determinan la cantidad que se reembolsará y los requisitos para la elegibilidad. El reembolso puede cubrir una parte o la totalidad del costo de un servicio o producto, dependiendo de las condiciones establecidas por la entidad reembolsante (31,32).

Regulación de precios: se refiere a la intervención del gobierno o de una autoridad reguladora para establecer límites en los precios que pueden ser cobrados por bienes o servicios específicos dentro de un mercado, con el fin de proteger a los consumidores de precios excesivos y garantizar que los productos y servicios sean accesibles. La regulación de precios puede ser tanto preventiva, estableciendo un techo o un piso de precios, como correctiva, ajustando los precios en respuesta a situaciones de mercado como el monopolio o la inflación (33,34).

Tecnología blockchain: es un sistema descentralizado y público que registra transacciones en una cadena de bloques. Este proceso permite a los participantes acceder a una base de datos compartida y rastrear cada transacción, similar a un libro de contabilidad inmodificable. Los usos de blockchain pueden variar desde criptomonedas hasta almacenamiento de información médica (35).

Tipo o método de financiamiento: forma específica de obtención de los recursos de sostenimiento del programa, como el presupuesto general de la nación, recursos propios de los entes territoriales, donaciones internacionales o aportes de empresas privadas (23,24,26).

Unidad de Pago por Capitación (UPC): es el valor anual que se reconoce por cada uno de los afiliados al sistema general de seguridad social en salud (SGSSS) para cubrir las prestaciones en el plan básico de salud en los regímenes contributivo y subsidiado (36).

REVISIÓN SISTEMÁTICA REALISTA SOBRE LOS MODELOS DE FINANCIACIÓN DE ENFERMEDADES HUÉRFANAS

1. Introducción

La formulación de políticas efectivas en salud pública exige una base robusta de evidencia para comprender a fondo qué intervenciones funcionan, para quiénes, en qué circunstancias y por qué. En sistemas de salud complejos, es crucial superar las barreras relacionadas con las desigualdades sociales para mejorar tanto la eficiencia como los resultados en salud. Por ello, un conocimiento sistemático y bien fundamentado se vuelve esencial para enfrentar desafíos y optimizar las intervenciones en salud (37–40).

En este contexto, la revisión realista surge como una metodología que ofrece un enfoque más profundo en comparación con las revisiones sistemáticas tradicionales. Mientras que estas últimas se enfocan en determinar si una intervención tiene éxito en términos absolutos, la revisión realista explora cómo y por qué las intervenciones sociales complejas tienen éxito en contextos específicos. Este enfoque permite entender los mecanismos subyacentes y la dinámica compleja que influye en el éxito de las intervenciones, proporcionando así a los responsables de políticas la información necesaria para tomar decisiones informadas (41,42). El objetivo de la presente revisión realista es analizar los modelos de financiación internacionales para la atención de enfermedades huérfanas/raras (EHR), evaluando sus características y comparándolos con el sistema de salud colombiano.

En Colombia, la atención de EHR enfrenta múltiples desafíos, dado que estas enfermedades son crónicamente debilitantes, graves y amenazan la vida de los pacientes, adicionalmente, en los casos en los cuales se cuenta con un tratamiento (aproximadamente entre el 1-5%) esté no suele ser de carácter curativo, sino que ayuda en desenlaces de calidad de vida, progresión de la enfermedad, entre otros; lo que genera una carga significativa tanto para los pacientes y cuidadores como para el sistema de salud (43). Los retos del abordaje de estas condiciones incluyen: la escasez de especialistas, la detección y diagnóstico oportuno, el acceso a tecnologías para su diagnóstico y tratamiento adecuado y el pequeño número de pacientes afectados (44). Estas circunstancias contribuyen a la progresión de la enfermedad y generan altos impactos sociales y económicos (44,45). Por ello, los sistemas de salud, tanto en Colombia como a nivel global, buscan constantemente alternativas para garantizar una atención integral e inclusiva, en medio de los desafíos que implica abordar estas condiciones (43–45). Ante este escenario, los mecanismos tradicionales de financiamiento de la salud y del aseguramiento en salud pueden ser no adecuados para garantizar una cobertura y acceso integral y oportuno configurándose en un desafío adicional que los sistemas de salud deben enfrentar.

La Ley 1392 de 2010 reconoció las EHR como una prioridad en salud pública, estableciendo mecanismos de financiación y cobertura específicos. Posteriormente, la Ley 1438 de 2011

y la Resolución 023 de 2023(46) continuaron reforzando el marco legal, con un enfoque en mejorar la equidad y calidad de la atención. Adicionalmente, la Ley 1751 de 2015 o Ley Estatutaria de Salud, en su artículo 11, refiere que, dentro de los sujetos de especial protección, se encuentran las personas que sufren de EHR y qué, por lo tanto, es deber del Estado garantizar las mejores condiciones para su atención.

Como una de las acciones, el Ministerio de Salud y Protección Social (MSPS) actualizó el listado oficial de EHR mediante la Resolución 023 de 2023 (46), incluyendo 49 condiciones adicionales y totalizando 2.236 condiciones reconocidas en el sistema de salud colombiano. Según el Registro Nacional de Personas con EHR (consultado por medio del Sistema Integrado de Información de la Protección Social -SISPRO-), a febrero de 2023 existían 80.954 casos reportados de EHR, sin embargo, estos datos no son nominales y pueden brindar una estimación imprecisa del número de personas únicas con EHR, dado que pueden coexistir más de una condición huérfana o rara en la misma persona (47). El 41,8% de estos reportes corresponden a menores de 20 años y las enfermedades del sistema nervioso central, enfermedades de la sangre y malformaciones congénitas concentran el 58,7% de los casos (47). Las entidades promotoras de salud (EPS) que atienden al 64% de la población con EHR son EPS Sura, Sanitas, Nueva EPS, Salud Total, Compensar y Famisanar, con el 72% de los pacientes afiliados al régimen contributivo (43,47).

Basado en esto, el objetivo general de esta revisión realista es analizar los modelos internacionales de financiación para la atención de EHR y estudiar sus características en comparación con el sistema de salud colombiano. La revisión incluye un análisis detallado de los modelos de financiación en distintos países, enfocándose en sus características y eficacia. Además, realiza un análisis comparativo con el sistema de salud colombiano para identificar áreas de mejora y proponer soluciones adaptadas al contexto nacional. Esta revisión se fundamenta en evidencia científica y normativa actualizada, abarcando tanto los aspectos financieros como los desafíos de acceso y cobertura en la atención de EHR.

2. Contexto colombiano

2.1. Definición de la condición de salud

El artículo 5 de la Ley 1392 de 2010 (48), modificado por la Ley 1438 de 2011 (49) y la Resolución 740 de 2024 del MinSalud (50), definen las EHR como “aquellas crónicamente debilitantes, graves, que amenazan la vida y con una prevalencia menor de 1 por cada 5.000 personas, comprenden, las enfermedades raras, las ultrahuérfanas y olvidadas. Las enfermedades olvidadas son propias de los países en desarrollo y afectan ordinariamente a la población más pobre y no cuentan con tratamientos eficaces o adecuados y accesibles a la población afectada” (50). Adicionalmente, cabe mencionar que de acuerdo que los

pacientes con EHR son sujetos de especial protección, según la Ley Estatutaria 1751 de 2015 (51) y las correspondientes sentencias de la Corte Constitucional [1].

2.2. Financiación de las EHR en Colombia

Actualmente en Colombia, a diferencia de otros países, se tiene acceso a todas las tecnologías en salud autorizadas por la agencia regulatoria, excepto aquellas que estén explícitamente excluidas del sistema de salud, su financiamiento se realiza a través de los recursos públicos asignados a la salud, los cuales provienen de fuentes de origen fiscal, parafiscal y otras fuentes de origen público y privado; éstas últimas hacen referencia, específicamente a las cuotas moderadoras y los copagos[2] (52). Estas tecnologías en salud se cubren ya sea por medio de la Unidad de Pago por Capitación (UPC)[3] o por medio de Presupuestos Máximos (PM), el cual se comporta como presupuesto adicional a la UPC y la figura de recobro a la ADRES. Para el caso de las EHR, las tecnologías se financian con la UPC y un porcentaje importante de la cobertura para medicamentos de más alto costo se da vía PM.

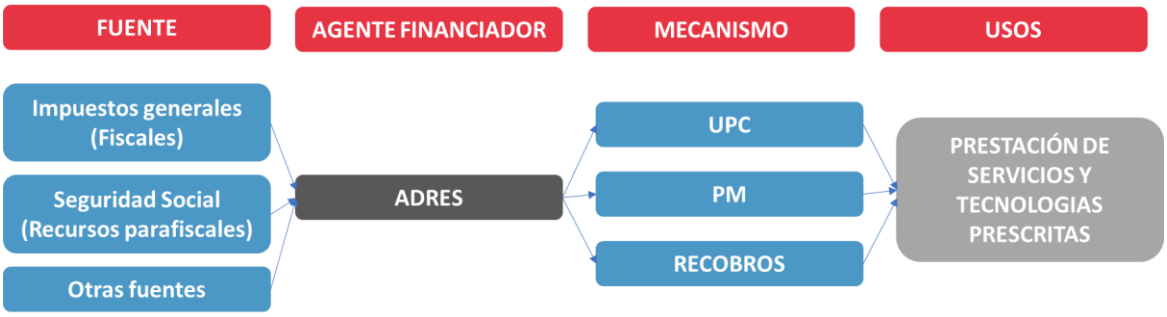
Para ejemplificar la tensión sobre el financiamiento del tratamiento en EHR, se describirá un caso que permite dar cuenta de este desafío para los sistemas de salud: acuerdo con la información del Sistema de Información de Precios de Medicamentos (SISMED), sobre los reportes de las *ventas* de medicamentos durante el año 2023, específicamente en la categoría de *Transacción Primaria Institucional*, por la unidad de factura de *presentación comercial*, se identifica que el medicamento Nusinersen de $12\ \mathrm{mg}$ fue el medicamento de mayor costo con un precio máximo de 257.103.000 COP por dosis con 193 unidades vendidas para el año 2023, el medicamento tiene indicación para Atrofia Medular Espinal, una EHR. Este tipo de comportamiento en el gasto de medicamentos para EHR es un patrón reportado en otros países (53). Es importante mencionar que en Colombia no existe un listado oficial de medicamentos huérfanos y lo más común es “el uso de Vitales no Disponibles, medicamentos que previa autorización por parte del INVIMA deben ser importados” (54). Si bien no todas las tecnologías se comportan como la molécula mencionada en el ejemplo, permite comprender los retos en el tema de financiamiento.

Dentro del esquema de aseguramiento en el país existe una figura de redistribución del riesgo entre las EPS para el financiamiento de las enfermedades de alto costo realizado por la Cuenta de Alto Costo (CAC), dentro de las cuales se incluyen algunas EHR. Si bien, la CAC no realiza un financiamiento directo, su rol se relaciona con el cálculo de costos promedio en función del número de pacientes con la condición y de sus requerimientos de atención. Este apoyo en la gestión financiera soportaría las decisiones de las EPS sobre el proceso de atención de estas condiciones (55).

[1] T-413-2020, T-017-23, T-298-21 y T-401-18.
[2] De acuerdo con Ganger y cols. este porcentaje de recursos proveniente de cuotas moderadoras y copagos tienen una conducta decreciente y representó para el 2021 el 0,06% del total de los recursos(52)
[3] Ultima actualización emitida en la Resolución 2366 de 2023.

De acuerdo con la OMS, el financiamiento de la salud se refiere a la "función de un sistema de salud relacionada con la movilización, acumulación y asignación de dinero para cubrir las necesidades de salud de las personas, individual y colectivamente, en el sistema de salud… el propósito del financiamiento de la salud es hacer que los fondos estén disponibles, así como establecer los incentivos financieros adecuados para los proveedores, para garantizar que todos los individuos tengan acceso a una salud pública efectiva y a una atención médica personal" (56), siguiendo esta definición el siguiente esquema presenta una síntesis del financiamiento para EHR en Colombia.

Figura 1. Estructura de financiamiento para EHR



ADRES: Administradora de los Recursos del Sistema General de Seguridad Social en Salud; UPC: unidad de pago por capitación; PM: presupuestos máximos.
Fuente: elaboración propia.

3. Metodología

Los procesos de toma de decisiones en materia de política pública en salud son complejos y requieren de información y evidencia de alta calidad, contextualizada y valorada por el conjunto de actores sociales implicados en las decisiones de política. Dado lo anterior, los insumos que soporten estos procesos pueden beneficiarse de metodologías que permitan explicar qué funciona, para quién, en qué circunstancias, cómo y por qué, permitiendo comprender y analizar de manera profunda los problemas y las soluciones en otros contextos (37–40).

En respuesta a las necesidades de información de los responsables de las políticas y otras partes interesadas, a veces de manera emergente o urgente, en los que los métodos de revisión sistemática existentes no se adaptan del todo, la revisión realista es una propuesta innovadora y prometedora debido a que la pregunta de interés incluye cómo y por qué las intervenciones sociales complejas funcionan en ciertas situaciones, en lugar de suponer que funcionan o no funcionan en absoluto (41), además de la efectividad, pretende comprender los mecanismos, la dinámica compleja y la variabilidad de las intervenciones, de modo que los responsables de las políticas cuenten con información suficiente para tomar decisiones (37,38,57).

La revisión realista tiene como fin explicar qué hace que una política, programa o intervención compleja funcione, en cuáles aspectos, para quiénes, en cuál contexto, en qué extensión y por qué, mediante la construcción de teoría, expandiendo los mecanismos de funcionamiento y entornos de políticas o programas complejos que generan resultados. Dicha metodología cuenta con la participación de los interesados en el problema desde el inicio del proceso de revisión (40).

Así mismo, tiene el potencial de proporcionar aspectos relevantes y aplicables a los formuladores de políticas y tomadores de decisiones; mostrar lo que funciona y exponer las contradicciones (lo que no funciona y por qué) de una intervención; y proporcionar un conjunto de influencias contextuales que hayan desencadenado el mecanismo o mecanismos pertinentes para generar el resultado o resultados de interés (40), lo que permite a los profesionales, investigadores y proveedores de servicios diseñar e implementar intervenciones que incluyan únicamente componentes eficaces para contextos particulares (42).

3.1. Objetivo

Realizar una revisión sistemática realista de los modelos de financiación existentes a nivel internacional para la atención de EHR, incluyendo características del sistema de salud en el que se incorporó y un análisis comparativo con el sistema de salud colombiano.

3.2. Alcance

El alcance de este estudio fue realizar una revisión realista de los modelos de financiación existentes a nivel internacional para la atención de EHR. La revisión realista es una metodología estructurada de síntesis cualitativa que sistematiza hallazgos que son “utilizados para responder a necesidades de políticas, programas e intervenciones complejas, ya que permite comprender qué es lo que funciona, cómo y para quién, en un contexto dado, para el desarrollo de teorías que subyacen a un programa y/o intervención específicos, usando un enfoque explicativo e interpretativo” . Para ello, se realizó un análisis comparativo de estrategias y marcos de implementación de sistemas de salud que cuentan con mecanismos de financiamiento explicito y el sistema de salud colombiano. Allí, se describieron los diferentes mecanismos y fuentes utilizados en los países de referencia, así como las cifras e indicadores de los resultados relacionados con las formas de financiamiento y sus características de implementación, finalmente se realizó un análisis de convergencias y diferencias desde el punto de vista de estructuración del sistema de salud colombiano y el marco legal relacionado con la atención a personas con enfermedades huérfanas en Colombia.

3.3. Pregunta de investigación

¿Cuáles son los modelos actuales para el financiamiento de la atención de las enfermedades huérfanas en el mundo?

¿Cuáles elementos de los modelos de financiamiento identificados en la literatura pueden ser adaptables para Colombia?

3.4. Teorías iniciales de la revisión

El enfoque realista reconoce que las intervenciones pueden funcionar en algunos contextos, pero no en otros. Esta noción de que las intervenciones están limitadas por el contexto es un principio clave del enfoque realista (42). La síntesis realista se presta a la revisión de intervenciones complejas porque tiene en cuenta el contexto y los resultados en el proceso de síntesis sistemática y transparente de la literatura pertinente (58).

Esta revisión realista se representa como $contexto + mecanismo = resultado$. El contexto se refiere a las condiciones de "fondo" que tienen un impacto en los resultados, como, por ejemplo, las fuentes de financiación. El contexto puede entenderse como cualquier condición que desencadena o modifica un mecanismo. Los mecanismos explican por qué y cómo ocurren los resultados observados y generalmente comprenden dos partes: los "recursos" ofrecidos por una intervención y las decisiones ("razonamiento"), y, el comportamiento de las personas. Los resultados son los efectos previstos o no previstos de la intervención, que se basan en la interacción entre el contexto y el mecanismo (42).

Los resultados de la revisión combinan la comprensión teórica y la evidencia empírica para explicar ("¿Cómo funciona?", “¿Qué funciona?”, "¿Por qué funciona?", "¿Para quién funciona?" y "¿En qué circunstancias y aspectos funciona?”), y se centran en explicar la relación entre el contexto en el que han sido aplicados los modelos de financiamiento, los mecanismos por los que funciona y los resultados que producen.

El esquema propuesto incorporó medidas financieras como el costo promedio por paciente, comparación de costos entre diferentes mecanismos de financiamiento, tasa de reembolso y la inversión en investigación y desarrollo. Esto permite una evaluación realista de cómo el financiamiento está siendo distribuido y su impacto en los pacientes y sus familias. La revisión permitirá determinar[4]:

[4] Estos elementos pueden cambiar conforme a los hallazgos de la revisión realista.

Análisis de las medidas financieras

- Identificar el desajuste entre los costos del tratamiento y el financiamiento asignado en el sistema de salud, permitiendo evidenciar si el gasto está alineado con las mejoras en la calidad de vida y los resultados en salud.
- Identificar la importancia del pago de bolsillo de los pacientes u otros costos de los hogares, proporcionando una visión realista del alivio financiero.
- Identificar el cambio en el acceso a servicios especializados y el tiempo de acceso a tratamientos, mostrando si hay avances en la atención médica oportuna.

Limitaciones en el financiamiento y la investigación

- Identificar los incentivos de mercado y la inversión pública y/o privada especifica, destacando cómo estos elementos influyen en la viabilidad financiera a largo plazo de los tratamientos.

Eficiencia administrativa y barreras burocráticas

- Identificar la rapidez y eficacia en la distribución de fondos, incluyendo datos sobre la eficiencia del sistema para asegurar que los fondos lleguen a los pacientes de manera oportuna.
- Identificar los cambios en los trámites burocráticos, analizando si los procesos administrativos están afectando la eficiencia del financiamiento.

Indicadores en salud relevantes

- Identificar los cambios en la morbimortalidad, por medio de adelantos en las herramientas y el fortalecimiento en la atención de salud.
- Identificar las alteraciones en la disponibilidad de servicios de salud, la ampliación en el acceso a servicios relevantes como el diagnóstico, asesoramiento genético, diagnóstico prenatal, pruebas neonatales, inclusión de nuevas tecnologías o la disponibilidad/accesibilidad de medicamentos indicados y con aprobación de la entidad regulatoria.

Los anteriores se consideraron de acuerdo con la disponibilidad de la información identificada en la revisión según el mecanismo de financiamiento y los hallazgos por país.

3.5. Metodología de la revisión

El presente estudio sigue los lineamientos de una revisión realista, el cual, en su método, contiene las siguientes fases que se detallan a continuación y van desde la definición del alcance hasta la extracción y síntesis de la literatura seleccionada

Fase 1. Alcance de la revisión y las preguntas relacionadas con el propósito

Alcance de la revisión

El alcance de este estudio es realizar una revisión realista de los modelos de financiación existentes a nivel internacional para la atención de EHR. Para ello, se realizó un análisis comparativo de estrategias y su implementación en sistemas de salud que cuentan con mecanismos de financiamiento explícito y el sistema de salud colombiano. Allí, se describieron los diferentes mecanismos y fuentes utilizados en los países de referencia, así como las cifras e indicadores de los resultados relacionados con las formas de financiamiento y sus características de implementación. Finalmente, se realiza un análisis de convergencias y diferencias desde el punto de vista de estructuración del sistema de salud colombiano.

La revisión realista proporciona a los actores clave una comprensión detallada y práctica de los modelos o mecanismos de financiamiento de las EHR diferentes al existente, que son factibles al contexto nacional, siendo de utilidad para la planificación e implementación de las políticas, planes o programas a nivel nacional, regional o local.

Preguntas relacionadas con el propósito

A continuación, se listan las preguntas orientadoras que delimitaran la revisión:

- ¿Cuáles son las características de los mecanismos de financiación de las EHR?
- ¿Cuál es el origen de los recursos de los mecanismos de financiación de las EHR?
- ¿De qué manera y en qué grupos funcionan los mecanismos de financiación de las EHR identificados?
- ¿Cuáles son las circunstancias o el contexto de uso de los modelos de financiación de las EHR?
- ¿Qué barreras y facilitadores en términos normativos en el contexto colombiano existen en la implementación de los mecanismos de financiación de las EHR identificados?
- ¿Qué lecciones aprendidas se pueden extraer de la comparación internacional para mejorar la eficiencia de los modelos de financiación en Colombia?

Fase 2. Estrategia de búsqueda

Fue llevada a cabo una búsqueda sistemática de literatura centrada en el financiamiento EHR, enfocada en estudios publicados durante los últimos 10 años en inglés y en español. La búsqueda incluyó bases de datos bibliográficas reconocidas, tales como PubMed, Embase, Cochrane, Lilacs, SciELO, ECONLIT, Health Systems Evidence, la Red de Evidencia para la Salud (EVIPnet) y PDQ-Evidence, además del motor de búsqueda Google Scholar. Para cada fuente, se elaboró una estrategia de búsqueda exhaustiva adaptada, utilizando vocabulario controlado (MeSH, DeCS, Emtree – ver Anexo 1) junto con términos de texto libre, considerando variantes ortográficas, sinónimos, acrónimos y truncamientos. Esta estrategia también empleó etiquetas de campo (título y resumen), operadores de

proximidad (adj) y operadores booleanos (OR, AND, NOT). Las estrategias de búsqueda detalladas se presentan en el Anexo 2.

Las referencias bibliográficas identificadas fueron descargadas en el gestor de referencias Zotero para eliminar duplicados, realizar la lectura de títulos y organizar la biblioteca de referencia del proyecto. Los resultados de esta fase se documentaron mediante un diagrama de flujo PRISMA, disponible en el Anexo 3.

Se usaron los mismos términos claves para la búsqueda en sitios web de entes reguladores o ministerios de salud de los países, que se requirieron para ampliar la información. Así mismo, se consultó simultáneamente con expertos del grupo desarrollador y los expertos que asistieron a los espacios de participación para identificar las publicaciones que se consideraron fundamentales para la revisión.

Fase 3. Selección y evaluación

Selección

Una vez aplicadas las estrategias de búsqueda en bases de datos y literatura gris, los archivos planos se exportaron al aplicativo Rayyan®, donde dos revisores a través del método doble ciego realizaron la tamización primaria de forma independiente examinando el título, el resumen y los encabezamientos de los temas en función de las preguntas de la revisión.

Seguido de esto, se recuperó en texto completo todos los documentos potencialmente elegibles para una prueba de relevancia más detallada, según la pregunta: ¿La evidencia proporcionada en esta área teórica es lo suficientemente relevante como para ser incluida en la síntesis? Como medida de calidad, dos miembros del grupo revisaron la lista de referencias preseleccionadas determinando cuales quedaron incluidas o excluidas para determinar su elegibilidad final.

Además, utilizando su conocimiento de la literatura, uno de los miembros del equipo diferente a los anteriores revisó la lista de referencias final para asegurarse de que no hubiera omisiones obvias, la verificación se hizo de forma aleatoria y los desacuerdos se resolvieron mediante discusión. Finalmente, se analizaron las listas de referencias de todas las publicaciones incluidas en la selección y se buscó aquella literatura adicional que se consideró relevante. A continuación, se listan los criterios de elegibilidad que fueron considerados.
Criterios de inclusión:

- Centrarse en la información relacionada con fuentes, mecanismos y modelos de financiamiento de EHR.
- Estudios, evaluaciones, informes o descripciones de los mecanismos de financiamiento de EHR.

- Resultados relacionados con el impacto, la evaluación, las limitaciones y la influencia de la financiación de las EHR sobre los indicadores en salud.
- El usuario previsto de la información es un responsable de la toma de decisiones.

Criterios de exclusión:

- Centrarse en el uso de evidencia de investigación (datos de encuestas, estudios epidemiológicos u otras fuentes) sobre las EHR, pero no sobre su financiación.
- No especificar el modelo u mecanismo de financiamiento.
- Usuario previsto de la información son profesionales de la salud en entorno de atención médica, pacientes y asociaciones de usuarios.

Evaluación de calidad de la evidencia

La evaluación de la calidad se realizó conforme al diseño de estudio de las publicaciones seleccionadas. En el caso de las revisiones sistemáticas al tratar de revisiones de política pública, y no ser revisiones sistemáticas de intervenciones, etiología, diagnóstico, ni pronóstico, sino de carácter cualitativo se hizo uso de la herramienta de JBI para análisis crítico de revisiones sistemáticas cualitativas cuyo objetivo es determinar en qué medida el estudio ha tenido en cuenta la posibilidad de sesgo en su diseño, realización y análisis.
El instrumento "JBI critical appraisal checklist for systematic reviews and research syntheses" (59) tiene 11 preguntas para guiar la valoración de las revisiones sistemáticas. Cada pregunta debe responderse como «sí», «no» o «poco claro». También se ofrece la opción «NA» (no aplicable), que puede ser adecuada en raras ocasiones. El revisor debe tener claro qué constituye niveles aceptables de información para asignar una valoración positiva en comparación con una negativa, o una respuesta de «poco claro».

1. ¿La pregunta de revisión se establece de manera clara y explícita?
2. ¿Los criterios de inclusión fueron apropiados para la pregunta de revisión?
3. ¿Fue adecuada la estrategia de búsqueda?
4. ¿Fueron adecuadas las fuentes y los recursos utilizados para la búsqueda de estudios?
5. ¿Fueron adecuados los criterios para evaluar los estudios?
6. ¿La evaluación crítica fue realizada por dos o más revisores de manera independiente?
7. ¿Existían métodos para minimizar los errores en la extracción de datos?
8. ¿Fueron apropiados los métodos utilizados para combinar los estudios?
9. ¿Se evaluó la probabilidad de sesgo de publicación?
10. ¿Las recomendaciones de políticas y/o prácticas fueron respaldadas por los datos reportados?
11. ¿Eran apropiadas las directrices específicas para las nuevas investigaciones?

En el caso de los dos estudios observacionales el riesgo de sesgo fue evaluado bajo el instrumento "Critical Appraisal Checklist for Analytical Cross Sectional" (60) el cual tiene 8 preguntas para guiar la evaluación del estudio transversal y cada pregunta se califica como Si, No, No claro y No aplica.

1. ¿Se definieron claramente los criterios de inclusión en la muestra?
2. ¿Se describieron detalladamente los sujetos del estudio y el entorno?
3. ¿Se midió la exposición de forma válida y fiable?
4. ¿Se utilizaron criterios objetivos y normalizados para medir la afección?
5. ¿Se identificaron los factores de confusión?
6. ¿Se indicaron las estrategias para hacer frente a los factores de confusión?
7. ¿Se midieron los resultados de forma válida y fiable?
8. ¿Se utilizó un análisis estadístico adecuado?

Para la evaluación de calidad de los estudios cualitativos se aplicó la metodología de Standards for Reporting Qualitative Research (61) la cual consta de 21 ítems que facilitan la revisión y evaluación ordenada de aspectos relacionados con el enfoque, metodología, técnicas de análisis de datos y procesamiento de la información. Los 21 ítems se encuentran organizados así: título y el resumen del artículo (ítems 1 y 2); la formulación del problema y la pregunta de investigación (ítems 3 y 4); diseño de la investigación, métodos de recolección de información y análisis de datos (ítems 5 a 15); resultados, interpretación, discusión e integración (ítems 16 a 19); e información adicional (ítems 20 y 21). Es de aclarar que la metodología no incluye puntuación o calificación, el objetivo es la revisión de la inclusión de aspectos esenciales requeridos para la presentación de los resultados de una investigación cualitativa.

En el caso de las revisiones narrativas, panel de expertos, el modelo de simulación financiera y el estudio de elicitación no es aplicable la evaluación de calidad metodológica, dada su naturaleza y propósito estas no suelen estar sujetas a este parámetro.

En el caso de las narrativas su enfoque es más flexible, y los autores suelen seleccionar los estudios basándose en criterios subjetivos o específicos de su propósito, lo que dificulta la evaluación objetiva de su calidad metodológica. En el momento de seleccionarlas se tuvo en cuenta la claridad de los objetivos, la lógica en la evidencia reportada, y el aporte del análisis realizado por los autores.

En el caso del panel de expertos no se suelen someter a evaluaciones de calidad metodológica convencionales porque se apoyan principalmente en opiniones de expertos (experiencia y juicio colectivo de los participantes) y métodos de consenso más que en investigaciones empíricas, no se basan en diseños experimentales o sistemáticos. Al seleccionar la publicación se tuvo en cuenta el rigor del diseño, del consenso y el aporte al tema central objeto de la revisión en curso.

Las publicaciones basadas en modelos de simulación financiera no suelen someterse a evaluaciones de calidad metodológica de la misma manera que las investigaciones empíricas, como ensayos clínicos o estudios observacionales, porque su naturaleza, es basada en supuestos y métodos teóricos, y su propósito no es probar una hipótesis en el sentido empírico, sino explorar escenarios futuros, evaluar riesgos o tomar decisiones estratégicas, lo cual hace que no encaje en los marcos diseñados para investigaciones empíricas.

El propósito de un estudio de elicitación es identificar las creencias conductuales, normativas y de control de una población, así como obtener información sobre la base cognitiva del comportamiento. Estos estudios, que recopilan juicios o percepciones de expertos, no se someten a evaluaciones metodológicas estándar, ya que no buscan probar hipótesis ni generalizar a grandes poblaciones, sino obtener estimaciones sobre incertidumbres o situaciones específicas. El enfoque principal es obtener información precisa y estructurar las preguntas, en lugar de centrarse en confiabilidad, tamaño muestral o control de sesgos. La metodología puede variar según el contexto y las necesidades del estudio que no siempre encajan en los criterios tradicionales de evaluación de calidad metodológica.

Fase 4. Extracción y síntesis

Extracción

Tras la selección (incluidos/excluidos) de evidencia a doble par por cegamiento y su exploración a texto completo (tamización secundaria), se realizó la lectura completa de cada publicación por tres revisores de manera independiente y se extrajo la información relevante para el análisis mediante dos aproximaciones. Una general, en donde se incluyeron variables asociadas con las características propias del estudio, como son:

- Título del estudio (idioma original).
- Año de publicación, lo que permite ubicar temporalmente la relevancia y actualidad del estudio.
- Autor u organización responsable del estudio, proporcionando contexto sobre la credibilidad y origen de la investigación.
- Tipologías documentales, como artículos de investigación de diferentes metodologías, informes técnicos o normativas que ayudan a categorizar el tipo de evidencia.
- Objetivo del estudio, especificando el propósito y enfoque de la investigación.
- Diseño del estudio, permite clasificar la tipología de investigación, por ejemplo, si es una investigación cualitativa o cuantitativa, una revisión o un estudio integrativo.
- Origen del financiamiento, señalando si los recursos son de fuentes públicas, privadas o mixtas.
- Países o región de aplicación, identificando el ámbito geográfico en el cual se ha realizado el estudio o donde sus resultados son aplicables.
- Especificidad o globalidad de EHR, indicando si el estudio se centra en una condición específica o en una gama más amplia de EHR.
- Condición de salud (EHR) abordada, para precisar qué EHR son objeto de la intervención o financiamiento.
- Plan o política de EHR, detallando las estrategias o políticas específicas evaluadas en el estudio.

- Metodología de referencia utilizada, como regresiones lineales, análisis de costo-efectividad, leyes aplicables o referenciación, que estructuran el enfoque del estudio.
- Medidas de resultado, indicando si se establecieron métricas específicas para evaluar el efecto de las intervenciones.
- Conclusiones del estudio, proporcionando un resumen de los hallazgos principales.
- Fuente de financiación del estudio, identificando quién financió la investigación, para evaluar posibles sesgos de publicación.
- Conflictos declarados por los autores del estudio, detallando cualquier conflicto de interés que pueda afectar la imparcialidad de los resultados.
- Discusión, destacando los puntos relevantes abordados en la discusión del estudio, lo que aporta contexto adicional a los hallazgos y su interpretación.

Luego, se realizó un análisis especifico, con el propósito de capturar las principales características y los elementos contextuales, del mecanismo y resultado asociadas con el tipo o método de financiamiento específico por país o región. Para ello, se analizaron las variables en tres grupos a: los componentes del mecanismo de financiamiento, el contexto del país o región, y el marco legal que lo enmarca.

En el primer grupo, se analizó la fuente de los recursos, la forma de recaudo de los recursos, la modalidad de pago, el destino, el nivel de descentralización, la población objetivo y la medida de evaluación. En el segundo grupo, el tipo de sistema de salud y el tipo de aseguramiento asociado con el país(es) o región de aplicación.

Los recursos destinados a diversos sectores provienen de fuentes públicas, privadas o mixtas, dependiendo del contexto y la organización. El recaudo de estos fondos se lleva a cabo a través de mecanismos como impuestos generales, impuestos específicos, contribuciones para la seguridad social y el gasto de bolsillo de los ciudadanos. En cuanto a la modalidad de pago, existen diferentes formas de financiamiento según el servicio. Esto puede incluir el pago por servicio (fee), pago por cápita, presupuesto global o, en algunos casos, pagos basados en resultados específicos alcanzados.

Los fondos recaudados tienen diversos destinos, que incluyen la financiación de actividades de investigación, la provisión de servicios o productos, y su posterior comercialización o integración en el mercado. La organización de los recursos y servicios puede ser centralizada o descentralizada, dependiendo de la estructura administrativa y política. En un sistema centralizado, las decisiones y recursos se gestionan desde un nivel central, mientras que, en un sistema descentralizado, la autoridad y los recursos se distribuyen entre diferentes niveles o entidades.

La población objetivo varía según el enfoque del sistema. Puede centrarse en enfermedades huérfanas en general o en enfermedades específicas dentro de este grupo, dependiendo de las prioridades de salud pública o los objetivos del sistema. La evaluación de los resultados en un sistema de salud se realiza a través de diversas medidas clave como efectividad enfocada en los resultados en salud y el valor terapéutico de las

intervenciones, eficiencia que analiza la relación costo-efectividad, el análisis de impacto presupuestal, los costos asociados y/o los precios de los tratamientos. La eficacia mide el rendimiento de una intervención en condiciones ideales. En el ámbito social, se valoran aspectos como la equidad, el impacto social y las consideraciones legales. La distribución y asignación evalúan cómo se reparten los recursos entre las diferentes necesidades, mientras que en el acceso se explora la disponibilidad de los servicios y tratamientos.

El tipo de sistema de salud incluye público o estatal, privado, mixto, sistema de seguro de salud social, seguro privado de pago individual y sistema de cobertura universal. El tipo de aseguramiento en salud clasificado en varias modalidades aseguramiento público, aseguramiento privado, aseguramiento social, aseguramiento universal, aseguramiento voluntario (o individual), aseguramiento en grupos o colectivos, seguros médicos complementarios y aseguramiento a través de programas subsidiados.

En el tercer grupo, se realizó un análisis de si existe o no un derecho a la salud reconocido constitucional o legalmente en cada Estado, y se estableció seguidamente el alcance de este derecho en la política de cada Estado, considerando como criterios del alcance del derecho a la salud los de universalidad y gratuidad, entendiéndose la universalidad como el acceso de todas las personas a servicios integrales de manera oportuna, de calidad y adecuadamente, sin que hayan restricciones de tipo sociales o económicas que puedan generar discriminación y dificultades económicas, mientras que por gratuidad se entiende la exención del pago de servicios de salud, incluyendo copagos y cuotas moderadoras, cuyo objetivo es eliminar barreras económicas de acceso a la salud.

Posteriormente, en este mismo grupo de variables, se hizo un análisis de cada uno de los métodos de financiación y las distintas formas de recaudo de los recursos usados para el diagnóstico y tratamiento de EHR adoptadas por los distintos países objeto de estudio, así como un análisis de la legislación colombiana para establecer si dichos métodos de financiación son compatibles con la organización jurídica colombiana. El análisis de compatibilidad se basó en principio en establecer si dichos métodos de financiación de EHR adoptados por otros países:

- Respetan los valores y principios constitucionales del Estado Social de Derecho como lo son la solidaridad e igualdad bajo los cuales también se fundamenta el Sistema de Salud en Colombia bajo el Régimen actual de Seguridad Social, establecido mediante la Ley 100 de 1993.
- Existen o están reconocidos por el ordenamiento jurídico colombiano en materia de salud o incluso en materia social, ambiental o comercial.
- En caso de no existir o no estar reconocido dicho método de financiación, se estableció si dichos métodos y fuentes son armonizables con el ordenamiento jurídico colombiano, bien sea mediante la expedición de alguna Resolución o mediante la modificación de la Ley, o si por el contrario vulnerarían el ordenamiento jurídico establecido.

Finalmente, aquellos estudios que pasan al análisis especifico, son aquellos a los cuales se les realizó la evaluación de la calidad de la evidencia.

Para comprobar la usabilidad y funcionalidad del formulario de extracción de datos y verificar la coherencia de la extracción de datos, dos miembros del grupo hicieron una prueba con la herramienta de manera independiente en dos artículos seleccionados intencionalmente. Tras la prueba piloto del instrumento se identificaron ajustes relacionados con la estandarización de algunas variables los cuales fueron resueltos por consenso entre el equipo e incorporados antes de proceder con el proceso de revisión.

Síntesis

La síntesis de evidencia de la revisión realista se realizó bajo una metodología estructurada de síntesis cualitativa y sistematizada permitiendo comprender qué funciona, cómo, para quién, dentro de un contexto específico para desarrollar teorías que fundamenten un programa o intervención específica con un enfoque explicativo e interpretativo (37,40), en este caso el de financiación bajo un sistema de salud basado en el aseguramiento, buscando explicar qué funciona, en quiénes, en qué aspectos, en qué contexto, en qué circunstancias y por qué.

Se planteó desarrollar un enfoque de síntesis basado en los principios de la evaluación realista, que incluye los siguientes pasos:

i. Organización de los datos extraídos en tablas de evidencia.
ii. Tematización por parte de revisores individuales.
iii. Comparación de los temas extraídos y formulación de cadenas de inferencia a partir de los temas identificados.
iv. Vinculación de las cadenas de inferencia, seguimiento y vinculación de artículos.
v. Formulación de hipótesis.

Los datos extraídos se resumen y organizan en tablas relacionadas con las preguntas propósito. Luego, se busca realizar cadenas de inferencias alrededor de un tema, estas entendidas como una conexión que se puede hacer entre artículos en función de los temas identificados (58).

La narrativa se desarrolló en torno a cada pregunta del propósito, por medio de las variables específicas de análisis, resumiendo la naturaleza del contexto, los vínculos entre el mecanismo y los resultados, y las características de la evidencia que las sustenta. Seguidamente, se proporcionó un análisis explicativo destinado a discernir las preguntas de la evidencia empírica mencionadas anteriormente.

Finalmente, cabe precisar que, a diferencia de las revisiones sistemáticas tradicionales de efectos, las revisiones realistas generalmente no excluyen la evidencia basada en el diseño o la calidad del estudio (62).

Fase 5. Presentación y discusión de los resultados

Los resultados de la revisión combinan la comprensión teórica y la evidencia empírica, y se centran en explicar la relación entre el contexto en el que se aplica la intervención, los mecanismos por los que funciona y los resultados que se producen (37), desentrañando el mecanismo de cómo y por qué los mecanismos de financiamiento han funcionado o fallado en entornos particulares.

La revisión realista aplica un enfoque *generativista* a la causalidad, ya que asume que los programas no funcionan por sí mismos y que las razones subyacentes o los recursos que ofrecen a las poblaciones generalmente generan cambios (63). Por ello, se proporciona información y evidencia a los tomadores de decisiones explicándoles qué modelo ha mostrado evidencia que funciona y bajo qué parámetros o los enfoques que tienen mayor potencial de contribuir al mejoramiento en el financiamiento de las EHR.

Los hallazgos se analizaron de forma tal que se aborde el enfoque y el alcance acordado de la revisión; realizando un análisis comparativo con las características del sistema de salud colombiano permitiendo proponer recomendaciones sobre los mecanismos de financiamiento de atención en EHR bajo una teoría realista (marco legal y factibilidad operativa).

Así mismo, siguiendo la idea seminal de Diamond & Saez (64), los resultados teóricos obtenidos de la revisión se analizaron si cumplen al menos una de las tres siguientes condiciones para ser usados como parte de una recomendación política pública. Primero, el resultado debe basarse en un mecanismo financiero que sea empíricamente pertinente. Segundo, los resultados obtenidos deben ser razonablemente robustos, ante cambios en los supuestos de modelización, teniendo en cuenta la heterogeneidad de la población a la que va dirigida la política pública y las desviaciones del modelo racional. En tercer lugar, la política fiscal tiene que ser socialmente aceptable y no demasiado compleja en relación con la modelización de la administración y la respuesta individual a la ley fiscal (64).

Luego, se socializaron los hallazgos con expertos temáticos en búsqueda de complementariedad, mediante la revisión del contenido por especialistas en la materia y con experiencia directa en el campo que permitieron solventar algunos vacíos posiblemente no identificados en la literatura revisada. De esta forma, se buscó poder comprender las posibilidades de aplicar los resultados de la revisión dentro del contexto del sistema de salud colombiano y las consecuencias no deseadas resultantes de los cambios y sus interacciones o iteraciones resultantes con los mecanismos.

Por último, se generaron conclusiones contextuales, las hipótesis y recomendaciones sobre mecanismos de financiamiento para la atención de las EHR. Estos elementos son insumo de base para la elaboración de la propuesta de modelo de financiamiento en Colombia.

4. Resultados

4.1. Búsqueda de la literatura

El total de referencias identificadas fue de 4.331, de las cuales 1.831 provienen de la búsqueda sistemática en bases de datos y 2.500 provienen de la búsqueda libre en Google Scholar. Después de eliminar los duplicados, se tamizaron 4.273 documentos por título (DCH), lo que permitió identificar 1.730 publicaciones relevantes (Anexo 3) que fueron revisadas a partir de su título y resumen de manera independiente por dos revisores (DCH, EO).

4.2. Tamización y selección de documentos

De las 4.273 publicaciones revisadas por título 2.515 fueron excluidos por pertinencia y 28 por temporalidad (> 10 años de publicación). En rayyan® fueron cargadas 1.730 referencias de las cuales 17 fueron eliminadas por duplicado, tamizándose 1.713 de las cuales 1.678 fueron obtenidas de bases de datos y 35 de la búsqueda en Google Scholar, excluyéndose 1.642 referencias siendo la causa principal el análisis del artículo de fondo, seguido de la medida de resultado no pertinente. Al final quedaron preseleccionadas 71 publicaciones, de las cuales se procedió al análisis a partir de 40 estudios (ver Anexo 4).

4.3. Extracción de la información

De las 40 publicaciones seleccionadas de la búsqueda, se realizó un proceso de extracción en dos etapas. En la primera etapa, se extrajo información general del estudio acerca de los mecanismos de financiamiento (ver Anexo 5), el cual fue sometido a un piloto con uno de los estudios para clarificar cualquier duda sobre los datos a extraer, relacionando con las variables del análisis. En la segunda etapa, se procedió con la extracción relacionada con el método específico de financiamiento dado el contexto (región o país), lo cual limitó la extracción de la información a 26 estudios; los restantes 14 no se incluyeron porque no contenían la información relevante para le extracción de las variables del análisis en específico (ver Anexo 5).

4.4. Evaluación de la calidad

De las 27 publicaciones seleccionadas, quince correspondieron a revisiones narrativas (65–79), un panel de expertos (80), un modelo de simulación financiera (81), un estudio de elicitación (82), un estudio observacional transversal (83), dos revisiones sistemáticas cualitativas (84,85), cinco estudios cualitativos (80,86–89) y un estudio observacional descriptivo en el ámbito de análisis de política públicas (89).

Las publicaciones Zelei T, et al (2016) (84) y Chan AYL, et al (2020) (85) y a las que les fue aplicado el instrumento “JBI critical appraisal checklist for systematic reviews and research syntheses” se obtuvo valoración de bajo riesgo de sesgo. El estudio transversal publicado

por Li, J (2022) (83) en el que se adoptó un método de muestreo por conglomerados y los datos se obtuvieron del anuario estadístico, se le aplico el instrumento “Critical Appraisal Checklist for Analytical Cross Sectional” (60) y obtuvo una valoración de riesgo de sesgo poco claro. El estudio de Malinowski KP, et al (2019) (89), en el que se hizo una descripción completa de las políticas de reembolso de medicamentos huérfanos y se evaluó el proceso de toma de decisiones de reembolso en los países de la Unión Europea, le fue aplicado el instrumento “Critical Appraisal Checklistfor Analytical Cross Sectional” (60) y se obtuvo una valoración de riesgo de sesgo poco claro.

A las publicaciones de Pearson (2022), Naghdi S (2022), Abdallah, K (2022), Nicod (2020) y de Andrés-Nogales, F (2021) (80,86–89) les fue realizada evaluación de calidad metodológica en investigación cualitativa, en la cual se excluyó el ítem 6 (características del investigador), teniendo en cuenta la imposibilidad de valorar este ítem. El 60 % (3/5) de los estudios evaluados cumplieron con más de 15 ítems evaluados, el estudio de Pearson (2022) (86) cumplió con 4 ítems y el estudio de Nicod (2020) (88) cumplió con 13 ítems. En general se identificó que, de los 5 estudios evaluados, 4 presentan aspectos esenciales relacionados con el problema y pregunta de investigación, enfoque, métodos y técnicas de recolección de información y la síntesis de resultados y su discusión. El detalle de la valoración de la calidad por tipo de estudio se presenta en el Anexo 6.

4.5. Síntesis

En general, los estudios examinan una amplia gama de métodos o políticas de mejora que emplean recursos públicos, sugiriendo diversas formas en que los gobiernos pueden involucrarse más efectivamente en el financiamiento de estas condiciones de salud. Entre las herramientas y políticas propuestas, sea para la obtención o para la optimización de recursos, se encuentran el control de precios de medicamentos y tecnologías, la creación de instituciones específicas, la implementación de donaciones, la formación de programas y fondos dedicados a la atención de esta población vulnerable, y la promoción de investigaciones en salud que respalden decisiones de política pública. Estas investigaciones incluyen análisis de costo-efectividad, modelos de tasa de retorno (Rate of Return -ROR-), y metodologías de referenciación internacional de precios, que permiten mejorar la toma de decisiones basadas en evidencia científica (44,90).

También se destaca la diversidad de enfoques utilizados para abordar las necesidades de las personas afectadas por EHR. Por ejemplo, algunos de los estudios subrayan que la modelización económica en el ámbito de las EHR es particularmente compleja debido a la falta de datos completos sobre la eficacia y seguridad de los tratamientos, lo que dificulta la estimación precisa de beneficios y costos (90). Para mitigar estas limitaciones, proponen el uso de datos de enfermedades análogas, técnicas epidemiológicas avanzadas y la recolección de datos a largo plazo, lo que podría facilitar una mejor estimación de los impactos de los tratamientos y, por tanto, mejorar las decisiones políticas en el ámbito de la salud. Asimismo, otros trabajos utilizan métodos de decisión multicriterio (como MOORA, TOPSIS o COPRAS) para evaluar el rendimiento de las políticas sobre EHR en 18 países de la OCDE (14). Los resultados muestran que países como Alemania, Francia y los Países

Bajos están invirtiendo mayor cantidad de recursos en encontrar estrategias eficientes y efectivas en las EHR, mientras que Letonia, Grecia y Turquía presentan un rendimiento más deficiente, continúan con falencias en la asignación en EHR. Esta disparidad sugiere la necesidad de adaptar y fortalecer las políticas en países con un desempeño menos favorable para garantizar una mayor equidad en el acceso a tratamientos.

Además, algunos estudios exploran enfoques innovadores para mejorar el acceso a las tecnologías en salud, entre estos, se proponen un modelo de seguro alternativo, el "Massive Group Insurance" (MGI), que utiliza tecnología blockchain, que es un sistema digital que permite registrar, almacenar y gestionar información de manera segura, transparente y descentralizada, para autenticar prescripciones y pagar tarifas de propiedad intelectual, garantizando la seguridad de los datos y reduciendo los costos administrativos (91). Este modelo podría mejorar significativamente el acceso a medicamentos para EHR al reducir precios y aumentar la disponibilidad, aunque aún no ha sido implementado en la práctica. Por su parte, en otros se resalta la importancia de enfoques nacionales específicos, como la referenciación internacional de medicamentos y compra centralizada. Estas estrategias no solo mejoran el acceso a los tratamientos, sino que también permiten aprender de las mejores prácticas globales para desarrollar programas multinacionales más efectivos (92).

La literatura también presenta propuestas para regular los precios de los medicamentos para EHR, por medio de un modelo basado en costos para establecer estándares de fijación de precios que limiten los gastos enfrentados por aseguradoras mientras mantienen incentivos eficientes para la innovación en nuevos medicamentos (93). Del mismo modo, destacan la creación de leyes específicas en varios países como un enfoque común para proporcionar atención y apoyo a las personas afectadas por EHR, aunque reconocen que existen desafíos en la implementación y armonización de estas políticas a nivel nacional e internacional (94).

Los estudios señalan un consenso creciente sobre la necesidad de cooperación internacional para mejorar el acceso a las tecnologías en salud. En el contexto euroasiático, identifican desigualdades significativas en el acceso a medicamentos para EHR debido a variaciones en las políticas nacionales y los sistemas de reembolso, aunque destacan los progresos logrados y la importancia de una mayor cooperación internacional (95). En América Latina, sugieren que la estandarización de la definición de EHR, la promoción de asociaciones regionales de investigación, y el desarrollo de programas de registro regionales son fundamentales para mejorar el acceso al diagnóstico, los medicamentos y los tratamientos en países como Brasil, Perú y Colombia (96).

En conjunto, estos estudios muestran que, a pesar de los avances en la implementación de políticas de financiamiento para EHR, persisten desafíos significativos que requieren una coordinación más estrecha entre los actores nacionales e internacionales para garantizar un acceso equitativo y efectivo a los tratamientos necesarios.

Es de resaltar que se identificaron varias limitaciones en los estudios analizados. Una de ellas, es que no se identificaron estimaciones de los resultados de los efectos directos o indirectos antes de la implementación de algún mecanismo de financiamiento o alguno de

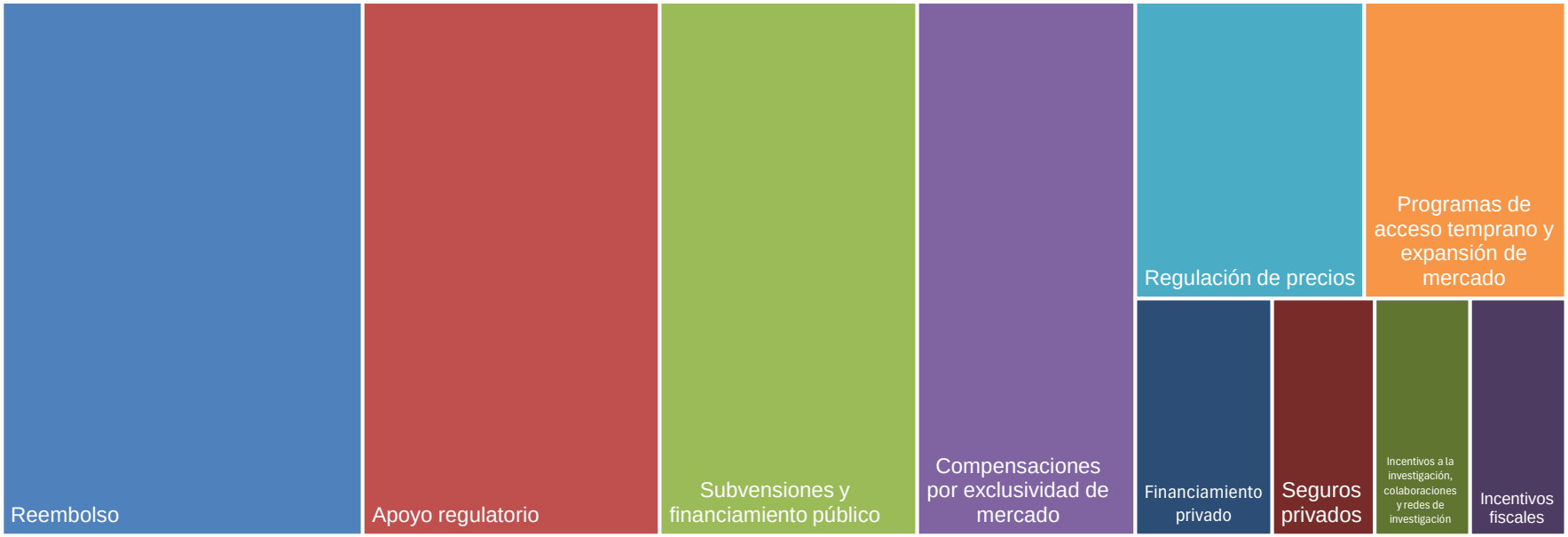
sus componentes en particular. Así mismo, tampoco se identificaron estudios que hicieran una evaluación impacto (cuantitativa o cualitativa) de los efectos de las políticas públicas de financiamiento sobre la atención de los pacientes con EHR. En este sentido, los estudios no permiten evaluar las tres condiciones mínimas para ser usados como parte de una recomendación política pública (64).

En relación con los métodos de financiamiento especifico, estos permiten realizar comparaciones entre los mecanismos y los resultados entre los países. En cuanto a los componentes del financiamiento, se evidencia que los tipo o métodos de financiamiento más frecuentes en los estudios de los diferentes países o regiones fueron: reembolso, apoyo regulatorio, subvenciones y financiamiento público, compensaciones por exclusividad de mercado, regulación de precios, y programas de acceso temprano y expansión de mercado (ver Figura 1).

En cuanto a la fuente de financiamiento, se identifica que en su mayoría son de financiamiento público (ver Figura 2). Aunado a ello, las formas de recaudo más frecuentes son: Impuestos generales, Copago, Presupuesto público e impuestos y donaciones (ver Figura 3). Y la población objetivo, en su mayoría es para pacientes con EHR, específicamente (Figura 4).

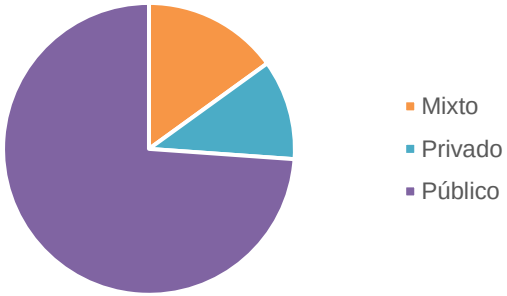
En términos geográficos, se evidencia que la mayoría de las publicaciones reporta información de países como: Estados Unidos, Australia, Bélgica, Japón, Rumania, Alemania, Italia, Canadá y Reino Unido (ver Figura 5). En términos de la destinación de los recursos, los más frecuentes son comercialización/mercado, provisión e investigación (Figura 6). Y en cuanto el método de evaluación los criterios más frecuentes son de eficiencia, efectividad, sociales, y acceso (Figura 7), sin embargo, los estudios incluidos no informan o realizan este tipo de estimaciones para establecer resultados de los mecanismos implementados, se nombran como aspecto a considerar en el modelo de financiamiento.

Figura 2. Tipo o método de financiamiento – conteo de artículos



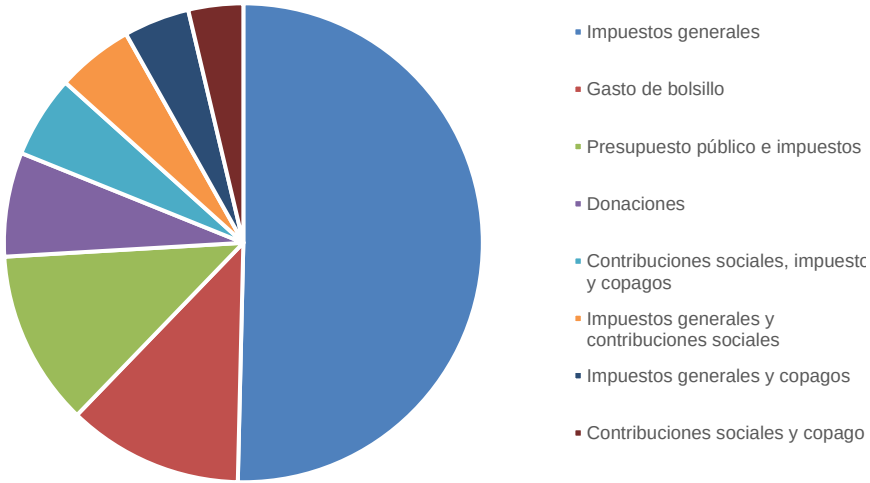
Fuente: elaboración propia.

Figura 3. Fuente de los recursos – conteo de artículos



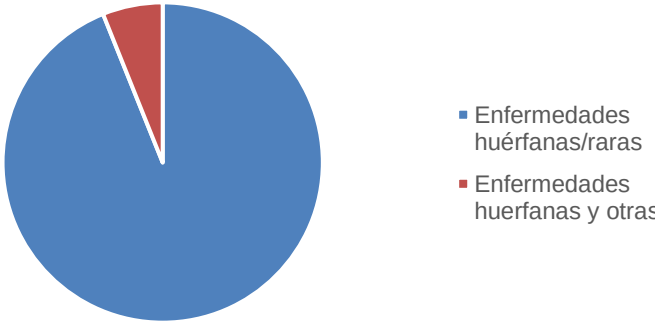
Fuente: elaboración propia.

Figura 4. Forma de recaudo – conteo de artículos



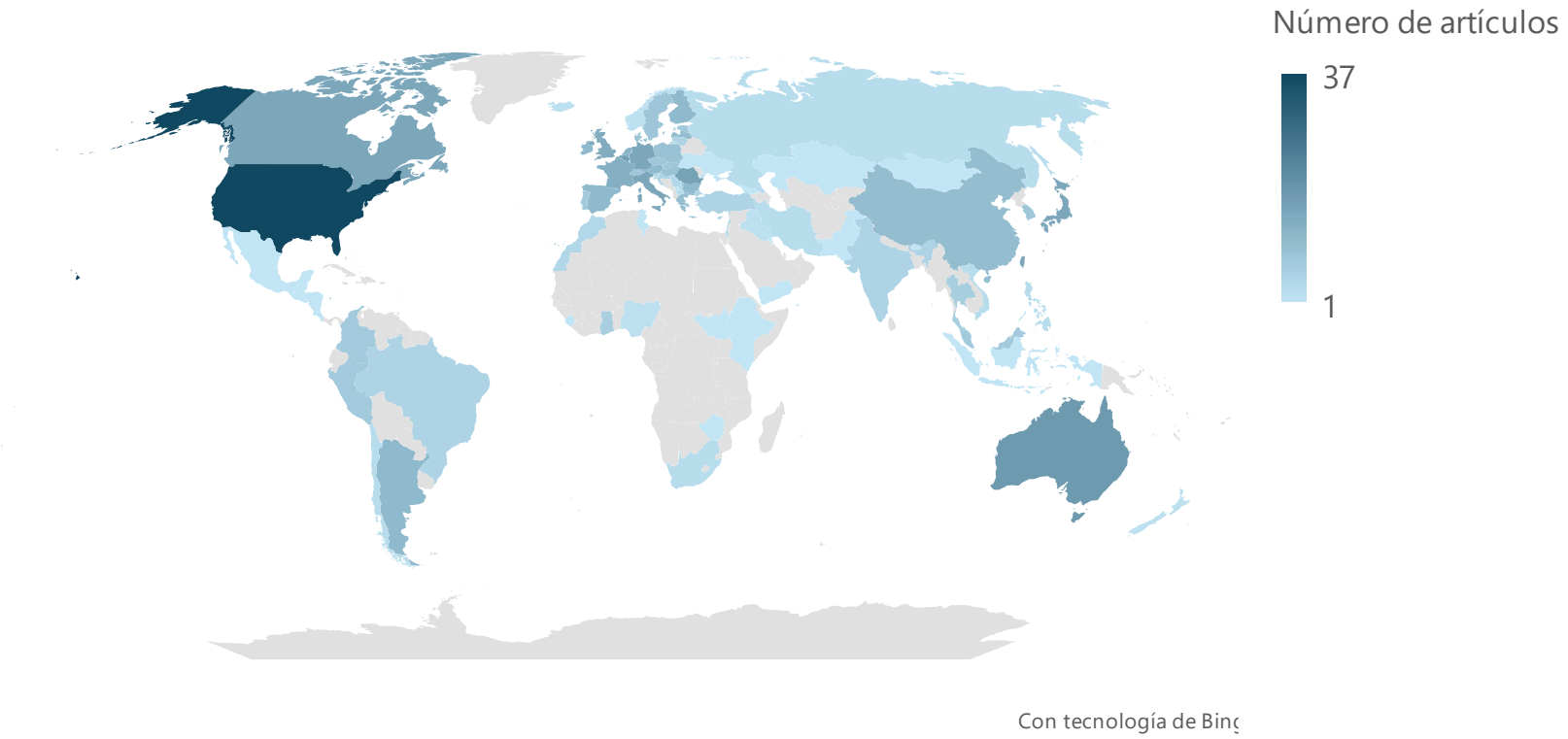
Fuente: elaboración propia.

Figura 5. Población objetivo – conteo de artículos



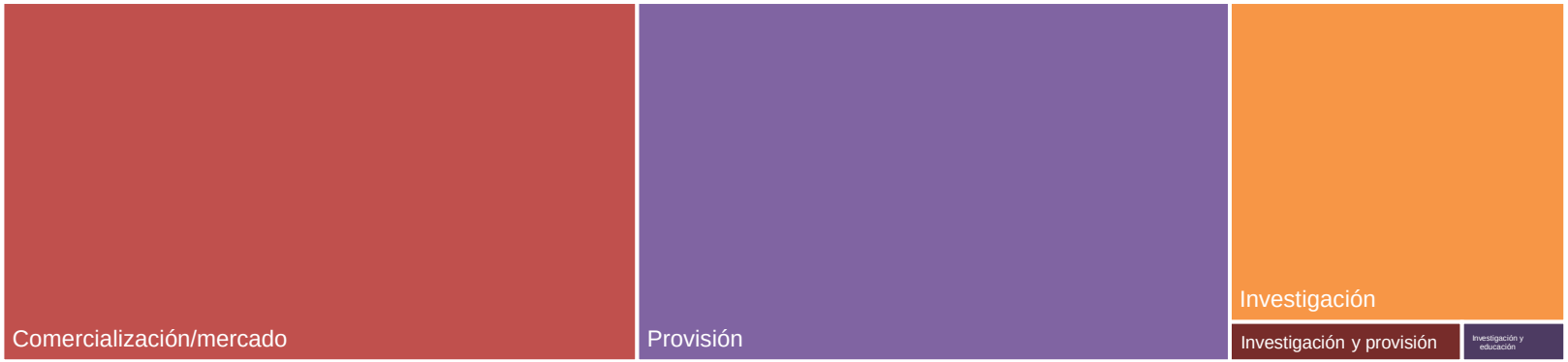
Fuente: elaboración propia.

Figura 6. Países – conteo de artículos



Fuente: elaboración propia.

Figura 7. Destino – conteo de artículos



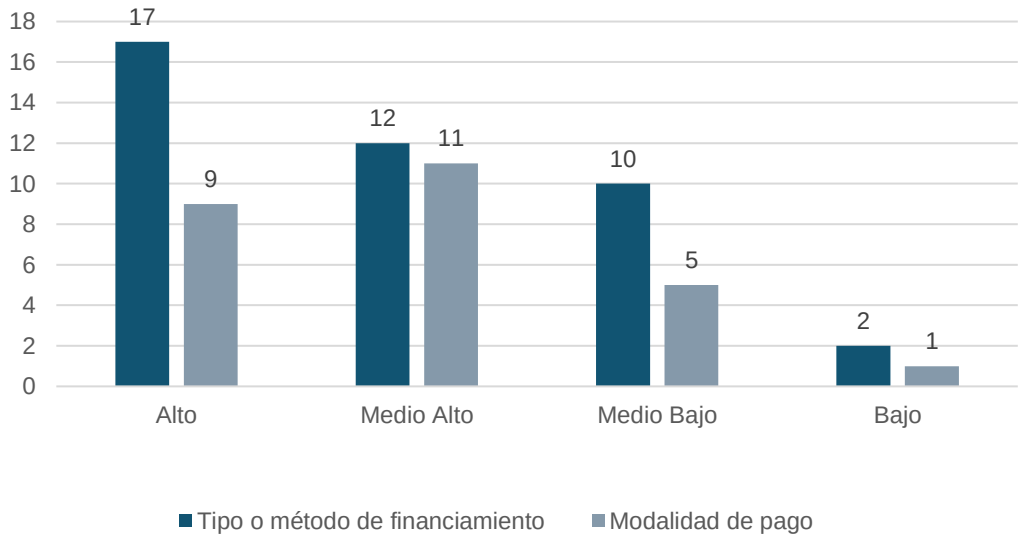
Fuente: elaboración propia.

Figura 8. Medida de evaluación – conteo de artículos

Fuente: elaboración propia.

Como un análisis adicional, se agrupan los países con información disponible en la documentación obtenida en la búsqueda por nivel de ingreso. En la Figura 8, se observa que los países con mayores niveles de ingreso cuentan con un número significativamente superior de mecanismos de financiación para abordar condiciones de salud crónicas o raras. Esto incluye tanto el apoyo financiero para el tratamiento de dichas condiciones como la inversión en investigación y desarrollo. Lo anterior refleja cómo el nivel de ingreso de un país influye directamente en su capacidad y disposición para priorizar mejoras en la atención de estas condiciones, demostrando un mayor compromiso hacia las necesidades de la población afectada.

Figura 9. Número de métodos de financiamiento y modalidades de pago de acuerdo con el nivel de ingreso

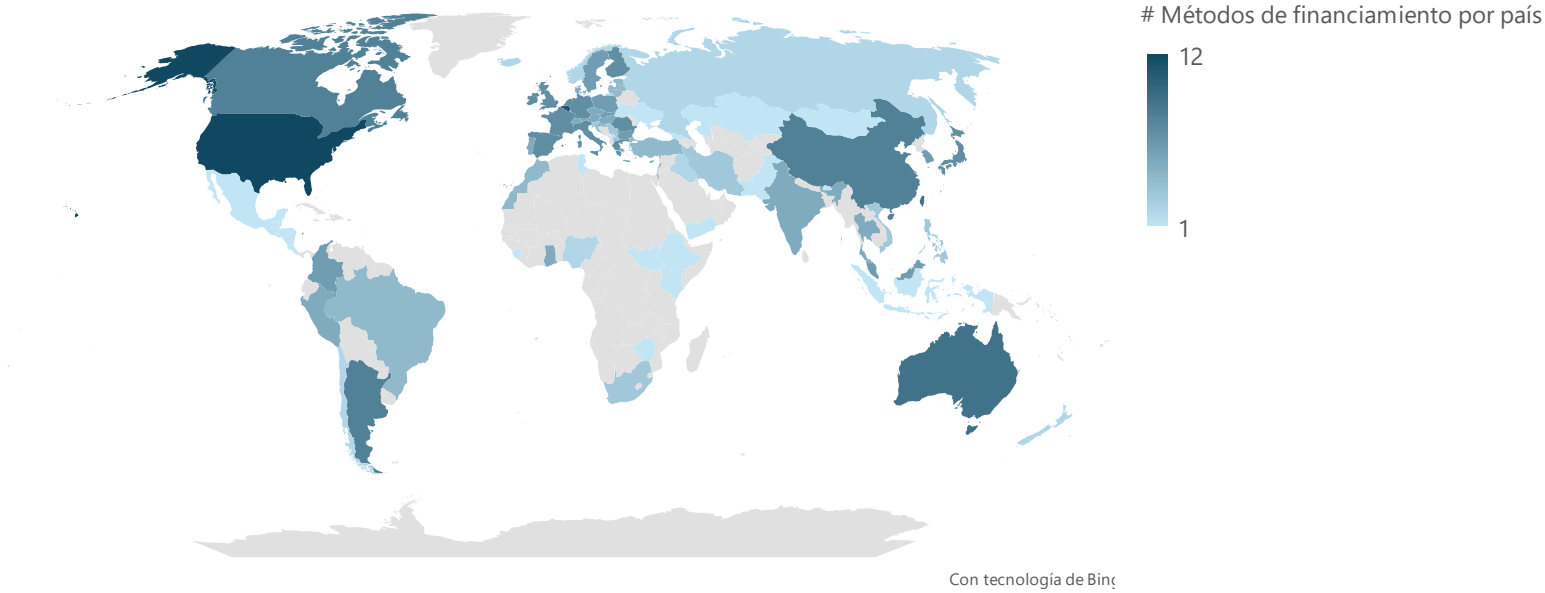


Fuente: elaboración propia.

La Figura 10 presenta el número de métodos de financiamiento identificado por país, en donde los que más registran son: Estados Unidos, Bélgica, Australia, Taiwán y Argentina. Adicionalmente, la Figura 11 muestra los métodos de financiamiento por nivel de ingresos de los países. En los países de ingreso alto y medio-alto, los métodos más frecuentes son el apoyo regulatorio, el reembolso, las subvenciones y financiamiento público. Por su parte, en los países de ingreso medio-bajo y bajo, se resalta la regulación de precios y el apoyo regulatorio.

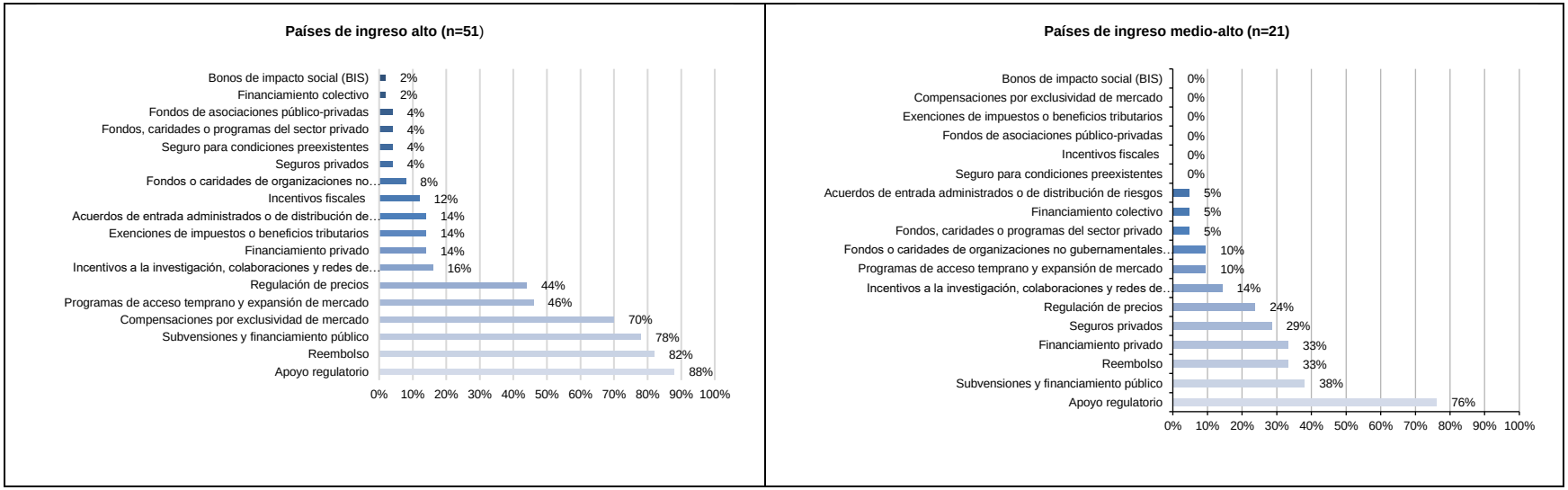
Y en la Figura 12, se analiza la relación entre los métodos de financiamiento y el PIB per cápita, en donde se evidencia una correlación positiva. Esto significa que aquellos países con mayores ingresos tienen más opciones en su haber como métodos de financiamiento.

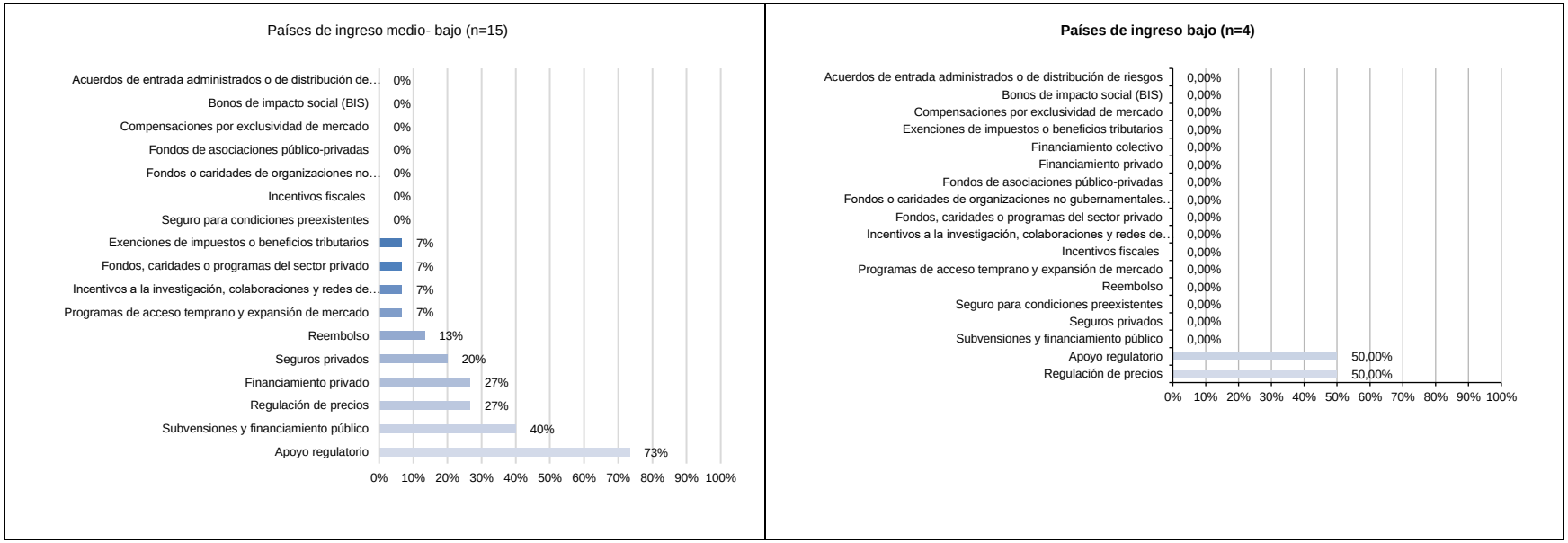
Figura 10. Métodos de financiamiento por país



Fuente: elaboración propia.

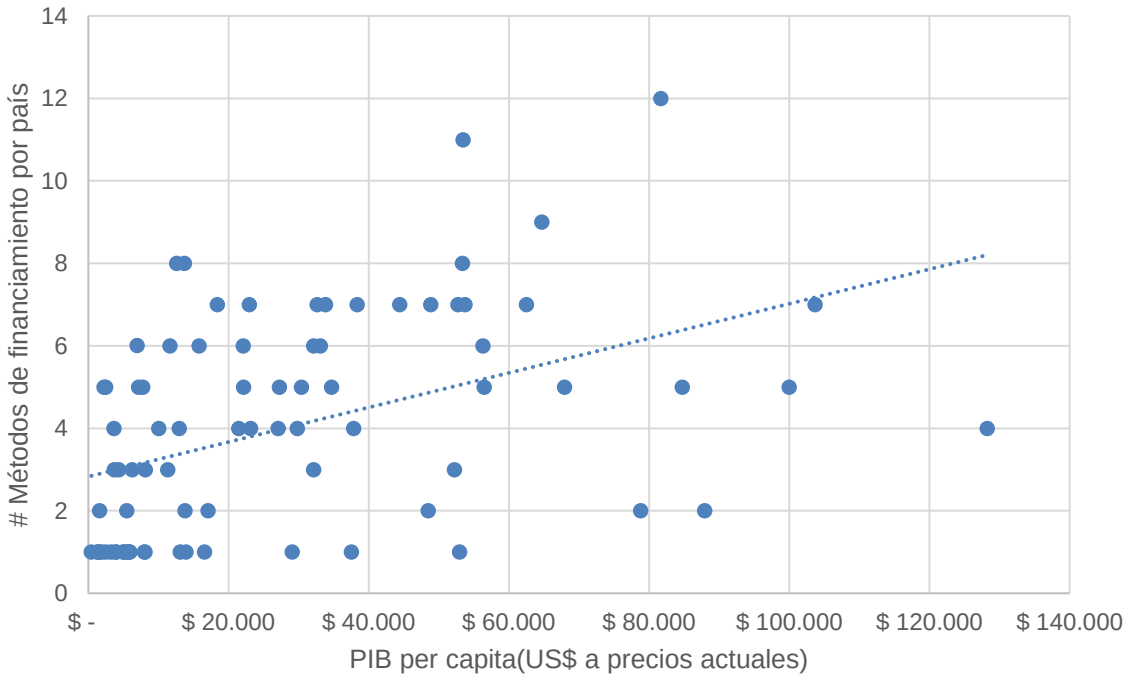
Figura 11. Métodos de financiamiento por nivel de ingresos de los países





Fuente: elaboración propia.

Figura 12. Métodos de financiamiento vs PIB per cápita



Fuente: elaboración propia.

Al comparar otros países con el caso colombiano se evidencian diferencias asociadas con las variables del mecanismo, el contexto y los resultados. En primer lugar, se muestra un uso muy frecuente de las políticas de reembolso, subvenciones, compensaciones por exclusividad de mercado y programas de acceso temprano; métodos que no son usados en el país. Por otro lado, también se evidencia en común con otros países, el uso de la regulación de precios.

En términos de las fuentes y formas de recaudar los recursos, se tiene en común que la financiación es pública en la mayoría de los países y se da vía impuestos generales, presupuesto público, copagos y contribuciones de la seguridad social. Entre las formas de recaudación que son diferenciales, se resaltan las donaciones, el Crowfounding o modelos de financiamiento colectivo, los créditos otorgados a los agentes con tasas preferenciales, la exención de impuestos en producción y ventas, y las desgravaciones fiscales.

En cuanto a la destinación es habitual la direccionalidad hacía la provisión (también para el caso colombiano), seguida de investigación y comercialización/mercado, siendo estos últimos más distantes al contexto del país. Frente a los instrumentos de evaluación, en otros países es relevante la inclusión de criterios de eficiencia (mediante los análisis de costo-efectividad o de impacto presupuestal) resaltando su relevancia; en similitud, se tienen los criterios de acceso, efectividad y seguridad (normado, pero que aún no se aplica).

En segundo lugar, se evidencia que el tipo de sistema de salud en la mayoría de los países es mixto (público y privado) y el tipo de aseguramiento (con un componente universal y otro particular vía privada), similar al de Colombia que es un sistema basado en el aseguramiento. Y, en tercer lugar, se evidencia que el acceso para algunas tecnologías en salud está restringido para pacientes con EHR mediante criterios explícitos, como los resultados en salud o de costo-efectividad, contrario al contexto colombiano, en donde tratamientos para EHR no pueden estar sujetos al criterio de costo-efectividad.

Si bien, los textos incluidos permiten un panorama general sobre los mecanismos de financiamiento desarrollados en diferentes contextos y sistemas de salud, la falta de la medición de resultados relacionados con la implementación de estos mecanismos hace imposible realizar algún tipo de aproximación al proceso causal, desde la perspectiva del análisis cualitativo, el cual busca explicaciones de proceso causal basado en patrones de datos robustos, descripciones densas y principalmente, relaciones entre fenómenos y categorías (97), aspecto que no se dio en la presente en los estudios que componen la revisión, como se mencionó, sin embargo, para superar esta barrera se realizó un involucramiento de expertos que robustecieran la contextualización de los hallazgos y recoger elementos adicionales de cara a las recomendaciones.

Otra limitante, es que, en los estudios resultantes de la búsqueda de mecanismos de financiamiento, no se reportó información específica de estimaciones de financiamiento o de pacientes con EHR para Colombia; a pesar, de que se realizó una búsqueda dirigida en este tema.

Finalmente, se resalta la no disponibilidad de información acerca del gasto en EHR, incluso a nivel mundial no se identificaron estudios que reportaran que porcentaje del PIB o del gasto en salud total se destina a este rubro. Sin embargo, algunos estudios realizaron estimaciones de los costos de la atención de dichos pacientes. En Estados Unidos, estima una carga económica para un grupo de 379 EHR en el 2019 de 997 billones de dólares con una participación de costos médicos directos del 45%, costos indirectos del 44%, costos no médicos (7%) y costos no cubiertos por aseguradoras (4%) (98). En Perú, se calculó que el presupuesto para ERH constituye el 2,25% del presupuesto total para enfermedades de alto costo (99). En Letonia, el gasto anual en medicamentos EHR osciló entre 2065 y 3065 millones de euros, con un gasto total en cinco años de 12467 millones de euros, y constituyó, por término medio el 0,84 % del total del mercado farmacéutico y el 2,14 % del presupuesto total de reembolso de medicamentos, respectivamente; y el gasto medio anual por paciente varió ampliamente, desde 1534 EUR a 580952 EUR (100). En China, un estudio indicó que 98 pacientes con EHR en Chengdu requirieron medicamentos específicos de alto precio en 2019, este sugirió un presupuesto previsto de 179 millones de CNY para estos pacientes sin políticas de reembolso, desde una perspectiva social, y en seis escenarios de políticas asumidas, este presupuesto oscilaba entre 32 y 156 millones de CNY, y en los tres años siguientes, el presupuesto anual oscilaría entre 200 y 1303 millones de CNY (101).

5. Mapeo de actores interesados y diálogos con actores del sistema de salud

La contextualización de la evidencia identificada y la generación de recomendaciones implicó procesos deliberativos con actores. A continuación, se presenta el desarrollo general de este proceso y el Anexo 7 presenta el detalle de la gestión de los espacios de participación.

5.1. Identificación de actores

Esta recuperación de información comienza con un mapeo de actores clave, de acuerdo con la Red Europea de Evaluación de Tecnologías (EUnetHAT, European Network for Health Technology Assesssment, por su sigla en inglés). Se entiende por actores aquellos que corresponden a grupos u organizaciones que pueden proveer información relevante sobre la perspectiva de los grupos que representan y que serán afectados por la decisión; también son grupos u organizaciones que pueden, en un rol consultivo, contribuir a las acciones u objetivos de una organización, proyecto o política en salud (102).

La preparación del mapeo de actores consistió en construir una lista de los actores involucrados y con experiencia en la atención a las EHR y con conocimiento en mecanismos de financiamiento para estas condiciones, a partir de la experiencia en el sector de los participantes en el grupo desarrollador, de la identificación de documentos clave en la literatura y del equipo de participación del IETS, se identificaron los actores potenciales a convocar (ver Anexo 7).

5.2. Mapeo de actores

De acuerdo con Tapaella (103), el mapeo de actores clave tiene origen en los análisis de redes sociales y busca la identificación de sujetos realmente involucrados en los temas de interés; como metodología, “esta herramienta descansa sobre el supuesto de que la realidad social se puede ver como si estuviera conformada por relaciones sociales donde participan actores e instituciones sociales de diverso tipo” (104). En este sentido, el mapa se conforma a partir de listados de posibles involucrados que se va ajustando, depurando y alineando de una manera ágil con los propósitos de recolección de información requeridos en los procesos participativos. De este modo el mapeo de actores clave no es una lista extensiva del conjunto de actores sociales existentes, sino una herramienta ágil para involucrar agentes sociales que representen un fenómeno social de interés.

Para el caso particular sobre el tema del financiamiento de las EHR se identificaron los siguientes actores:

Tabla 1. Listado de actores identificado

Tipo de actor	Actor
Escenarios de participación de actores en enfermedades huérfanas	• Mesa Nacional de enfermedades huérfanas • Observatorio de enfermedades huérfanas
IPS de referencia	• Instituto Roosevelt • Hospital San Ignacio • Hospital Pablo Tobón Uribe – HPTU • Hospital San Vicente Fundación • Fundación LaCardio
Centros y grupos de investigación	• Universidad ICESI. Centro de investigaciones en anomalías congénitas y enfermedades raras – CIACER • Instituto de Genética Humana. Universidad Javeriana • Grupo de Genética Crónicas del Instituto Nacional de Salud en Colombia • Grupo de Investigación Ciencias Básicas y Clínicas de la Salud. Universidad Javeriana. • Grupo de investigación Hospital Militar: Unidad de Investigación Científica HOMI • Grupo de investigación Mederi. • CIGGUR- Centro de investigación en Genética y Genómica de la Universidad del Rosario
Organizaciones de pacientes y cuidadores	• Federación de Enfermedades Raras (FECOER) • Fundación Colombiana Para Enfermedades Huérfanas (FUNCOLEHF)
Autoridad sanitaria nacional	• Ministerio de Salud y Protección Social – Subdirección de Enfermedades No Transmisibles • Ministerio de Salud y Protección Social – Dirección de financiamiento sectorial • Ministerio de Salud y Protección Social – Dirección de Regulación de beneficios, costos y tarifas del Aseguramiento en Salud
Autoridad sanitaria territorial	• Referentes de enfermedades huérfanas de territorios priorizados
	• ADRES

Tipo de actor	Actor
Otras autoridades a nivel nacional	• Ministerio de Hacienda

Fuente: elaboración propia.

5.3. Metodología de involucramiento y dialogo y hallazgos

El dialogo e involucramiento de actores se realizó en tres momentos. El primero consistió en una exploración preliminar con los miembros de la Mesa Nacional de Enfermedades Huérfanas a quienes se les presentaron resultados parciales de la revisión de literatura. Este encuentro se dio en el marco de la sesión ordinaria de la Mesa Nacional, el día 31 de octubre de manera híbrida.

Las principales consideraciones derivados de la mesa fueron:

- Los hallazgos deben ponerse en dialogo con lo que se tienen en el país y los avances propios sobre el financiamiento que a las EHR se le ha dado en el marco de las posibilidades del sistema de salud.
- Es fundamental tener presente el rol de las instituciones de referencia para esta prestación de servicios pues hacia allá dónde se quiere migrar y establecer el modelo de atención para estas enfermedades.
- Es fundamental a partir de la conciencia de que, por normativa, el financiamiento de la salud es de carácter público y las condiciones relacionadas con el derecho que estas poblaciones. En este sentido toda recomendación debe alinearse a estos principios.

Miembros de la mesa refieren evidencia clave que consideran podrían incluirse en la presente revisión. Estos estudios fueron allegados al grupo desarrollado con posterioridad[5]. De estos tres estudios remitidos, uno ya se encontraba incluido en la revisión y los otros dos no son documentos de acceso abierto sino de circulación restringida.

El segundo espacio consistió en la consulta a expertos nacionales y una internacional sobre las propuestas posibles derivadas de la revisión de literatura y del análisis del contexto colombiano. Estas sesiones fueron grabadas, posteriormente transcritas y analizadas por medio de la técnica de análisis temático que consiste en 4 etapas: 1. Familiarización con los datos; 2. Generación de códigos iniciales; 3. Identificación de temas clave y 4. Revisión y agrupamiento de temas (105). Luego de este proceso, es decir de este diálogo con los expertos, se identificaron los siguientes temas clave que orientaron la primera estructura de propuesta de recomendaciones.

a) El financiamiento como un componente de la mirada integral a la atención de las EHR

Los expertos coinciden en la necesidad de partir de que el mecanismo de financiamiento por más innovador que sea debe considerarse en el marco de una mirada integral a la

[5] El día 18 de noviembre de 2018.

atención de las EHR, las cuales incluyen diversos desafíos como el diagnóstico oportuno, la capacidad instalada en el sistema de salud para estas atenciones de alta complejidad y especificidad, el trabajo articulado entre agentes del sistema y por fuera del sistema dada los determinantes sociales y las cargas socio-económicas a pacientes y cuidadores. Una mirada sobre el financiamiento exclusiva a medicamentos estaría desconociendo más del 90% de las EHR(53), las cuales aún no cuentan con un medicamento puntual. Por esta razón, considerar un mecanismo de financiamiento debe articularse con los aspectos clave de la prestación, planeación y evaluación de resultados para estas condiciones.

Específicamente en el caso de Argentina, la experta refirió que la estrategia que se organizó desde el Ministerio de Salud, por ejemplo, partió del reconocimiento de las necesidades más apremiantes, identificar los cuellos de botella, entre otros aspectos, que llevaron a estructurar una estrategia que no solo identificó nuevas fuentes de financiamiento, como "unos impuestos que son de destinación específica", sino que coordinó un proceso en el que se integró: evaluación de tecnologías, escaneo de horizonte, compras conjuntas, accesos de acuerdo administrado (transparentados y con participación de todos los agentes en su construcción) e impulso a la investigación para la producción local de medicamentos y otras tecnologías, así como una prestación de servicios desde el modelo de centros de referencia, que incluyó un mapeo de estos centros y de especialistas por provincia, y la evaluación del impacto para mejora del tamizaje neonatal *(pesquisa neonatal), que* posibilitó buenos resultados, tanto en sostenibilidad como en reducción de la judicialización para el acceso a servicios de estas poblaciones.

b) El rol de la normativa y los instrumentos de política para la sostenibilidad de los procesos

Otro aspecto en el que convergen los expertos consultados es la necesidad de dotar con instrumentos de políticas que permanezcan en el tiempo para que los diferentes niveles en la administración del Estado tengan posibilidad de implementar a largo plazo estrategias como el plan de gestión de EHR, entre otros, que se desarrollen para su propia implementación. Desde un ejercicio de rectoría, sería fundamental impulsar iniciativas bien sea legislativas, normativas o de modificación del marco actual que viabilicen acciones integrales sobre EHR, incluidas estrategias nuevas sobre financiamiento, porque las EHR no siempre serán prioridad para los gobiernos, esta incertidumbre o inconstancia en el tiempo puede impactar de manera importante la continuidad de procesos favorables en el marco de la gestión de estas condiciones.

Dentro de estos instrumentos de política, justamente a partir de experiencias como la de Brasil y Argentina, los expertos consideran que el impacto de apoyar el desarrollo local de medicamentos, pruebas diagnósticas, y en general, de tecnologías (incluidas intervenciones y modelos de atención), puede tener un impacto muy favorable no solo para los pacientes sino para el sistema de salud. En este sentido, los expertos colombianos, mencionan la relevancia de la investigación y desarrollo, y el rol preponderante de los centros de referencia en el tema de EHR. De este modo, se sugiere que la estrategia de

atención se impulse de manera decidida, por supuesto con líneas claras de evaluación de su impacto y auditoria juiciosa de los recursos.

Lo anterior se debe complementar con prestación basada en la evidencia, que los centros de referencia cuenten con guías, lineamientos o protocolos que permitan no solo estandarizar la práctica sino seguir las mejores prácticas de atención para estas condiciones que la evidencia muestre, esto ayudaría a muchos pacientes incluso a hacer más oportuna su atención.

c) Fortalecimiento de lo que hay y funciona y apertura al cambio necesario

Los expertos convergen en la reflexión de que en el tema de EHR, la trayectoria y recorrido histórico en el abordaje permite aprendizajes en los diferentes actores que deben ser puestos en dialogo y consideración ante nuevas estrategias. Capitalizar o potencializar las medidas que vienen funcionando y "construir" sobre lo construido en este tema puede hacer la diferencia. De allí la importancia de evaluar lo que se hace, incluir mecanismos que realicen seguimiento y monitoreo a medidas de resultados de esta atención, que incluya la perspectiva y satisfacción de pacientes, así como medidas de las tecnologías en las cuales se invierte, pues es una forma ser responsable con lo público y transparentar las decisiones.

En este sentido, el fortalecimiento al registro para saber cuántos son y dónde están los pacientes, la notificación para entender la incidencia, el monitoreo a indicadores y los procesos de calidad relacionados deben aportar a la toma de decisiones no solo de financiamiento, sino también de las brechas y aciertos en la prestación. Estas decisiones deberían anticipar compras centralizadas, mecanismos de referencia a centros especializados y en general a una mejor planificación de esta atención tan particular.

Finalmente, un tercer momento de participación estructurado se dio el día 18 de noviembre de manera virtual con actores diversos (ver Anexo 7). Durante dicha sesión se identificaron ideas clave sobre los mecanismos de financiación posibles en el país, sintetizadas en los siguientes aspectos:

Relacionados con las fuentes y los fondos:

- Fortalecer la participación a través de mecanismos como el crowfunding.
- La experiencia de algunos territorios sobre fuentes propias como el tema de Estampillas regionales podría ser evaluado como fuente adicional.
- Considerar la creación de un fondo único que recoja y direccione fondos específicos para pacientes con EHR que además de los recursos públicos de la salud incluya otras fuentes como las provenientes de la cooperación internacional.

- Es importante que en el tema de EHR se consideren y operativicen acuerdos de negociación ligado a pago por resultados, resultados propios a estas condiciones, pero que reflejen desempeño de las tecnologías que se financian.

Relacionados con mecanismos distintos a los existentes en Colombia:

- Inclusión de mecanismos innovadores, por ejemplo, donaciones individuales, bonos de impacto social, cooperación internacional y tarifas diferenciales.

Relacionados con la rectoría y la normatividad existente:

- La necesidad de una armonización con la normatividad existente en especial en materia de financiamiento del Sistema de Salud (unidad de pago por capitación (UPC), presupuestos máximos (PM), recobros y Ley Estatutaria de Salud.
- Considerar los planes de desarrollo a nivel territorial como instrumentos de política pública en el que se pueda priorizar el tema de EHR, de modo que se cuenten con recursos para el trabajo relacionado con los niveles primarios de atención para el desarrollo de acciones relacionadas con los niveles primarios de atención, así como de información y educación para la salud.
- El tema de EHR desde salud debe posibilitar el desarrollo de una política que incluya investigación local y fortalecimiento de industria local, como el caso de Argentina.
- Toda propuesta debe garantizar que la gobernanza y gobernabilidad quede a nivel de Estado.
- La negociación del financiamiento y de las tarifas de los medicamentos debe estar centralizada en el Estado.

Relacionados con la prestación:

- Necesidad de generar rutas y mecanismos de atención integral que incluyan acciones de tamizaje neonatal, detección temprana, asesoría genética y consulta preconcepcional.
- Considerar la creación de centros de referencia, clínicas o centros especializados, lo cual en otros países ha demostrado reducción en los costos y la garantía de atención y cuidado integral a los pacientes.

5.4. Generación y deliberación de recomendaciones

A partir de los hallazgos del proceso de revisión y de su contextualización para el sistema de salud colombiano, se fueron generando recomendaciones siguiendo el marco de recomendaciones de política pública propuesto por el MiT e incorporando criterios clave del marco Evidence To Decision (EtD), las cuales fueron discutidas con los actores involucrados permitiendo su refinamiento, robustecimiento y factibilizando su implementación para el contexto colombiano.

Las recomendaciones se organizaron en función del concepto de financiamiento previamente citado y, en un primer momento, correspondió a un listado de

recomendaciones individuales que facilitaran la discusión con los actores. La Tabla 2 resume el compendio de recomendaciones luego de su refinamiento, por componente del mecanismo de financiamiento: i) Fuentes y forma de recolección de los recursos, ii) Mancomunación, iii) Modalidad de pago, iv) Generación de capacidades y v) Direccionamiento.

Tabla 2. Recomendaciones por componente del mecanismo de financiamiento de la propuesta

Componente del mecanismo	N°	Recomendación
Fuentes y forma de recolección de los recursos	1	Impuestos con destinación específica para la atención de pacientes con EHR.
	2	Recursos a partir de excedentes de saneamiento de aportes a salud.
	3	Recursos a partir de eliminación de exenciones tributarias.
	4	Incluir criterios particulares para EHR en el Decreto 2699 de 2007.
	5	Ajustador de la UPC diferencial para EHR.
Mancomunación	6	Fondo único y específico para EHR.
Modalidad de pago	7	Compra centralizada.
	8	Compra conjunta.
	9	Acuerdos de acceso administrado.
Generación de capacidades	10	Financiamiento para la investigación y redes colaborativas para EHR.
	11	Formación en diagnóstico para EHR en niveles primarios de atención.
	12	Instrumentos de estandarización de la práctica de la atención EHR.
Direccionamiento	13	Actualización o decreto reglamentario de la Ley de EHR para la obligatoriedad de la implementación de un Plan Nacional de Gestión en cada periodo de gobierno.
	14	Fortalecimiento del registro nacional de pacientes, creación de un listado de tecnologías en salud para pago recursos de la salud, de centros de referencia y especialistas específicos de EHR.

Fuente: elaboración propia.

Luego del proceso de deliberación con los actores y de ajuste a las recomendaciones propuestas, se envió de manera asincrónica una consulta a los expertos con el objetivo de recoger sus valoraciones de las recomendaciones en términos de relevancia y factibilidad de cara a la priorización de cada una de estas. El formulario fue enviado vía correo electrónico al total de participantes del espacio participativo. Las respuestas fueron clasificadas de acuerdo con la siguiente escala de valoración:

Tabla 3. Escala para votación de la relevancia y factibilidad

Relevancia*	Factibilidad**
1-3: Poco relevante **4-6**: Moderadamente relevante **7-9**: Muy relevante	**1-3:** Poco factible. **4-6**: Moderadamente factible. **7-9**: Muy factible

* Grado en el que la recomendación aborda problemas importantes y tiene impacto potencial.
** Posibilidad de implementar la recomendación dadas las condiciones actuales.
Fuente: elaboración propia.

Posteriormente y a partir de la valoración de la relevancia y factibilidad (Tabla 4), se realizó la definición de la prioridad de cada recomendación, teniendo como referente el método de Eisenhower (modificado) para dicha priorización. Este método usa los valores medianos de relevancia y factibilidad para posicionar las recomendaciones en un diagrama de priorización, así:

- Alta relevancia/alta factibilidad: prioridad alta (cuadrante superior derecho).
- Alta relevancia/baja factibilidad: priorización condicionada (cuadrante superior derecho).
- Baja relevancia/alta factibilidad: prioridad media (cuadrante inferior derecho).
- Baja relevancia/baja factibilidad: despriorizar. (cuadrante inferior izquierdo).

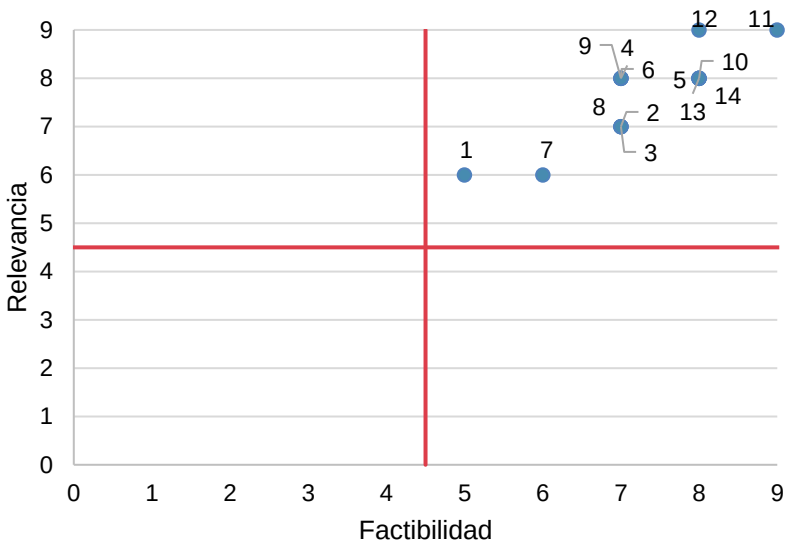
Tabla 4. Resultados valoración - relevancia y factibilidad

Recomendación	Relevancia		Factibilidad		Prioridad
	Puntaje	Valoración	Puntaje	Valoración	
1	6	Moderadamente relevante	5	Moderadamente factible	Prioridad condicionada
2	7	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
3	7	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
4	8	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
5	8	Muy relevante	8	Muy factible	Prioridad alta
6	8	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
7	6	Moderadamente relevante	6	Moderadamente factible	Prioridad condicionada
8	7	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
9	8	Muy relevante	7	Muy factible	Prioridad alta
10	8	Muy relevante	8	Muy factible	Prioridad alta
11	9	Muy relevante	9	Muy factible	Prioridad alta
12	9	Muy relevante	8	Muy factible	Prioridad alta
13	8	Muy relevante	8	Muy factible	Prioridad alta
14	8	Muy relevante	8	Muy factible	Prioridad alta

Fuente: elaboración propia a partir de los resultados de la votación.

Se identifica en los resultados de la valoración de la relevancia y factibilidad realizada por los expertos participantes en el panel que 12 recomendaciones fueron consideradas muy relevantes y muy factibles, lo que corresponde a una prioridad alta y dos con prioridad condicionada (Figura 13). En general, es posible considerar que el conjunto de recomendaciones presentado y deliberado con los actores son muy relevantes y factibles de implementar en el país, por lo tanto, deberían considerarse dentro de una propuesta financiamiento de EHR.

Figura 13. Diagrama de cuadrantes para priorización



Fuente: elaboración propia a partir de las votaciones de expertos.

6. Propuesta para el financiamiento de enfermedades huérfanas/raras en Colombia

La revisión de literatura realista comparte algunos de los elementos de una revisión convencional: definición de palabras clave y protocolos de búsqueda, búsqueda sistemática en bases de datos, la selección y tamización de los artículos, y la extracción y síntesis de la evidencia. Adicional, a partir de los estudios seleccionados, busca explicar qué hace que una política, programa o intervención compleja funcione, en cuáles aspectos, para quiénes, en cuál contexto, en qué extensión y por qué, mediante la construcción de teoría, expandiendo los mecanismos de funcionamiento y entornos de políticas o programas complejos que generan resultados (37). Así mismo, dicha metodología cuenta con la participación de las partes interesadas durante el proceso de revisión (40) y se una interacción entre estos y los revisores, para refinar los hallazgos (106).

El alcance de una revisión realista no es de carácter financiero o económico porque su objetivo principal no es realizar estimaciones o comparaciones de costos, sino comprender en profundidad cómo y por qué una intervención funciona (o no) en contextos específicos. La metodología realista se enfoca en los mecanismos que explican los resultados de las intervenciones y en los factores contextuales que influyen en su efectividad. Este enfoque busca construir una teoría sobre el funcionamiento de las políticas o programas, identificando los aspectos clave del contexto y las circunstancias bajo las cuales se logran los resultados deseados.

Si bien los aspectos financieros pueden ser relevantes en la implementación de las intervenciones, el enfoque realista no se centra en la evaluación de costos o en la rentabilidad económica de las políticas. En lugar de eso, su propósito es entender los procesos subyacentes, las dinámicas sociales y los factores que influyen en el éxito o

fracaso de una intervención, lo que requiere un enfoque cualitativo y una interpretación profunda del contexto en lugar de un análisis cuantitativo y económico.

Estimar gastos, sostenimiento y comparar ingresos con gastos son aspectos propios de un análisis financiero o presupuestario, mientras que la revisión realista es más amplia considerandos variables no financieras como la efectividad de un proceso o el impacto de una estrategia. Puede estar más orientada a la estrategia general o a los objetivos a largo plazo, y no necesariamente centrarse en los detalles operativos y financieros de la situación.

La revisión permitió vislumbrar un panorama general sobre los mecanismos de financiamiento desarrollados en otros países, sin embargo, los estudios no presentaban resultados relacionados con la implementación de los diferentes métodos o mecanismos de financiamiento. Tampoco, los estudios identificados reportaron información específica o estimaciones de financiamiento, gasto o ingresos de los servicios de salud o de pacientes con EHR para Colombia.

A partir de los estudios identificados de la revisión realista, con las limitaciones antes mencionadas, y de la consulta a los expertos en el financiamiento de EHR, se construyó la propuesta de financiación para EHR. La propuesta propende por la creación de un fondo único y específico para EHR, detallada a continuación.

6.1. Marco central de la propuesta

Teniendo en cuenta que El Plan Nacional de Gestión de Enfermedades Huérfanas fijó como Meta a 2031, en su Línea 5 – Financiando las Enfermedades Huérfanas/Raras manteniendo la sostenibilidad financiera del SGSSS, contar con mecanismos de financiación sostenibles, se propone la creación de un Fondo Único y Específico para EHR (FUEHR) financiado tanto con recursos públicos derivados de los impuestos como recursos privados provenientes de las contribuciones de cooperación internacional o donaciones, por ejemplo. De esta forma, se focalizarán y direccionarán los esfuerzos del gobierno, los pacientes, los centros de referencia y las alianzas con otros países para la atención de EHR.

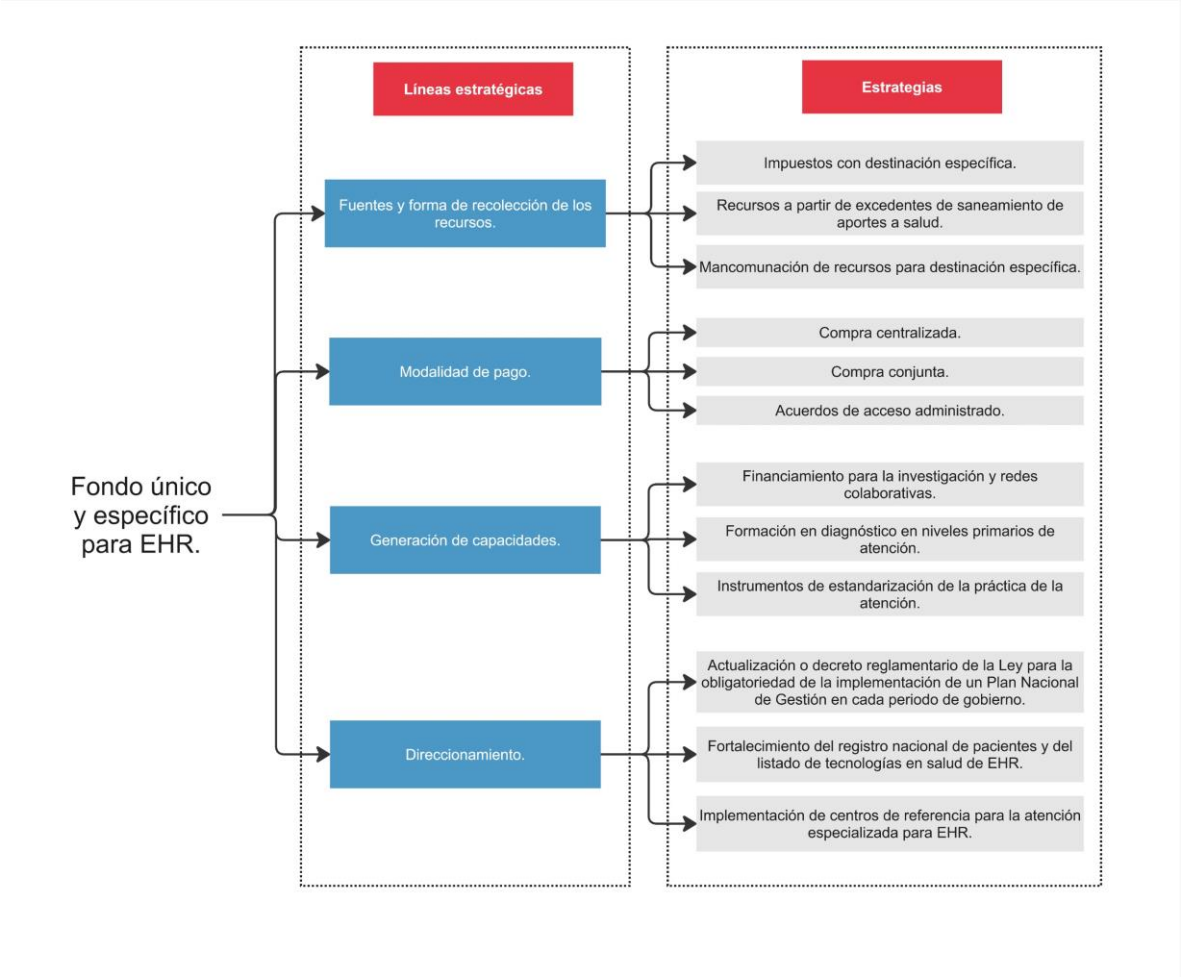
El Fondo se creará mediante reforma al artículo 5° a la Ley 1392 de 2010, como Fondo Especial que sería reglamentado por vía de Decreto como un fondo-cuenta adscrito al MSPS. Sería una institución de naturaleza publica e independiente respecto a las decisiones política, manejado por encargo fiduciario, sin personería jurídica (adscrito) ni planta de personal, con las subcuentas necesarias y cuyos recursos tendrán independencia y serán destinados exclusivamente a los fines del cumplimiento de dicha Ley. Los recursos recogidos por el FUEHR deben ser dirigidos específicamente para la planeación estratégica, direccionamiento, investigación, capacitación de personal médico, atención, diagnóstico y tratamientos de pacientes con EHR. En este sentido, como limitación se establece que los recursos serán destinados única y exclusivamente a la atención directa de la EHR, y no a las complicaciones adicionales no relacionadas con esta condición de salud.

La principal limitación de la creación del FUEHR son los recursos para su funcionamiento, por ello se sugiere que los gastos operativos sean cubiertos por el MSPS, pero que cuente con independencia técnica y decisoria. Otra de las limitaciones son las fuentes para la asignación de los recursos en salud para la atención de EHR, en este caso se sugiere que fondo cuente con diversificación de fuentes, adicionales a las públicas, y sea un apoyo para el direccionamiento y gestión de la atención por parte de las EPS e IPS. Así mismo, se puede dar la posibilidad que el FUEHR sea centralizado y no tenga en cuenta las necesidades de las regiones, para ello se plantea que tenga una participación multisectorial, contando con una la voz de los pacientes. De igual manera, pudiera darse como una limitación el acceso desigual por parte de los pacientes a los recursos designados en el fondo, para esto se deben de fijar unas políticas claramente definidas y transparentes de qué tipo de pacientes accederán y a cuáles servicios de salud, basadas en criterios éticos, legales, clínicos, sociales y técnicos. Finalmente, se identifica la no actualización constante, para ello se sugiere orientar recursos a investigación y fomentar los convenios internacionales para la colaboración mutúa en pro de la mejor atención de los pacientes. Estos y otros aspectos se detallan en cada una de las líneas estratégicas de la propuesta.

La dirección del FUEHR la realizará el MSPS, y contará con un Consejo Administrador que estará conformado por representantes del Ministerio de Hacienda, Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación, y adicional contará con delegados del gremio médico, ONGs y asociaciones de pacientes y familiares con EHR, los cuales tendrían voz y voto en las decisiones que se tomen en el Fondo. Este consejo tiene la finalidad de que se garantice la transparencia, no lo captación por las decisiones políticas, cuente con un enfoque multisectorial de los actores implicados, permita gestionar recursos a partir de sus miembros y que sea independiente del personal técnico y administrativo encargado de la parte operativa del FUHR. Será inspeccionado, vigilado y controlado por la Superintendencia de Salud, en concordancia con lo establecido en el artículo 121.6 de la Ley 1438 de 2011.

Se propone que el Fondo cuente con las siguientes líneas estratégicas, de forma tal que le brinden herramientas en cada uno de los componentes del mecanismo de financiamiento: i) Fuentes y forma de recolección de los recursos, ii) Modalidad de pago, iii) Generación de capacidades y iv) Direccionamiento; resumidas en la Figura 14. Estas a su vez, plantean una serie de estrategias complementarias entre sí, de forma tal que el Fondo disponga de otras fuentes diferentes de la financiación pública, que tenga disposición de otras herramientas de negociación y formas pago a los proveedores de las tecnologías en salud (dadas las características particulares de las EHR) y que puedan orientar dichos recursos de forma focalizada y óptima para la atención de EHR.

Figura 14. Principales líneas estratégicas del fondo único y específico de EHR



Fuente: elaboración propia.

Con el propósito de lograr de que la propuesta sea más aceptable por los actores clave y no demasiado compleja (64), se direcciono mediante una serie de estrategias individuales, específicas y simples de forma tal que fueran fáciles de entender por los diferentes actores clave y que pudieran servir de insumo y facilitara su futura implementación. Así mismo, busca que el tomador de decisiones pueda analizar la propuesta como un conjunto alrededor del Fondo o analizar alguna estrategia en particular o un grupo de ellas.

Las fuentes de financiamiento podrían incluir desde la asignación un porcentaje del presupuesto público que el gobierno podría destinar, así como recursos de cooperación internacional, representado como una participación privada. Adicionalmente, se podrían considerar otras fuentes de recursos tales como un incremento en el porcentaje del recaudo de impuestos para las cervezas, cigarrillos, el tabaco, los juegos de azar y de los recursos destinados al fondo de investigación en salud. También, se propone la creación de un impuesto a las bebidas azucaradas y alimentos ultraprocesados que tenga una destinación específica para la atención de las EHR.

El destino de los recursos sería la atención de EHR para el diagnóstico temprano, tratamiento y acceso a medicamentos. Así mismo, financiar investigaciones y capacitaciones de médicos en EHR. Esto mediante el direccionamiento de la evaluación de tecnologías en salud (ETES) y la definición del valor de las tecnologías en salud para EHR. Así mismo, se sugiere que el Fondo tenga unos criterios explícitos de financiamiento de las tecnologías en salud, en donde priorice en primer lugar aquellas tecnologías de mayor reto financiero, como el gasto en el tratamiento farmacológico, seguidamente del diagnóstico temprano y el seguimiento a los pacientes. Otros elementos, podrían considerarse relevantes y que son complementarios a la atención, como el gasto de bolsillo en los que incurren los pacientes, que se podrían contemplar de acuerdo con la disponibilidad del presupuesto, la priorización del gasto y las consideraciones de equidad entre los diferentes pacientes con EHR.

Para la compra de los servicios, este organismo se le permitiría usar diferentes modalidades de pago para la compra tecnologías en salud para EHR, con el propósito de hacer una negociación focalizada de las necesidades de los pacientes y de acuerdo con las características particulares de este mercado. Así mismo, se le permita hacer "giro directo" a los centros de referencia de EHR, con la intención de generar un flujo directo y garantizar la continuidad de la atención. Esto en consistencia con la Línea 5 del Plan Nacional de Gestión para las EHR (107).

Entre las experiencias internacionales de la creación y/o destinación de fondos para la atención de personas con EHR se encuentra lo dispuesto en el Orphan Drug Act (ODA), en Estados Unidos, el cual se centra en brindar incentivos para el desarrollo de medicamentos huérfanos, pero el fondo también se centra en brindar beneficios fiscales y exenciones de tarifas para incentivar la innovación tecnológica (85). En el caso colombiano, se propone incrementar las tasas de impuestos que éstos se dirijan para la atención de estos pacientes. Por su parte, en Singapur, se creó el Rare Disease Fund (RDF) el cual es un modelo de financiamiento basado en donaciones públicas y privadas, que son igualadas con recursos gubernamentales. Los recursos se destinan a cubrir el costo parcial o total de los tratamientos de EHR específicas (85). Este es una experiencia exitosa de la conformación de un fondo con recursos tanto públicos como privados, como el propuesto para Colombia. Finalmente, en Rumania, existe un fondo protegido para EHR con destinación del presupuesto del Gobierno federal para la atención de 27 enfermedades raras (108). Si bien, este fondo solo tiene cobertura para un grupo específico de EHR, para Colombia, la cobertura sería general dada la normatividad y modelo de salud garantista.

Una de las principales ventajas de esta propuesta es la mejora en la eficiencia de la asignación y uso de los recursos destinados a la atención de EHR. Este fondo facilitaría el monitoreo del gasto en salud, reduciendo el riesgo de corrupción o uso indebido de los recursos. Además, permitiría proyectar con mayor precisión las necesidades futuras y garantizar la sostenibilidad financiera para atender esta población, ya que permitiría financiarse no solo con recursos públicos sino con otras fuentes adicionales. También, al operar bajo un modelo de encargo fiduciario, permitiría que los fondos generen rendimientos financieros que contribuirían a su sostenibilidad. Teniendo en cuenta lo

anterior, se espera con la implementación de esta recomendación tener resultados económicos tanto en el corto como en el largo plazo. En el corto plazo, permitirá proyectar y controlar el gasto en salud en EHR y a largo plazo con la capitalización de rendimientos financieros apoyaría su sostenibilidad.

En un análisis integral de la implementabilidad del Fondo, se identificó que, dentro de las desventajas, se destaca la posible inestabilidad de las fuentes de financiamiento, ya que el fondo podría depender de las restricciones presupuestarias del gobierno, en cuanto a los recursos públicos, y de la voluntad de los donantes, en el caso de los recursos privados. Asimismo, la creación del fondo al inicio implicaría procesos burocráticos para definir su modelo de gobernanza y establecer mecanismos de supervisión y control del uso de los recursos. También, podría generarse resistencia de diferentes actores sociales sobre el aumento en las tasas impositivas y/o creación de nuevos impuestos con destinación específica para EHR.

A continuación, se presentan los detalles cada una de las estrategias con las cuales contaría el Fondo.

6.2. Fuentes y forma de recolección de los recursos

En este componente, se busca explorar nuevas fuentes de financiamiento adicionales a la actuales y que pudieran ser con destinación específica para EHR. Así mismo, explora la forma en la que se podría recolectar, de acuerdo con nuestro contexto normativo.

1. Impuestos con destinación específica para la atención de pacientes con EHR

Aumentar el impuesto y usar un porcentaje de estas rentas cedidas con destinación específica a salud ya existentes para la atención de las EHR, la cuales fueron análisis en términos de su viabilidad normativa:

1. Un porcentaje del impuesto para las bebidas alcohólicas de la siguiente manera, teniendo en cuenta por ejemplo la recomendación de política pública del Centro de Estudios en Protección Social y Economía de la Salud (PROESA) de la Universidad Icesi, con apoyo de la Fundación Anáas, en el marco de la iniciativa RESET del Institute for Health Research and Policy de la Universidad de Illinois Chicago, Movendi International, Vital Strategies, World Health Organization (109) que plantea establecer la tasa del impuesto por litro o proporcional, para cerveza en $1.100 + $ 500 por grado de alcohol y para otras Bebidas Alcohólicas en $ 1.100 + $850 por grado de alcohol, actualizando anualmente la tarifa con el IPC más 4 puntos porcentuales.

   La anterior propuesta espera la reducción del consumo agregado en 11% y el aumento de los recaudos en un 153%. Siendo lo anterior así se propone que del recaudo total de estos impuestos se destine un 10% a un FUEHR, para lo cual se necesitaría realizar por vía legislativa una modificación al artículo 20 de la Ley 1816 de 2016, en donde deberá fijarse dicha destinación específica.

2. Asumiendo la recomendación de la OECD propuesta en el estudio “Tributación del tabaco en América Latina y el Caribe” (110), que pone de presente a la necesidad de reformar la política de impuestos al tabaco, con el fin de reducir su consumo y los costos asociados, la sugerencia de un impuesto del 75% del precio final de la cajetilla. Para ello, se propone llegar de manera paulatina a este porcentaje que se encuentra actualmente en el 55%, aumentado anualmente en un 5% la tasa hasta llegar al 75%, esto por cuanto se “reconoce que aumentar el precio del tabaco mediante la aplicación de unos impuestos elevados es una de las herramientas más eficaces para reducir el consumo de tabaco”.

   Se sugiere, además, incluir todos los derivados del tabaco, y soluciones líquidas de sucedáneos o imitadores, incluyendo todo producto de tabaco, tales como los Productos de Tabaco Calentado (PTC); Productos de Nicotina Oral (PNO) derivados o no de la hoja de tabaco; así como las soluciones líquidas de otros productos sucedáneos o imitadores, entre los que se encuentran los Sistemas Electrónicos de Administración de Nicotina (SEAN) y Sistemas Similares Sin Nicotina (SSSN).

   Así las cosas, la propuesta de aumentar la tarifa tiene el propósito de aumentar los ingresos destinados a salud para con ello lograr que se destine del recaudo total de estos impuestos un 10% al FUEHR, para lo cual se necesitaría realizar por vía legislativa una modificación al artículo 347 de la Ley 1819 de 2016, en donde deberá fijarse dicha destinación específica.

3. Se sugiere destinar un porcentaje del 5% de lo recaudado por el cobro de premios y destinación de premios no reclamados en juegos de suerte y azar, específicamente al FUEHR, realizando una modificación al artículo 12 Ley 1393 de 2010.

4. Se propone direccionar el 2% de los derechos de explotación de lotería instantánea y lotto preingreso al FUEHR, modificando el artículo 17 de la Ley 1393 de 2010.

Es de señalar que todos los impuestos anteriormente señalados pertenecen a rentas de destinación específica para la salud, según lo establecido en la Ley 1393 de 2010, por lo que podrá destinarse porcentajes al FUEHR sin alterar el presupuesto de salud, aún más cuando la propuesta está encaminada a aumentar la tasa y el recaudo.

5. Modificar el impuesto de bebidas azucaradas y alimentos ultra procesados para que se convierta en un impuesto con destinación específica a salud, específicamente al tratamiento de EHR, con base en la excepción del numeral 2 del artículo 359 de la Constitución Política y los incisos primero y segundo del artículo 356; adicionalmente subir la tarifa del impuesto de bebidas azucaradas, en tanto la actual no es lo suficientemente considerable para modificar el comportamiento de los consumidores, tarifa que quedaría de la siguiente manera:

Contenido en 100 ml	Porcentaje del Impuesto sobre valor del bien (por cada 100 ml)
Menor a cinco gramos (5 gr) de azúcares añadidos	$ 0
Mayor o igual a seis gramos (6 gr) y menor a diez gramos (10 gr) de azúcares añadidos	15%
Mayor o igual a diez gramos (10 gr) de azúcares añadidos	20%

La anterior propuesta se hace teniendo en cuenta que el impuesto mencionado es un impuesto saludable que, al ser herramienta de prevención de enfermedades, y que los productos comestibles ultra procesados industrialmente y/o con alto contenido de azúcares añadidos, sodio o grasas saturadas, al año 2025 serán gravados con una tarifa del 20%, por lo cual se considera razonable llegar a una tarifa máxima del 20%, en tanto los efectos nocivos tanto de las bebidas azucaradas como de los alimentos ultra procesados son similares.

Deberá entonces realizarse una modificación a la Ley 1393 de 2010 en donde se incluirá como renta de destinación específica para la salud, y se destinará el 10% de los recursos recaudados al FUEHR.

2. Recursos a partir de excedentes de saneamiento de aportes a salud

Una vez realizado el saneamiento de los aportes a salud de los años 2023 a la actualidad, se propone que se destinen dichos excedentes a financiar EHR, teniendo en cuenta que hubo saneamiento de deuda acumulada a 2022 y que dichos dineros se destinaron para el pago de servicios y tecnologías no cubiertos en vía unidad de pago por capitación (UPC) de los afiliados al Régimen Subsidiado como lo estableció la Resolución 2169 de 2023. Es de considerarse que esta propuesta puede ser desarrollada por vía de una Resolución similar a la 2630 de 2016, la cual definió como suma no saneada perteneciente al componente de salud el valor de $95.076.581.708.

3. Mancomunación de recursos para destinación específica

Con esta recomendación, se busca brindar una alternativa para la recolección de recursos específicos para la atención EHR. Así mismo, un mecanismo para identificar su destinación más apropiada y distribuirlos entre los pacientes. Actualmente, se centraliza la fuente de los recursos y se distribuyen mediante la UPC y los presupuestos máximos y/o recobros.

El artículo 182 de la Ley 100 de 1993 señala que la UPC, “se establecerá en función del perfil epidemiológico de la población relevante, de los riegos cubiertos y de los costos de prestación del servicio en condiciones medias de calidad, tecnología y hotelería y será definida por el Consejo Nacional de Seguridad Social en Salud, de acuerdo con los estudios técnicos del Ministerio de Salud”. Así mismo, las distintas Resoluciones que ha venido expidiendo el Ministerio de Salud y los Acuerdos de la extinta Comisión de regulación en Salud, se ha reconocido una prima adicional para i) zona especial por dispersión geográfica, ii) zona alejada del continente y iii) por ponderador de concentración de riesgo, las cuales resaltan las consideraciones o ajustadores adicionales para el cálculo de la UPC.

Para refinar el pronóstico del gasto en salud, la forma de cálculo actual de la UPC debe involucrar variables adicionales a los componentes de edad, sexo y zona geográfica (111). Por ello, se han recomendado y realizado estimaciones usando otros ajustadores como grupos relacionados de diagnóstico (112), variables de estado de salud (113), condiciones de salud (CIE-10) (114) y condiciones crónicas no trasmisibles (hipertensión arterial, diabetes mellitus tipo II y enfermedad renal crónica) (114). Adicionalmente, se ha recomendado incluir los resultados (115) o indicadores (114) en salud como parte de las estimaciones.

Específicamente, para que las condiciones de salud sean consideras en el cálculo del UPC y sea estén alineadas con la mancomunación del riesgo y el cálculo actuarial, estas deben de cumplir criterios como: enfermedad crónica no transmisible, enfermedad que por sí misma es una causa prevenible de muerte, tiene identificado factores de riesgos modificables, puede controlarse, existe estandarización del tratamiento, las patologías contribuyen a la predicción del gasto y existe información confiable, tanto de los pacientes como de las tecnologías indicadas (114). Para el caso de las EHR, algunas condiciones de salud de este grupo podrían cumplir con los criterios para hacer parte de los ajustadores de la UPC, sin embargo, esto podría resultar desigual para los pacientes cuyo grupo de EHR no cumplen con estos criterios.

Actualmente, el sistema de salud financia las tecnologías en salud para la atención de las EHR por medio de la UPC, presupuestos máximos y recobro a la ADRES. Con el FUEHR, se propone permitir la mancomunación de los recursos que se pudieran obtener de fuentes adicionales a las anteriormente mencionadas para la atención de EHR mediante la expedición de un Decreto. En el caso de que se apruebe el proyecto ley de la reforma al sistema de salud y se implemente el Fondo Único Público de Salud, se recomienda que los recursos dirigidos al financiamiento de los servicios de salud para EHR y su prevención, diagnóstico y manejo, sean dirigidos por el FUEHR. La asignación de dichos recursos se debe condicionar a los resultados en salud para garantizar la mejora en el estado de salud de los pacientes. El reconocimiento para condiciones costosas como las EHR permitiría generar los incentivos económicos de forma direccionada, mejorando la selección de riesgos. Por el contrario, el método de asignación actual, debido a la falta de mecanismos adecuados para reconocimiento de estas condiciones, puede generar incentivos para que las aseguradoras se orienten hacía grupos de riesgos específicos, con menos riesgo y, por tanto, menos costosos (114).

6.3. Modalidad de pago

En este componente, se agrupan las diferentes formas de pago a los proveedores por las tecnologías en salud, tanto para el caso de los medicamentos como el de los procedimientos u otros.

Es de mencionar que la Ley 1392 de 2010 en su artículo 8° señaló que “con el fin de mejorar el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos y una mejor administración de

los recursos financieros, se faculta al Gobierno Nacional para que en un plazo de un año adopte un sistema de negociación y compra, que podrá ser centralizado, con las farmacéuticas y laboratorios productores e importadores de medicamentos y tecnologías diagnósticas, para la atención de este tipo de patologías, que permita el acceso equitativo para todos los pacientes". Sin embargo, el término del año ya ha fenecido, por lo que se sugiere a mediano plazo tramitarse una modificación a este artículo de la Ley 1392 de 2010 para conferirle nuevamente un término máximo de un año al Gobierno Nacional para que adopte dicho sistema de negociación y compra, en el cual se propone se incluya una regulación para realizar compra centralizada, compra conjunta, Acuerdos de Acceso Administrado, un mecanismo de riesgo compartido y un esquema de pago por resultados.

Adicionalmente es de señalar que algunos de los componentes mencionados anteriormente que harían parte de dicho sistema de negociación y compra especial para EHR podrán ponerse en funcionamiento a corto plazo, mientras se regulan de manera específica en función de las EHR como parte del sistema de negociación y compra de medicamentos y tecnologías para EHR, como se mencionará a continuación.

4. Compra centralizada

Se propone una compra centralizada, como resultado de las negociaciones entre el estado y los privados que ostentan el registro sanitario, con la finalidad negociar precios más favorables para medicamentos especializados, que usualmente tienen un alto impacto financiero en las instituciones de salud. Con ello, se busca mejorar la provisión y disponibilidad de las tecnologías para la atención de EHR.

Por medio de la Ley 1753 de 2015 se faculta la compra centralizada de medicamentos para ciertas condiciones en salud (116). Con esto, se ha llevado a cabo la compra centralizada de medicamentos para Hepatitis C, VIH y aquellos que están en desabastecimiento, que son indispensables para el sistema de salud.

Adicionalmente, en el Plan Nacional de Desarrollo se establecen lineamientos para mejorar la eficiencia y sostenibilidad del sistema de salud, priorizando el acceso equitativo y la calidad en la atención (117). La compra centralizada de medicamentos se promueve para optimizar recursos, garantizar precios más bajos y asegurar un abastecimiento adecuado de medicamentos esenciales en todo el país.

Entendiendo que el artículo 88 de la Ley 1438 de 2011, estableció que el MSPS establecerá los mecanismos para adelantar negociaciones centralizadas de precios de medicamentos, insumos y dispositivos, esta entidad podrá expedir una Resolución para poner en funcionamiento a corto plazo este modelo de compra, mediante la cual se establezcan los criterios para la compra centralizada, distribución y suministro de medicamentos y tecnologías para EHR, mediante el Fondo Rotatorio Regional para la Adquisición de Productos Estratégicos de Salud Pública de la OPS/OMS o bien sea de manera directa a la industria farmacéutica, previo de la definición de los criterios y principios básicos de dicha compra.

5. Compra conjunta

La implementación de un modelo de compra conjunta para el abastecimiento de medicamentos dirigidos a EHR, como el Factor VIII para Hemofilia A Severa, constituyó una estrategia efectiva y sostenible para garantizar el acceso equitativo a tratamientos esenciales. Un ejemplo destacado de este modelo es el caso de Argentina, donde el Ministerio de Salud lideró un proceso exitoso de compra conjunta para medicamentos[6]. Este proceso consolidó las necesidades de todos los actores del sistema de salud para adquirir los ocho factores necesarios para el tratamiento de la hemofilia, asegurando la cobertura de todos los pacientes en el país. A través de la Resolución 263/2019, se amplió el acceso al Factor VIII plasmático y recombinante, beneficiando a pacientes de hasta 21 años bajo tratamiento profiláctico. Esta estrategia permitió unificar la demanda, negociar mejores precios y estandarizar el suministro a nivel nacional, asegurando acceso igualitario y sostenible.

Este mecanismo, desarrollado y liderado por el Ministerio de Salud de Argentina, ha permitido la centralización de la adquisición de medicamentos de alto costo, posicionando al país como pionero en la implementación de soluciones innovadoras en el sector salud. Esta iniciativa no solo promueve una mayor eficiencia en el gasto público, sino que también optimiza las condiciones de compra, asegurando un acceso más equitativo y sostenible a tratamientos esenciales para la población (118).

Por su parte, según el Ministerio de Salud de Chile, la compra conjunta se define como la adquisición unificada realizada por un grupo de compradores concertados, maximizando el poder de compra y reduciendo costos mediante economías de escala (119). Este proceso se estructura en varias fases clave. Primero, se realiza una investigación de mercado para identificar necesidades comunes y analizar el volumen de demanda. Posteriormente, se formalizan acuerdos mediante convenios interinstitucionales entre las entidades participantes. A continuación, se elaboran fichas técnicas que especifican los requerimientos de los productos, y se diseñan las bases de licitación, definiendo los procedimientos de contratación. Finalmente, se ejecuta la licitación, que incluye la invitación a oferentes, la recepción y evaluación de propuestas, y la adjudicación de contratos.

El modelo de compra conjunta presenta una serie de ventajas significativas[7]. Entre ellas se incluyen la optimización de los recursos públicos, lo que permite adquirir una mayor cantidad de bienes al mismo costo; la estandarización en la calidad de productos y servicios, que asegura uniformidad en la oferta; y una mayor eficiencia en la supervisión, al simplificar los procesos de control[8]. Este enfoque también acelera los tiempos de licitación y amplía el alcance de los programas, integrando a más pacientes en iniciativas de salud esenciales (118).

En el caso de EHR, este mecanismo se presenta como una herramienta clave para mitigar la alta carga financiera que representan los medicamentos necesarios para su tratamiento.

[6] Este caso fue presentado por una de las expertas consultadas (ver Sección 5.3).
[7] Este caso fue presentado por una de las expertas consultadas (ver Sección 5.3)
[8] Este caso fue presentado por una de las expertas consultadas (ver Sección 5.3)

Consolidar las necesidades regionales y centralizar el proceso bajo la dirección del Ministerio de Salud permite racionalizar el presupuesto público, garantizando el acceso equitativo a estos medicamentos. Asimismo, fortalece las capacidades del sistema de salud, impulsando la sostenibilidad financiera, y fomenta alianzas interinstitucionales para maximizar el impacto de las intervenciones.

El éxito de este modelo en países como Argentina evidencia su potencial para responder eficazmente a la creciente demanda de medicamentos costosos y críticos, beneficiando particularmente a las poblaciones más vulnerables.
La implementación de un modelo de compra conjunta en Colombia podría ser una estrategia efectiva para garantizar la equidad en el acceso a tratamientos esenciales, optimizando los recursos del sistema de salud y promoviendo una mayor sostenibilidad financiera. Para ello, se podría considerar la unión de diversas EPS (Entidades Promotoras de Salud) y actores privados, como cooperativas territoriales de compra de medicamentos. Una alianza entre estas cooperativas permitiría consolidar las necesidades y maximizar el poder de compra, logrando mejores precios mediante economías de escala. La colaboración interinstitucional entre el Ministerio de Salud, las EPS y las cooperativas sería clave para coordinar la adquisición y distribución eficiente de medicamentos, como el Factor VIII para hemofilia, asegurando un acceso equitativo y sostenible a los tratamientos esenciales en todo el territorio colombiano.

Teniendo en cuenta que en Colombia el artículo 76 de la Ley 1438 de 2011, determina que, a fin de lograr la eficiencia y transparencia en la contratación, las Empresas Sociales del Estado podrán asociarse entre sí, constituir cooperativas o utilizar sistemas de compras electrónicas o cualquier otro mecanismo que beneficie a las entidades con economías de escala, calidad, oportunidad y eficiencia, respetando los principios de la actuación administrativa y la contratación pública, se puede modificar este artículo con el fin de incluir a las EPS e incluir un parágrafo a este artículo que brinda la posibilidad a las Empresas Sociales del Estado a realizar compras conjuntas para el caso de medicamentos de EHR. Por otro lado, de manera más completa, se puede establecer en el sistema de negociación y compra la obligatoriedad no solo de las ESE, sino también de las EPS a realizar compras conjuntas de medicamentos para EHR, por medio modificación del artículo 8° de la Ley 1392 de 2010.

6. Acuerdos de acceso administrado

Los acuerdos de acceso administrado (AAA) son aquellos que imponen condiciones a la cobertura de una nueva tecnología sanitaria y que se negocian entre la empresa que vende la tecnología y el pagador o la autoridad responsable de la regulación de los precios o de las decisiones de cobertura relacionadas con ella (120). Estos acuerdos se usan como herramientas que permiten reducir la incertidumbre y el impacto presupuestario de los medicamentos de alto precio (121). Estos acuerdos constan de dos elementos principales para el desarrollo del proceso, los cuales son (1):

- Acuerdo de recopilación de datos: este acuerdo, desarrollado con las partes interesadas, tiene una duración limitada (acordada por los actores) y establece los

roles, responsabilidades, población de pacientes elegible, evaluaciones clínicas necesarias y los datos que deben recopilarse y analizarse.

- Acuerdo de acceso comercial: entre la autoridad responsable y la empresa, se define los términos comerciales para financiar el tratamiento y aborda las incertidumbres identificadas durante el acceso gestionado.

Cuando se tienen establecidos los parámetros, se debe elegir el tipo de acuerdos de acceso administrado que se llevará a cabo de acuerdo con las características de este, puede estar entre las siguientes opciones (122):

- Financiero: estos incluyen descuentos en el precio de lista, límites de tratamiento o gasto por paciente donde se ofrecen productos adicionales sin costo si se supera el límite pactado, y tratamientos iniciales gratuitos con precios acordados para unidades adicionales. También contempla límites de gasto a nivel poblacional, y acuerdos de precio-volumen, que reducen los precios conforme aumenta el volumen total comprado. Estos acuerdos buscan alinear los pagos con el desempeño del tratamiento para mejorar la efectividad y optimizar los recursos.
- Basado en el rendimiento: la cobertura o el pago están vinculados a los resultados obtenidos. Incluye la cobertura temporal con desarrollo de evidencia, aplicada a nivel de paciente o población, donde el tratamiento se financia mientras se evalúa su desempeño, permitiendo ajustar, retirar o extender la cobertura según los resultados que se vayan obteniendo. También abarca acuerdos de pago por resultados, donde los pagos dependen del cumplimiento de objetivos predefinidos, con opciones como reembolsos, retención de pagos o productos adicionales si no se alcanzan las metas esperadas. Además, contempla la continuación condicionada del tratamiento, que se mantiene solo para pacientes que responden al tratamiento, mientras que quienes no lo logran pueden recibir descuentos o productos gratuitos. Estos acuerdos buscan maximizar la efectividad y eficiencia en el uso de los recursos.

En el desarrollo del proceso, grupos de supervisión revisan periódicamente la calidad y cantidad de datos recopilados, discuten el progreso, los planes de análisis, problemas de acceso o seguridad, y otros aspectos relevantes. Estos grupos incluyen empleados de la autoridad responsable, expertos clínicos, organizaciones de pacientes, la empresa fabricante y custodios de datos (122). De acuerdo con algunos tipos de negociaciones, están pueden ser privadas entre las partes, sin embargo, para garantizar la transparencia de la negociación y del uso de los recursos públicos, los resultados de las negociaciones deben ser públicos una vez se cierre el proceso. Al final del acceso gestionado, se actualiza la guía y se decide si el tratamiento se recomienda para uso rutinario del tratamiento de la condición en salud, dependiendo de si se demuestra resultados; si no lo es, no se recomendará (120,122).

Estos acuerdos también deben incluir cláusulas de terminación como modificaciones en las políticas de salud, incumplimiento del objetivo del acuerdo, insostenibilidad para el sistema, actualización en las regulaciones o el retiro voluntario del medicamento por el fabricante. Igualmente, en algunos casos, una alta carga operativa o costos administrativos imprevistos pueden llevar a su revisión o cierre. En cualquier escenario, la terminación de un AAA debe ser un proceso fundamentado en evidencia, garantizando que el acceso a tratamientos siga criterios de equidad, sostenibilidad y beneficio clínico para el paciente (123).

Es importante resaltar que este mecanismo tiene algunos retos que pueden resultar limitantes en su implementación, como los son: tener disponibilidad de recursos para el pago de las tecnologías por parte del agente financiador, contar con una organización con robustez técnica que avale la viabilidad, el tipo de modelo, desenlaces, monitoreo y los actores, así como sistemas de información principales o alternos que permitan la captura y gestión de información necesaria para monitorear el acuerdo. Todo esto alineado con la existencia de un canal directo y transparente de comunicación entre los actores (123).

En concordancia con los elementos fijados en el Decreto 441 de 2022 para la negociación de voluntades para la prestación de servicios y tecnologías en salud, el contenido mínimo de los acuerdos, las modalidades de pago, los incentivos, el seguimiento a la ejecución de los acuerdos, la regulación del pago y la liquidación de los acuerdos, el MSPS expidió en el borrador titulado “Modelo Operativo de Implementación de los Acuerdos de Acceso Administrado” en mayo de 2022 por el Ministerio de Salud, el cual fijó los parámetros principales para implementar el AAA.

En este modelo, las tecnologías de salud que se consideran candidatas para un AAA deberán cumplir con los siguientes cinco criterios (124):

1. Medicamentos nuevos de un comprobado buen desempeño terapéutico (cura, remisión de la enfermedad o prevención) o con alternativas terapéuticas limitadas, atendiendo siempre a las definiciones y clasificaciones realizadas por el IETS.
2. Que atiendan enfermedades de baja prevalencia y de alto costo o necesidades terapéuticas insatisfechas.
3. Que presenten o puedan presentar un impacto financiero sobre el SGSSS.
4. Incorporadas en acuerdos de acceso administrado a nivel global.
5. Incluidos por el IETS en la categoría 6 de valor terapéutico “no clasificable”.

Así mismo, establece que el MSPS con apoyo del IETS deberá adelantar la elaboración de una serie de insumos técnicos para la toma de decisiones en la negociación. En particular, como mínimo los siguientes (124):

- Estimación de la demanda.
- Precio de referencia por comparación internacional.
- Información del valor terapéutico.
- Análisis de costo-efectividad.
- Análisis de impacto presupuestal
- Definición de los desenlaces a mediar para el pago.

En razón a que el Modelo Operativo de Implementación de los AAA no fue expedido formalmente, se sugiere su revisión y posterior aprobación mientras se logra una reglamentación específica por parte del Gobierno Nacional, una vez se le faculte para que en un plazo de un año adopte el sistema de negociación y compra de medicamentos y tecnologías para EHR en el que incluya este mecanismo como parte del mismo, desarrollando de manera específica un Modelo Operativo de Acuerdos de Acceso Administrado para EHR, que tenga en cuenta la necesidad de capacitar el personal necesario para la negociación de estos acuerdos, pues requieren de grandes capacidades

técnicas, conocimientos jurídicos y experiencia, la implementación de mecanismos de seguimiento y evaluación a corto, mediano y largo plazo para medir su efectividad e incluya mecanismos para que se garantice la transparencia de las negociaciones.

Finalmente, al interior de esta estrategia se encuentran dos categorías particulares para su futura implementación:

A. Mecanismo de riesgo compartido

Los mecanismos de riesgo compartido vinculan los pagos al desempeño clínico y la efectividad de las tecnologías médicas. Estos acuerdos permiten garantizar el acceso a tratamientos de alta calidad, optimizando los recursos y compartiendo los riesgos financieros entre el gobierno y los proveedores.

En cuanto a su estructura, este mecanismo se basa en recursos provenientes tanto del sector público como del privado. Los recursos públicos serían aportados por el presupuesto nacional de salud, mientras que los privados provendrían de los proveedores de tecnologías médicas, bajo términos negociados con el gobierno central o las aseguradoras. Dichos aportes privados estarían directamente vinculados a resultados específicos, como la efectividad y seguridad clínica comparada. La modalidad de pago sería por resultados, lo que implica que los financiadores, ya sea el gobierno o las EPS, solo realizarían pagos si se alcanzan indicadores previamente establecidos. En caso de no cumplirse estos objetivos, el proveedor tendría la obligación de compensar al financiador conforme a lo pactado. Este enfoque busca incrementar la disponibilidad de tecnologías innovadoras y tratamientos de alto costo para EHR, asegurando que los recursos se utilicen de manera eficiente (125).

Estos acuerdos permiten no solo una racionalización del gasto en salud al vincular los pagos a resultados tangibles, sino también el acceso equitativo a tecnologías médicas avanzadas. Adicionalmente, impulsan la generación de evidencia científica sólida sobre la eficacia y seguridad de los tratamientos, favoreciendo la sostenibilidad financiera al reducir la incertidumbre y los riesgos económicos asociados a las terapias de alto costo (126).

Existen múltiples ejemplos internacionales que demuestran la viabilidad de estos acuerdos. En Argentina, por ejemplo, se negoció un esquema de pago para una terapia génica que redujo su costo de 2,1 millones a 1,3 millones de dólares (127). El pago se realizó en cuotas durante cinco años y fue condicionado al cumplimiento de hitos clínicos específicos, como mejoras motoras y ventilatorias, supervisadas por un registro nacional (128). En el Reino Unido, el NHS ha implementado acuerdos similares para terapias costosas en EHR, como el caso de Valcade para mieloma múltiple, donde se establece el reembolso total si el tratamiento no muestra resultados positivos tras varios ciclos. En Estados Unidos, el medicamento Junuvia para diabetes tipo 2 es otro ejemplo exitoso, ya que los pagos están condicionados a la reducción efectiva de glucosa en los pacientes (127). De manera similar, en Australia, la farmacéutica Actelion firmó un acuerdo de riesgo compartido para el tratamiento de hipertensión arterial pulmonar, en el cual el pago dependía de la demostración de una reducción en la mortalidad (128).

Estos ejemplos internacionales destacan cómo los esquemas de riesgo compartido permiten a los sistemas de salud acceder a tecnologías innovadoras sin comprometer su sostenibilidad. Además, promueven un uso racional de los recursos, incentivando a la industria a generar evidencia robusta y mejorar la efectividad de sus productos (71).

La implementación de un mecanismo de riesgo compartido en salud para Colombia es un proceso complejo que requiere coordinación entre múltiples actores, así como una definición clara de procesos, responsabilidades y financiamiento. Este mecanismo permite vincular los pagos al desempeño clínico y la efectividad de las tecnologías médicas, garantizando acceso a tratamientos innovadores mientras se optimizan los recursos y se comparten los riesgos financieros entre el sector público y privado.

Para ponerlo en marcha, es necesario identificar tecnologías o tratamientos elegibles que respondan a necesidades insatisfechas y representen una alta innovación y costo. Posteriormente, se deben realizar análisis de la efectividad clínica, los costos y su impacto presupuestal para respaldar las decisiones. Con esta información, se procede a negociar acuerdos entre el gobierno, las aseguradoras y los proveedores, definiendo objetivos medibles, términos financieros y sanciones en caso de incumplimiento. La implementación requiere sistemas robustos de monitoreo y auditorías independientes que permitan evaluar los resultados en tiempo real.

En cuanto al monitoreo, su responsabilidad recae principalmente en instituciones públicas, como el Ministerio de Salud o las entidades reguladoras, apoyadas por las EPS, que recopilarán datos específicos sobre los pacientes tratados. Los proveedores de tecnologías médicas deben colaborar aportando evidencia continua sobre la eficacia de los tratamientos, mientras que auditorías independientes y universidades pueden garantizar la imparcialidad. Este proceso debe apoyarse en sistemas de información en salud, como registros nacionales, para centralizar datos y realizar análisis confiables.

La definición de los indicadores de los resultados en salud son clave para el éxito del mecanismo. Estos deben ser establecidos en conjunto por el gobierno, los proveedores, expertos independientes y las aseguradoras. Los indicadores deben alinearse con las prioridades de salud pública, ser viables técnicamente y garantizar que sean prácticos y medibles. Ejemplos de indicadores incluyen mejoras en biomarcadores, reducción de hospitalizaciones o complicaciones, y cumplimiento de estándares internacionales.

En cuanto al financiamiento, el sector público, a través del gobierno o los sistemas de aseguramiento, como las EPS en Colombia, aporta los recursos iniciales. Por su parte, los proveedores asumen parte del costo y se comprometen a reembolsar o cubrir pérdidas si los resultados no cumplen con los objetivos pactados. También pueden establecerse modelos mixtos en los que los costos se dividan en cuotas a largo plazo, condicionadas al cumplimiento de los resultados acordados.

Adicionalmente es importante diferenciar los conceptos de pago por resultados y mecanismo de riesgo compartido, ya que el primero es un subconjunto del segundo. Mientras que el pago por resultados se enfoca exclusivamente en vincular los pagos a

indicadores de desempeño clínico, el mecanismo de riesgo compartido tiene un alcance más amplio, que incluye el manejo de incertidumbre tecnológica y el compartir riesgos financieros, como el reembolso en caso de falla terapéutica.

B. Pago por resultados

Se recomienda incluir en el conjunto de modalidades de pago, el esquema de pago por resultados. Convencionalmente, este mecanismo se da por medio de la negociación entre el proveedor de la tecnología (por ejemplo, el laboratorio farmacéutico) y el pagador la provisión de esta (por ejemplo, una EPS), la cual busca reducir el riesgo financiero y la incertidumbre entre las partes, brindando seguridad de la obtención de resultados (por ejemplo, beneficios en salud para el paciente) ante la inversión que realiza (por ejemplo, compra de medicamentos). Por otro lado, también se podría dar el caso en que la autoridad sanitaria o el tomador de decisiones puede definir las reglas del pago por resultados y su asignación por recursos públicos, sin que intermedie un proceso de negociación o acuerdo de riesgos.

Siguiendo esta segunda opción de definir el pago por resultados, a corto plazo, mientras se incluye en el sistema de negociación y compra de medicamentos y tecnologías para EHR, se sugiere implementar el artículo 72 de la Ley 1753 de 2015 y los Decretos reglamentarios 433 y 710 de 2018, artículo que refiere a la definición de valor terapéutico de las nuevas tecnologías que sean obtener el registro sanitario para su comercialización y ser incluidas en la financiación pública, esto mediante criterios de efectividad y seguridad, según los lineamientos del “Manual metodológico para la definición de la categoría de valor terapéutico en el marco del artículo 72 de la Ley 1753/2015” del IETS. Así mismo, de manera complementaria, refiere la necesidad de realizar estudios económicos de costo-efectividad y análisis de impacto presupuestal por parte del IETS. Adicionalmente, se sugiere implementar la Circular 016 de 2024, la cual fija los lineamientos para la regulación de los precios de los medicamentos nuevos, según la categoría de valor obtenida y los costos derivados del análisis de impacto presupuestal. Para el caso de EHR, se recomienda incluir criterios específicos de categorización valor terapéutico y considerar la salvedad que para algunas tecnologías en salud no es posible definir valor de acuerdo con el avance de la evidencia o porque carecen de tecnologías de comparación, por tanto, se sugiere revisar otras modalidades de pago en el marco de los AAA, particularmente de tipo financiero.

A nivel internacional, España define el financiamiento de tecnologías huérfanas a partir del posicionamiento de terapéutico. En Grecia, los reembolsos para medicamentos se establecen a partir de una la lista nacional de reembolso (66). Y en Australia, los reembolsos se dan en el marco del programa de medicamentos que salvan vidas *(Life Saving Drugs Program*) (66).

6.4. Generación de capacidades

Este grupo de recomendaciones, son enfocadas a generar capacidades para la atención de las EHR. Con esto se busca una asignación óptima de los recursos, mediante un mayor uso en los servicios de atención de primer nivel y generación de nuevas opciones

terapéuticas y priorizar la atención especializada o de mayor costo a los pacientes más apremiantes.

7. Financiamiento para la investigación y redes colaborativas para la atención de EHR

Esta estrategia se enfoca en incentivar la investigación básica y aplicada para la prevención, detección precoz, manejo y tratamiento integral de las EHR en Colombia. Lo anterior se ejecutará bajo el lineamiento del Ministerio de Ciencias para la solución al reto país de "Garantizar la seguridad sanitaria, la salud y el bienestar de la población en el territorio nacional" y en el marco del fortalecimiento de la política de Ciencia, Tecnología e Innovación en Salud, así como de la formulación de una nueva política farmacéutica contempladas en el Plan Nacional de Desarrollo 2022-2026 (129). Cabe anotar que, esta estrategia está alineada con la Línea 4 "Desarrollo del conocimiento y la información para la toma de decisiones" del Plan Nacional de Gestión de EHR.

En este sentido, se sugiere focalizar recursos para la financiación de investigaciones sobre EHR, utilizando fondos administrados por el Ministerio de Ciencias y el Ministerio de Salud y otras fuentes de recursos relevantes. Con ello, se busca generar conocimientos científicos y capacidades territoriales en Ciencia, Tecnología e Innovación que permitan mejorar la focalización de los recursos y la atención integral para las EHR.

La ejecución de dichas investigaciones se realizará por medio de las convocatorias de salud del Ministerio de Ciencias financiadas por el Fondo de Investigación en Salud, y estarán orientados a:

- Desarrollar instrumentos de estandarización y mejora de la atención en salud de las EHR.
- Diseñar rutas de atención y modelos de atención con un enfoque preventivo, predictivo y resolutivo en salud.
- Apoyar el desarrollo de innovaciones en tecnologías sanitarias en salud a nivel local para la prevención, diagnóstico precoz y manejo de las EHR.
- Fomentar la habilitación y fortalecimiento de centros de referencia de EHR.

Se propone incluir las EHR de forma explícita dentro de las áreas de interés del Fondo de Investigación en Salud con la participación de los actores del Sistema Nacional de Ciencia, Tecnología e Innovación (SNCTI) en la generación y ejecución de proyectos y programas de investigación con foco en EHR. Además, se recomienda fortalecer las redes de investigación colaborativa, integrando a pacientes, cuidadores, sector privado, sociedad civil y centros de investigación para generar evidencia científica que mejore el bienestar de los pacientes con EHR en Colombia.

Como solución a corto plazo, se debe tener en cuenta que el SNCTI, regulado por la Ley 1286 de 2009, proporcionará una base sólida para articular las políticas y estrategias de investigación en salud. Dentro de este marco, el Ministerio de Ciencias tiene la capacidad jurídica y financiera para incluir las EHR como una prioridad explícita en sus convocatorias de financiación a través del Fondo de Ciencia, Tecnología e Innovación (FCTeI) del Sistema

General de Regalías (SGR). Este enfoque no solo asegura recursos sostenibles, sino que también fomenta la descentralización y el fortalecimiento de capacidades territoriales mediante los Consejos Departamentales de Ciencia, Tecnología e Innovación.

A mediano plazo y con el fin de direccionar recursos específicamente para investigaciones de EHR, el Ministerio de Salud y Protección Social podrá expedir un Decreto que modifique el artículo 2 del Decreto 1437 de 2014, en donde se especifique que el Fondo tendrá una partida presupuestal especial y específica para investigación enfocada en EHR, conformada por los dineros de recaudo de impuestos propuestos en el apartado de financiación del presente documento. A la par se podrá expedir Resolución del Ministerio de Ciencias en el que se establezca como obligación de este, realizar convocatorias específicas sobre EHR.

También, se espera vincular al Ministerio de Tecnologías de la Información y Comunicaciones de Colombia (MinTIC) para la generación de innovaciones en salud que resuelvan retos en salud para la atención integral de los pacientes con EHR fortaleciendo de esta forma el ecosistema de innovación en salud nacional.

La integración de innovación tecnológica, el uso de tecnologías emergentes, como la inteligencia artificial, puede transformar la atención de las EHR. Estas tecnologías permiten diseñar herramientas avanzadas para el diagnóstico precoz, el tamizaje neonatal y la personalización del tratamiento. Sin embargo, su desarrollo debe estar alineado con principios éticos y orientado a reducir desigualdades. La Hoja de Ruta para la Inteligencia Artificial en Colombia destaca la necesidad de anticipar los impactos laborales y fomentar la colaboración entre humanos e IA, aspectos que también son relevantes para la gestión de las EHR (130).

El desarrollo de soluciones tecnológicas para las EHR requiere de incentivos fiscales y financieros que motiven a la industria nacional a invertir en investigación e innovación. Este enfoque no solo dinamiza la economía, sino que también garantiza la producción de tecnologías adaptadas al contexto colombiano. La inclusión de empresas en estas iniciativas puede potenciar la generación de empleo y contribuir al desarrollo de capacidades tecnológicas locales. Se espera generar investigaciones para mejorar el diagnóstico de EHR y promover la fabricación nacional de tecnologías en salud para EHR, lo cual estaría alineado con el Plan Nacional de Desarrollo 2022-2026 en lo concerniente a la formulación de una política pública que permita el fortalecimiento de la investigación, así como la producción local de tecnologías en salud y la comercialización de medicamentos y otras tecnologías de acuerdo con una nueva política farmacéutica nacional que permita garantizar la disponibilidad de tecnologías y servicios innovadores (129).

Promover la investigación en EHR presenta varias ventajas. Entre ellas, destaca el impulso al desarrollo de tratamientos y tecnologías específicas para esta población, fortaleciendo las capacidades locales del SNCTI. Este mecanismo puede implementarse utilizando recursos y capacidades ya existentes bajo la dirección del Ministerio de Ciencias y Ministerio de las TIC, lo cual favorece su aceptabilidad por parte de los diferentes actores y factibilidad de implementación. Sin embargo, esta iniciativa requiere una inversión inicial

pública significativa, lo que podría competir con otros programas prioritarios dentro de la agenda gubernamental. Además, los resultados de estas investigaciones pueden tardar varios años en materializarse, lo que podría generar desinterés político o social a corto plazo. Es decir, la obtención de resultados económicos que impacten el financiamiento de EHR se podrían obtener en el largo plazo.

Entre los ejemplos internacionales de implementación de este tipo de estrategias se encuentra Estados Unidos, donde a través de los Institutos Nacionales de Salud (NIH) y la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) se proporciona financiamiento y apoyo para la investigación en EHR. También, se ha encontrado evidencia de la conformación de redes de investigación con las principales universidades del país (65,85). En el caso de los países de la Unión Europea, hay destinación de recursos públicos para la investigación de EHR, a través del Programa Marco de Investigación e Innovación de la Unión Europea y el E-Rare ERA-NET para programas de investigación sobre EHR, un proyecto transnacional para programas de investigación sobre enfermedades raras financiados por la Unión Europea (85). Por su parte, en Irlanda, se identificó una experiencia exitosa de la creación de una Oficina Nacional para EHR, la cual en cabeza del Ministerio de Salud realiza investigación con organizaciones no gubernamentales para la investigación en EHR (74).

8. Formación en diagnóstico para EHR en niveles primarios de atención

En los niveles primarios de atención, la identificación temprana de las patologías de las EHR es esencial para garantizar un manejo oportuno, evitar complicaciones y reducir los costos asociados a un diagnóstico tardío. Sin embargo, muchos profesionales de la salud carecen de formación específica para reconocer los signos y síntomas iniciales de las EHR, lo que retrasa el acceso a tratamientos adecuados y afecta la calidad de vida de los pacientes. La capacitación en diagnóstico clínico de EHR, específicamente adaptada para profesionales en atención primaria, es fundamental para fortalecer las capacidades del sistema de salud, mejorar los resultados en salud de esta población y promover un uso eficiente de los recursos disponibles.

El objetivo principal de esta propuesta es que el FUEHR financie de manera sostenible la implementación de programas de formación para profesionales de salud en niveles primarios, orientados a mejorar la capacidad de detección y diagnóstico temprano de EHR. Esta propuesta podrá ser adaptada y desarrollada por vía de Resolución que expedirá el Ministerio de Salud.

Para lograrlo, el mecanismo se estructurará a partir de fuentes diversificadas de recursos y un modelo de ejecución enfocado en resultados. Los recursos se obtendrán a través de fondos públicos, con asignaciones específicas del presupuesto nacional de salud dirigidas a enfermedades de alto costo; recursos privados, mediante acuerdos de responsabilidad social empresarial con la industria farmacéutica y tecnológica; y cooperación internacional, a través de donaciones y subvenciones de organismos interesados en promover la formación en EHR[9].

[9] Los relacionados a la recomendación 6.

La modalidad de ejecución incluye una inversión inicial para el desarrollo de contenidos y metodologías formativas específicas para EHR, seguida de la implementación de cursos virtuales y presenciales dirigidos a médicos generales, enfermeros y personal de atención primaria. Asimismo, se prevé la creación de guías de práctica clínica, herramientas digitales y módulos educativos interactivos, complementados con una red de expertos que apoyen el diagnóstico en tiempo real. Para incentivar la participación, el mecanismo contempla ofrecer créditos educativos, certificaciones y puntos en recertificación profesional, financiados con los recursos asignados.
Los indicadores clave de resultados incluirán el número de profesionales capacitados por región, el incremento en la detección temprana de EHR en el nivel primario, la reducción en los tiempos promedio de diagnóstico y la mejora en los indicadores de calidad de vida de pacientes con estas enfermedades. Este enfoque se basa en referencias internacionales como los programas financiados por la Red Española de Enfermedades Raras (FEDER), que incluyen formación para la detección temprana en atención primaria; los programas piloto implementados por el NHS en el Reino Unido para reducir desigualdades en acceso al diagnóstico; y los cursos desarrollados en Argentina en colaboración con universidades, que fortalecen las capacidades en áreas rurales y de difícil acceso.

El impacto esperado incluye el fortalecimiento de las capacidades de los profesionales de salud en atención primaria, la reducción de las desigualdades regionales en el acceso al diagnóstico temprano y la promoción de la sostenibilidad del sistema de salud mediante una gestión más eficiente y equitativa de los recursos. Este enfoque integral busca garantizar el derecho a la salud de los pacientes con EHR, al tiempo que mejora la eficiencia del sistema en la atención de patologías complejas y de alto impacto. Con ello, se evita la reducción de los costos, mediante la prevención de desenlaces graves para el paciente.

9. Instrumentos de estandarización de la práctica de la atención EHR

Se desarrolla con la finalidad de generar estrategias de capacitación y formación a través de cursos especializados para la atención de EHR. Estas estrategias están basadas en la identificación de las necesidades clínicas, económicas y sociales relacionadas con estas condiciones y como generar conocimiento necesario para el tratamiento y manejo de estas (74). La capacitación se enfoca en:

1. Promover programas de formación en investigación clínica básica y aplicada para identificar y desarrollar terapias innovadoras que estudien la historia natural de las EHR.
2. Incentivar el uso y creación de bases de datos y registros disponibles como herramientas para obtener información sobre pacientes con EHR, y así facilitar los diagnósticos tempranos y atención oportuna.
3. Implementar cursos sobre uso adecuado de medicamentos y detección temprana de efectos secundarios que puedan tener los mismos, dirigidos a profesionales de la salud involucrados en la atención específica de EHR.
4. Fomentar la cooperación internacional entre investigadores y profesionales en pro de compartir conocimientos y recursos, y así aprovechar las plataformas de información global ya existentes.

5. Diseñar programas para evaluar la efectividad y el impacto de los tratamientos en la calidad de vida de los pacientes.

Estas iniciativas buscan mejorar la práctica clínica, facilitar la toma de decisiones basadas en evidencia, y garantizar que los profesionales estén preparados para enfrentar los retos de las EHR alineándose con las mejores prácticas internacionales y fomentando la sostenibilidad del sistema de salud. Con ello, se evita la reducción de los costos, mediante el empoderamiento de los profesionales en la atención de EHR en los niveles primarios de atención, permitiendo descongestionar los servicios especializados para los pacientes que requieren mayor prioridad y brindando la atención a las EHR de forma más temprana y adecuada.

Los programas de capacitación serán creados por el Ministerio de Salud por vía de Resolución. A la par se podrá ir emitiendo un protocolo de atención de pacientes con EHR. Por lo cual, se puede llevar a la práctica en el corto o mediano plazo, después de establecidos los lineamientos necesarios para garantizar una formación adecuada que contenga unos lineamientos claros y pertinentes para el tratamiento de EHR.

6.5. Direccionamiento

Este conjunto de recomendaciones está dirigido a mejorar la gestión de los recursos para optimizar su uso, esto mediante una planificación que busque obtener resultados a mediano y largo plazo para los pacientes con EHR.

10. Actualización o decreto reglamentario de la Ley de EHR para la obligatoriedad del Plan Nacional de Gestión en cada periodo de gobierno

Se establezca en el artículo 6° de la Ley 1392 como deber de cada uno de los Gobiernos entrantes de establecer un Plan Nacional de Gestión para Enfermedades Huérfanas como el que realizó el Gobierno actual de manera voluntaria, como instrumento de planeación mediante el cual se establezcan metas, acciones, propuestas y principios rectores de la gestión de EHR para el periodo correspondiente a su Gobierno; de forma tal que establezca las metas del FUEHR.

11. Fortalecimiento del registro nacional de pacientes y del listado de tecnologías en salud de EHR

En dirección con lo fijado por el Plan Nacional de Gestión de Enfermedades Huérfanas/Raras de abril de 2024, en la Meta A del punto 8.4.2. sobre el Registro de personas con EHR, se plantea la necesidad de fortalecer el Registro Nacional de Pacientes con EHR y crear una lista de tecnologías en salud de alto costo de EHR. Si bien, existe un antecedente de la creación de un listado de medicamentos para EHR en Colombia, es necesario formalizar su uso y garantizar su actualización periódica (131). Esto con el propósito de lograr una asignación eficiente mediante la caracterización precisa de los pacientes con EHR, para mejorar la focalización de la atención, y la priorización del gasto por medio de identificación tecnologías con indicación específica para EHR.

Un registro nacional de pacientes es una colección organizada de información clínica y no clínica de personas que padecen una misma condición de salud. En Colombia, existe el Registro Nacional de Pacientes que Padecen Enfermedades Huérfanas (RNPPEH) el cual fue creado mediante la Resolución 946 de 2019 y se actualiza por medio del reporte de casos al Sistema de Vigilancia en Salud Pública (SIVIGILA) (132). Así mismo, para el cobro/recobro de tecnologías en salud no cubiertas por la UPC se requiere del registro del paciente en el RNPPEH. Los datos recolectados en el registro hacen referencia a datos de identificación y características sociodemográficas, vinculación al SGSSS, datos relacionados con la enfermedad y datos de evolución del paciente (132). Es de anotar que, en el país no hay un listado de personas únicas con EHR, por lo cual es necesario que el RNPPEH se consolide como esa fuente de información validada para saber con certeza cuantos y cuáles son las características de las personas con EHR en Colombia.

En el marco de este estudio y alineado con lo establecido en el Plan Nacional de Gestión para las Enfermedades Huérfanas/Raras (43) se recomienda el fortalecimiento del RNPPEH, que permita una caracterización periódica de las características sociodemográficas, epidemiológicas y clínicas de las personas con EHR en Colombia. Lo anterior, permitirá conocer cuáles son las EHR más prevalentes en el territorio nacional y las diferencias por edad, sexo y región, así como realizar un seguimiento a los abordajes terapéuticos de dichas condiciones. Entre las acciones para el fortalecimiento del registro, se pueden considerar las siguientes:

- Generar lineamientos diagnósticos para EHR que permitan mejorar el diagnóstico y notificación de los casos.
- Propender por la notificación oportuna de casos desde la atención primaria en salud, particularmente en el primer nivel de atención, para lo cual es importante la capacitación al personal de salud sobre EHR.
- Incorporación de herramientas tecnológicas para identificar posibles casos no registrados (por ejemplo, la inteligencia artificial).
- Mejorar los procedimientos de depuración de datos del registro para garantizar la calidad de la información.
- Incluir variables de seguimiento de los pacientes para conocer los cambios en los abordajes terapéuticos y los cambios en los desenlaces clínicos.
- Registrar los resultados en salud en términos de la efectividad y seguridad de las tecnologías en salud empleadas en los pacientes con EHR (generación de datos del mundo real).

También, se recomienda la actualización periódica de una lista de tecnologías de alto costo en salud asociados a las respectivas patologías en las que tienen indicación terapéutica para EHR. Esto con el propósito de generar una identificación de disponibilidad de las tecnologías en el país y poder generar estrategias direccionadas a mejorar su acceso y financiamiento[10].

[10] Considerando las diferentes alternativas de modalidad de pago que pudiera contar el país, particularmente, pago basado en valor y riesgo compartido.

El fortalecimiento del registro nacional de pacientes con EHR ofrece varias ventajas. Permitiría diseñar políticas públicas más efectivas basadas en datos reales sobre la epidemiología y las necesidades de esta población en Colombia. También, contribuiría a mejorar la asignación de recursos al proporcionar una caracterización completa de los pacientes y permitir evaluaciones más precisas sobre la efectividad y seguridad de las intervenciones en salud. Este registro podría integrarse con iniciativas y redes regionales en América Latina, promoviendo la recolección y análisis de datos a nivel internacional. Además, facilitaría la articulación entre los diferentes actores del sistema de salud, optimizando la atención integral para esta población. La implementación de esta recomendación generaría resultados económicos a mediano plazo en lo referente a mejoras en la notificación de casos y calidad de la información registrada y resultados a largo plazo en lo referente a generación de evidencia de efectividad y seguridad de tecnologías en salud para EHR. Teniendo en cuenta lo anterior, se podría concluir que la implementación de esta estrategia tendría aceptabilidad entre los diferentes actores clave y sería factible tanto desde el nivel regulatorio como operativo. Así mismo, su implementación sería factible por medio de las capacidades instaladas del MSPS

Finalmente, es resaltar que la actualización periódica del listado de medicamentos con indicación para EHR permitirá una planeación del gasto en salud. Esto podría generar impactos económicos en el corto plazo en la planeación de presupuestos en salud para EHR. No obstante, entre las desventajas de esta línea temática se incluye la inversión inicial significativa necesaria para modernizar la infraestructura tecnológica y capacitar al personal encargado de gestionar el registro. También sería necesario garantizar su actualización periódica, lo que podría implicar costos adicionales.

En la literatura se han identificado diferentes experiencias sobre el desarrollo de registros de pacientes para diferentes condiciones de salud, en el caso de las EHR, se destaca la experiencia del Registro Nacional de Pacientes de China (133).

12. Implementación de centros de referencia para la atención especializada para EHR

Se recomienda identificar y mapear los centros de atención y especialistas en la atención de EHR en Colombia y revisar las barreras que se están presentando para el cumplimiento de los requisitos para la apertura de centros de referencia en el país (Resolución 651 de 2018) (43). Ello con el propósito de analizar la disponibilidad actual y la manera de afrontar los retos en la oferta de servicios para EHR. En esta línea, es importante implementar la estrategia de centros de referencia, descrita desde la Ley de 1392 de 2010 y retomada en el Plan Nacional de Gestión de EHR emitido en 2023 como mecanismo de atención especializada eficiente, dado no solo las capacidades instaladas sino la trayectoria y conocimiento en este campo de atención, lo que favorece un enfoque de atención de mayor precisión e integral. La puesta en marcha de estos centros puede significar adicionalmente un mecanismo de asignación de recursos focalizado dónde estrategias como el giro directo desde el fondo podría favorecer la eficiencia financiera con pagos atados a resultados por calidad de la atención de estos centros.

Algunas experiencias internacionales muestran que la estrategia de centros de referencia facilita el acceso a un equipo multidisciplinario con experiencia que posibilita un diagnóstico más oportuno y eficiente, en la medida en que se reducen los tiempos de identificación. Al centralizar estos servicios permite la optimización de recursos y mejorar el acceso, esto dado que pueden desarrollarse estrategias como la telemedicina y el monitoreo remoto.

Los centros de referencia para EHR en Colombia desempeñarían un papel fundamental en la mejora del diagnóstico precoz y tratamiento integral de personas afectadas con estas condiciones de salud. Dadas las particularidades de las EHR, la creación de centros especializados permitiría agrupar las mejores capacidades en personal de salud, tecnologías de avanzada, protocolos de atención específicos lo cual impactaría en mejorar los tiempos de diagnóstico y, por ende, el bienestar de los pacientes con EHR. Países como Bulgaria, Dinamarca, Francia, Italia, España y Suecia han logrado implementar los centros de referencia en el marco de una política de EHR.

Por otro lado, estos centros de referencia permitirían gestionar y controlar mejor el acceso a tratamientos costosos y de disponibilidad limitada, así como servir de nodos para el desarrollo de investigación científica en estas áreas de interés. De igual manera, estos centros facilitarían la coordinación entre actores del sistema de salud, asegurando que las rutas integrales de atención sean cumplidas de manera eficiente. Lo anterior, impactaría el acceso y calidad de la atención brindada a los pacientes y, por ende, la equidad en el acceso a servicios de salud. Así mismo, podría generar impactos económicos en el corto plazo por medio de la asignación eficiente de los recursos en salud, en términos de una mejor orientación de la atención y direccionamiento de las especialidades para EHR. En definitiva, los centros de referencia serían un pilar esencial para brindar atención integral, equitativa y de alta calidad a los pacientes con EHR en Colombia.
Su implementación puede desarrollarse en un plan que contemple las siguientes acciones mínimas:

a. Definición de requisitos para ser centro de referencia por parte de la autoridad sanitaria
b. Definición de estímulos o ventajas de que una institución se convierta en centro de referencia.
c. Ajuste a la resolución de habilitación de servicios de salud en función de los requisitos definidos.
d. Generación del listado de centros de referencia y creación de los mecanismos de referencia y contrarreferencia entre centros de acuerdo con la regionalización sanitaria.
e. Establecimiento de indicadores de monitoreo y evaluación que permita seguimiento a resultados en salud.

Finalmente, la implementación de los centros de referencia es factible por medio de las capacidades instaladas del MSPS. Sin embargo, el principal reto de esta propuesta es la inversión inicial necesaria de infraestructura y talento humano específicos para su funcionamiento.

7. Conclusiones

Los resultados de la revisión sistemática realista permitieron identificar y analizar los modelos internacionales de financiamiento para la atención EHR, generando insumos valiosos para proponer recomendaciones de cara al sistema de salud colombiano en este ámbito. Los principales hallazgos muestran que los sistemas de salud tienen diversidad de enfoques y fuentes de financiamiento para la atención de estas condiciones de salud, lo que demuestra un gran interés por parte de los distintos Estados de atender las EHR, lo que es coincidente con el hecho de que la mayoría de estos países reconoce de manera constitucional el derecho universal a la salud. Los modelos analizados muestran una amplia variedad de enfoques, desde la asignación de fondos públicos hasta mecanismos innovadores como seguros soportados en tecnología de blockchain y acuerdos de acceso administrado. Aunque predominan los esquemas de financiamiento público, se resalta la necesidad de diversificar las fuentes, incluyendo impuestos específicos, donaciones y alianzas público-privadas, para garantizar sostenibilidad y equidad en el acceso.

Fue posible identificar ciertas “lecciones aprendidas” de países como Alemania, Francia y Argentina que se destacan por implementar estrategias exitosas que incluyen las compras centralizadas, la operativización de acuerdos de riesgo compartido, y el fortalecimiento de la investigación local para la producción de tecnologías para estas condiciones lo que favorece el acceso y disminuye los costos. Estas prácticas ofrecen modelos replicables y adaptables al contexto colombiano, especialmente en áreas como mecanismos alternativos para la compra de tecnologías requeridas en el marco de estas condiciones de salud y el impulso a la producción nacional de tecnologías.

En contraste con el sistema de salud colombiano, se logró identificar que en Colombia existen algunos de estos métodos de financiamiento en el sector salud y en el sector social, como lo son la financiación de proyectos de investigación e innovación por parte del Fondo de Investigaciones en Salud (FIS), los Bonos de Impacto Social, los incentivos fiscales, las Asociaciones Público Privadas, y los impuestos pigouvianos, tipos de financiación que pueden ser encaminados a la financiación de EHR mediante algunas modificaciones legales e incluso solo mediante facultades reglamentarias del ejecutivo como es el caso del FIS y del Programa de Bonos de Impacto Social.

Los AAA cuentan con diseño de implementación y el pago por resultados y la regulación de precios cuentan ya con un desarrollo normativo que le permite al Estado, hacer uso de ellos, por tanto, la recomendación estaría encaminada a reglamentarlas de tal modo que permitan contribuir a la financiación y a la reducción de los costos de los medicamentos y otros tratamientos de EHR.

En cuanto al apoyo regulatorio y los incentivos a la investigación, el Plan Nacional de Desarrollo vigente para este periodo de Gobierno introdujo normas que posibilitan su desarrollo. Por su parte el pago del bolsillo de pacientes, la adquisición de seguros privados, seguros para condiciones preexistente e los microseguros para pacientes con EHR, podrían

generar inequidades en el acceso, particularmente en un Sistema de Salud que pretende garantizar el derecho universal a la salud.

Todo lo anterior, permitió identificar desafíos estructurales importantes de cara a una propuesta mecanismos de financiamientos nuevos y alternativos, ya que, si bien el marco normativo colombiano reconoce la prioridad de las EHR, persisten barreras significativas, como la falta de un fondo específico, el uso de herramientas existentes, brechas en el acceso y la sostenibilidad para garantizar las tecnologías y medicamentos para EHR requeridos en el marco de estas atenciones y la ausencia de un sistema robusto de registro nominal de pacientes que oriente la toma de decisiones. Estas brechas dificultan una respuesta integral y efectiva frente a las necesidades de esta población.

Adicionalmente, fue posible identificar ciertas “lecciones aprendidas” de países como Alemania, Francia y Argentina que se destacan por implementar estrategias exitosas que incluyen las compras centralizadas, la operativización de acuerdos de riesgo compartido, y el fortalecimiento de la investigación local para la producción de tecnologías para estas condiciones lo que favorece el acceso y disminuye los costos. Estas prácticas ofrecen modelos replicables y adaptables al contexto colombiano, especialmente en áreas como mecanismos alternativos para la compra de tecnologías requeridas en el marco de estas condiciones de salud y el impulso a la producción nacional de tecnologías.

El diálogo con diversos actores se alineó de manera significativa con las lecciones aprendidas identificadas en la literatura respecto de la mirada integral de la atención, la diversificación de fuentes y mecanismos de compras como elementos centrales en un esquema de financiamiento para EHR en el país. De manera particular, los actores refieren la necesidad de mayor soporte normativo para que la implementación de estrategias tanto de financiamiento como de prestación exitosas puedan tener un carácter más vinculante y que permee los niveles subnacionales y locales. En este sentido, se concluye que el diseño de políticas y estrategias de financiamiento debe garantizar su sostenibilidad a largo plazo, mediante instrumentos normativos robustos y mecanismos de monitoreo y evaluación continua. Asimismo, es fundamental alinear estas acciones con principios de transparencia y participación de todos los actores del sistema de salud, incluyendo pacientes y cuidadores.

Dado los hallazgos, la propuesta de recomendaciones incluyeron:

- Creación de un fondo único y específico para EHR, como eje central de la propuesta, que cuente con estrategias diferenciales y adicionales a las actuales para las fuentes de financiación, modalidades de pago, generación de capacidades y direccionamiento.
- La búsqueda de nuevas fuentes de recursos, como son los impuestos específicos, excedentes, exenciones tributarias o ajustes a la forma en la que se mancomuna y se distribuye el riesgo actualmente, incluyendo criterios específicos para EHR.
- Implementación de modelos de pago diferentes a los actuales, incluyendo el pago por resultados o compras centralizadas, alineados con indicadores específicos para EHR.

- Promoción de capacidades locales, mediante financiamiento para la investigación, formación en diagnóstico y desarrollo de tecnologías.

Finalmente, el análisis realizado pone de manifiesto la urgencia de adoptar estrategias innovadoras y sostenibles para el financiamiento de las EHR en Colombia, adaptadas a las realidades locales pero inspiradas en buenas prácticas internacionales. Asimismo, ratifica la necesidad de que la atención a las EHR no deba limitarse exclusivamente al acceso a medicamentos, sino incorporar un modelo integral que abarque diagnóstico temprano, tratamiento oportuno, apoyo psicosocial y reducción de las cargas económicas para los pacientes y sus familias. Este enfoque holístico es clave para mejorar los resultados en salud y la calidad de vida de esta población.

8. Anexos

Anexo 1. Listado de términos de búsqueda

Tabla 5. Términos MeSH

Término	Términos alternativos
Healthcare Financing	Financing, Healthcare Financings, Healthcare Healthcare Financings Health Financing Financing, Health Financings, Health Health Financings
Financing, Government	Government Financing Financing, Public Public Financing
Financial Support	Financial Supports Support, Financial Supports, Financial
Financing, Organized	Organized Financing Community Financing Financing, Community Grants Grant
Public assistance	----------
Medical Assistance	----------
Social Security	Security, Social Social Insurance Insurance, Social
Health Planning Support	Health Planning Supports Planning Support, Health Planning Supports, Health Support, Health Planning Supports, Health Planning Grants and Subsidies, Health Planning Subsidies, Health Planning Health Planning Subsidies Health Planning Subsidy Planning Subsidies, Health Planning Subsidy, Health Subsidy, Health Plannin
Reimbursement Mechanisms	Mechanism, Reimbursement Mechanisms, Reimbursement Reimbursement Mechanism
Single-Payer System	Single Payer System Single-Payer Systems System, Single-Payer Systems, Single-Payer Single-Payer Plan Plan, Single-Payer

Término	Términos alternativos
	Plans, Single-Payer Single Payer Plan Single-Payer Plans
Reimbursement, Incentive	Incentive Reimbursements Incentive Reimbursement Pay for Performance Performance, Pay for
Private Practice	Practice, Private Practices, Private Private Practices Solo Practice Practice, Solo Practices, Solo Solo Practices
Rare Diseases	Disease, Rare Rare Disease Orphan Diseases Disease, Orphan Orphan Disease
Undiagnosed diseases	Disease, Undiagnosed Undiagnosed Disease

Fuente: elaboración propia.

Tabla 6. Términos DeCS

Término	Términos alternativos
Financiación de la Atención de la Salud	Apoyo Financiero en Salud Financiación de la Salud Financiación en Salud Financiamiento de la Atención de la Salud Financiamiento de la Atención de Salud Financiamiento de la Salud Financiamiento en Salud Política Financiera Política Monetaria Régimen Financiero
Financiación Gubernamental	Financiación Público Financiamiento Gubernamental Financiamiento Público Financiamiento Público de la Salud
Apoyo financiero	Ayuda Financiera
Organización de la Financiación	Organización del Financiamiento
Asistencia Pública	
Asistencia Médica	
Seguridad Social	Costo de la Seguridad Social Financiación de la Seguridad Social Financiamiento de la Seguridad Social
Apoyo a la Planificación en Salud	Subsidios para la Planificación en Salud Subvenciones y Subsidios en Planificación de Salud
Mecanismo de Reembolso	----------
Sistema de Pago Simple	Plan de Unipago

Término	Términos alternativos
Reembolso de Incentivo	----------
Práctica privada	Ejercicio Profesional Privado Práctica en Solitario
Enfermedades Raras	Enfermedad Huérfana Enfermedad Rara Enfermedades Huérfanas
Enfermedades no diagnosticadas	

Fuente: elaboración propia.

Términos libres

- Financing
- Financement
- Grant
- Subsid
- Regulation
- Orphan Condition
- Low Prevalence Diseases

Anexo 2. Estrategias de búsqueda

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Medline		
Plataforma	Pubmed		
Fecha de búsqueda	04/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Últimos 10 años		
Restricciones de lenguaje	Inglés y español		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	"healthcare financing"[MeSH Terms] OR ("healthcare"[All Fields] AND "financing"[All Fields]) OR "healthcare financing"[All Fields]	6557
	#2	"financing healthcare"[Title/Abstract] OR (("economics"[MeSH Subheading] OR "economics"[All Fields] OR "finances"[All Fields] OR "economics"[MeSH Terms] OR "Financing"[All Fields] OR "finance"[All Fields] OR "financed"[All Fields] OR "financer"[All Fields] OR "financers"[All Fields] OR "Financings"[All Fields]) AND "Healthcare"[Title/Abstract]) OR "healthcare financings"[Title/Abstract] OR "health financing"[Title/Abstract]	67646
	#3	"financing health"[Title/Abstract] OR (("economics"[MeSH Subheading] OR "economics"[All Fields] OR "finances"[All Fields] OR "economics"[MeSH Terms] OR "Financing"[All Fields] OR "finance"[All Fields] OR "financed"[All Fields] OR "financer"[All Fields] OR "financers"[All Fields] OR "Financings"[All Fields]) AND "Health"[Title/Abstract]) OR (("Health"[MeSH Terms] OR "Health"[All Fields] OR "health s"[All Fields] OR "healthful"[All Fields] OR "healthfulness"[All Fields] OR "healths"[All Fields]) AND "Financings"[Title/Abstract])	310969
	#4	#1 OR #2 OR #3	338125
	#5	"financing, government"[MeSH Terms] OR ("financing"[All Fields] AND "government"[All Fields]) OR "government financing"[All Fields] OR "financing government"[All Fields]	120094
	#6	"financing public"[Title/Abstract] OR "government financing"[Title/Abstract] OR "public financing"[Title/Abstract]	489
	#7	#5 OR #6	120275
	#8	"financial support"[MeSH Terms] OR ("financial"[All Fields] AND "support"[All Fields]) OR "financial support"[All Fields]	413397
	#9	"financial supports"[Title/Abstract] OR "support financial"[Title/Abstract] OR "supports financial"[Title/Abstract]	430
	#10	#8 OR #9	413457
	#11	"financing, organized"[MeSH Terms] OR ("financing"[All Fields] AND "organized"[All Fields]) OR "organized financing"[All Fields] OR "financing organized"[All Fields]	266350

Característica	Reporte		
	#12	"organized financing"[Title/Abstract] OR "community financing"[Title/Abstract] OR "financing community"[Title/Abstract] OR "Grants"[Title/Abstract] OR "Grant"[Title/Abstract]	25123
	#13	#11 OR #12	288384
	#14	"public assistance"[MeSH Terms] OR ("public"[All Fields] AND "assistance"[All Fields]) OR "public assistance"[All Fields]	107844
	#15	"medical assistance"[MeSH Terms] OR ("medical"[All Fields] AND "assistance"[All Fields]) OR "medical assistance"[All Fields]	119853
	#16	#14 OR #15	142624
	#17	"social security"[MeSH Terms] OR ("social"[All Fields] AND "security"[All Fields]) OR "social security"[All Fields]	33463
	#18	"security social"[Title/Abstract] OR "social insurance"[Title/Abstract] OR "insurance social"[Title/Abstract]	2560
	#19	#17 OR #18	35263
	#20	"health planning support"[MeSH Terms] OR ("health"[All Fields] AND "planning"[All Fields] AND "support"[All Fields]) OR "health planning support"[All Fields]	77497
	#21	(("Health"[MeSH Terms] OR "Health"[All Fields] OR "health s"[All Fields] OR "healthful"[All Fields] OR "healthfulness"[All Fields] OR "healths"[All Fields]) AND "planning subsidies"[Title/Abstract]) OR ("Grants"[Title/Abstract] AND "subsidies health"[Title/Abstract]) OR "Planning"[Title/Abstract] OR (("Subsidies"[All Fields] OR "subsidy"[All Fields]) AND "health planning"[Title/Abstract]) OR (("plan s"[All Fields] OR "planned"[All Fields] OR "Planning"[All Fields] OR "plannings"[All Fields] OR "plans"[All Fields]) AND "subsidies health"[Title/Abstract]) OR ((("Subsidies"[All Fields] OR "subsidy"[All Fields]) AND ("Health"[MeSH Terms] OR "Health"[All Fields] OR "health s"[All Fields] OR "healthful"[All Fields] OR "healthfulness"[All Fields] OR "healths"[All Fields])) AND "Plannin"[Title/Abstract])	307324
	#22	#20 OR #21	329794
	#23	"reimbursement mechanisms"[MeSH Terms] OR ("reimbursement"[All Fields] AND "mechanisms"[All Fields]) OR "reimbursement mechanisms"[All Fields]	39556
	#24	(("Mechanism"[All Fields] OR "mechanisms"[All Fields]) AND "Reimbursement"[Title/Abstract]) OR "reimbursement mechanism"[Title/Abstract]	4925
	#25	#23 OR #24	39831
	#26	"single payer system"[MeSH Terms] OR ("single payer"[All Fields] AND "system"[All Fields]) OR "single payer system"[All Fields] OR ("single"[All Fields] AND "payer"[All Fields] AND "system"[All Fields]) OR "single payer system"[All Fields]	1197
	#27	"single payer system"[Title/Abstract] OR "single payer systems"[Title/Abstract] OR "system single	761

Característica	Reporte		
		payer"[Title/Abstract] OR (("system"[All Fields] OR "system s"[All Fields] OR "systems"[All Fields]) AND "single-payer"[Title/Abstract]) OR "single payer plan"[Title/Abstract] OR ("plan"[All Fields] AND "single-payer"[Title/Abstract]) OR "plans single payer"[Title/Abstract] OR "single payer plan"[Title/Abstract] OR "single payer plans"[Title/Abstract]	
	#28	#26 OR #27	1259
	#29	"reimbursement, incentive"[MeSH Terms] OR ("reimbursement"[All Fields] AND "incentive"[All Fields]) OR "incentive reimbursement"[All Fields] OR "reimbursement incentive"[All Fields]	5539
	#30	"incentive reimbursements"[Title/Abstract] OR "incentive reimbursement"[Title/Abstract] OR "pay for performance"[Title/Abstract] OR "performance pay for"[Title/Abstract]	2461
	#31	#29 OR #30	6629
	#32	"private practice"[MeSH Terms] OR ("private"[All Fields] AND "practice"[All Fields]) OR "private practice"[All Fields]	62651
	#33	"practice private"[Title/Abstract] OR "practices private"[Title/Abstract] OR "private practices"[Title/Abstract] OR "solo practice"[Title/Abstract] OR "practice solo"[Title/Abstract] OR "practices solo"[Title/Abstract] OR "solo practices"[Title/Abstract]	2386
	#34	#32 OR #33	63905
	#35	"financing"[Title/Abstract] OR "financement"[Title/Abstract] OR "grant"[Title/Abstract] OR "subsid"[Title/Abstract] OR "regulation"[Title/Abstract]	1095366
	#36	#4 OR #7 OR #10 OR #13 OR #16 OR #19 OR #22 OR #25 OR #28 OR #31 OR #34 OR #35	2346133
	#37	"rare diseases"[MeSH Terms] OR ("rare"[All Fields] AND "diseases"[All Fields]) OR "rare diseases"[All Fields]	186606
	#38	"disease rare"[Title/Abstract] OR "rare disease"[Title/Abstract] OR "orphan diseases"[Title/Abstract] OR "disease orphan"[Title/Abstract] OR "orphan disease"[Title/Abstract]	29828
	#39	#37 OR #38	206073
	#40	"undiagnosed diseases"[MeSH Terms] OR ("undiagnosed"[All Fields] AND "diseases"[All Fields]) OR "undiagnosed diseases"[All Fields]	7802
	#41	"disease undiagnosed"[Title/Abstract] OR "undiagnosed disease"[Title/Abstract]	335
	#42	#40 OR #41	7966
	#43	#39 OR #42	212313
	#44	"orphan condition"[Title/Abstract]	28
	#45	"low prevalence diseases"[Title/Abstract]	75
	#46	#44 OR #45	103
	#47	#43 OR #46	212368
	#48	#36 AND #47	10636

Característica	Reporte		
	#49	#48 AND ("review"[Publication Type] OR "review literature as topic"[MeSH Terms])	2424
	#50	AND (y_10[Filter])	1781
	#51	AND (english[Filter] OR spanish[Filter]))	1738
	#52	AND (ffrft[Filter]) AND (medline[Filter]) AND (fft[Filter])	934
Referencias identificadas	**934**		

Fuente: elaboración propia

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Embase		
Plataforma	Elsevier		
Fecha de búsqueda	05/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Últimos 10 años		
Restricciones de lenguaje	Inglés y español		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	'health care financing'/exp/mj	3982
	#2	'financing, healthcare':ab,ti OR 'financings, healthcare':ab,ti OR 'healthcare financings':ab,ti OR 'health financing':ab,ti OR 'financing, health':ab,ti OR 'financings, health':ab,ti OR 'health financings':ab,ti	1826
	#3	'public finance':ab,ti	162
	#4	((((((financing, AND healthcare:ab,ti OR financings,) AND healthcare:ab,ti OR healthcare) AND financings:ab,ti OR health) AND financing:ab,ti OR financing,) AND health:ab,ti OR financings,) AND health:ab,ti OR health) AND financings:ab,ti	22
	#5	'government financing':ab,ti OR 'financing, public':ab,ti OR 'financing, public':ab,ti OR ' public financing':ab,ti	515
	#6	'financial management':ab,ti	1537
	#7	financial AND supports OR (support, AND financial) OR (supports,:ab,ti AND financial:ab,ti)	54479
	#8	'grants':ab,ti	16442
	#9	'social care':ab,ti	12631
	#10	'social security':ab,ti	14719
	#11	'social insurance':ab,ti	3265
	#12	'health care planning':ab,ti	1275
	#13	'reimbursement':ab,ti	45721
	#14	'health insurance':ab,ti	78203
	#15	'incentive':ab,ti	21212
	#16	'pay for performance':ab,ti	2781
	#17	'private practice':ab,ti	14415
	#18	'orphan':kw,ab,ti	24455
	#19	'undiagnosed disease':kw,ab,ti	471
	#20	'orphan disease':kw,ti,ab	1797
	#21	#1 or #2 or #3 or #4 or #5 or #6 or #7 or #8 or #9 or #10 or #11 or #12 or #13 or #14 or #15 or #16 or #17	257334
	#22	#18 OR #19 OR #20	24925
	#23	#21 AND #22	1207
	#24	#23 AND [2019-2024]/py	527
Referencias identificadas	**527**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Cochrane		
Plataforma	OVID		
Fecha de búsqueda	05/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Últimos 5 años		
Restricciones de lenguaje	Ninguno		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	MeSH descriptor: [Healthcare Financing] explode all trees	16
	#2	(Healthcare Financing):ti,ab,kw	125
	#3	(financing, healthcare OR financings, healthcare OR healthcare financings OR health financing OR financing, health OR financings, health OR health financings):ti,ab,kw	523
	#4	MeSH descriptor: [Financing, Government] explode all trees	1377
	#5	((financial supports) OR (support, financial) OR (supports, financial)):ti,ab,kw	3484
	#6	MeSH descriptor: [Financing, Organized] explode all trees	3142
	#7	(organized financing OR community financing OR financing, community OR grants OR grant):ti,ab,kw	6277
	#8	MeSH descriptor: [Public Assistance] explode all trees	1221
	#9	MeSH descriptor: [Medical Assistance] explode all trees	941
	#10	MeSH descriptor: [Social Security] explode all trees	56
	#11	(security, social OR social insurance OR insurance, social):ti,ab,kw	2278
	#12	MeSH descriptor: [Health Planning Support] explode all trees	5
	#13	(Grants and Subsidies, Health):ti,ab,kw	1
	#14	(Planning):ti,ab,kw	22123
	#15	(Subsidy, Health Plannin):ti,ab,kw	0
	#16	MeSH descriptor: [Reimbursement Mechanisms] explode all trees	448
	#17	(Mechanism, Reimbursement):ti,ab,kw	26
	#18	MeSH descriptor: [Single-Payer System] explode all trees	3
	#19	(Plans, Single-Payer):ti,ab,kw	1
	#20	(Single Payer Plan):ti,ab,kw	11
	#21	(System, Single-Payer):ti,ab,kw	25
	#22	MeSH descriptor: [Reimbursement, Incentive] explode all trees	184
	#23	(incentive reimbursements OR incentive reimbursement OR pay for performance OR performance, pay for):ti,ab,kw	554
	#24	MeSH descriptor: [Private Practice] explode all trees	155
	#25	(practice, private OR practices, private OR private practices OR solo practice OR practice, solo OR practices, solo OR solo practices):ti,ab,kw	3766
	#26	(financing):ti	70

Característica	Reporte		
	#27	(financement):ab	1
	#28	(grant):ti	78
	#29	("subsidio"):ti	1
	#30	(regulation):ti	4285
	#31	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5 OR #6 OR #7 OR #8 OR #9 OR #10 OR #11 OR #12 OR #13 OR #14 OR #15 OR #16 OR #17 OR #18 OR #19 OR #20 OR #21 OR #22 OR #23 OR #24 OR #25 OR #26 OR #27 OR #28 OR #29 OR #30	43449
	#32	MeSH descriptor: [Rare Diseases] explode all trees	79
	#33	(Orphan Diseases):ti,ab,kw	100
	#34	(Disease, Orphan):ti,ab,kw	297
	#35	MeSH descriptor: [Undiagnosed Diseases] explode all trees	2
	#36	(Disease, Undiagnosed):ti,ab,kw	535
	#37	(orphan condition):ti,ab,kw	46
	#38	(low prevalence diseases):ti,ab,kw	1665
	#39	#32 OR #33 OR #34 OR #35 OR #36 OR #37 OR #38	2584
	#40	#31 AND #39	181
	#41	#40 [2019-2024]/py	156
	#42	#41 AND revisiones	25
Referencias identificadas	**25**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Lilacs		
Plataforma	BVS		
Fecha de búsqueda	05/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Ninguno		
Restricciones de lenguaje	Ninguno		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	ti:((financiación de la atención de la salud) OR (financiación de la salud) OR (financiación en salud) OR (apoyo financiero) OR (organización del financiamiento) OR (financiamiento de la seguridad social) OR (financiación) OR (subvención) OR (regulación) OR (financiación gubernamental) OR (financiamiento público) OR (financiamiento público de la salud))	2635
	#2	ab:((financiación de la atención de la salud) OR (financiación de la salud) OR (financiación en salud) OR (apoyo financiero) OR (organización del financiamiento) OR (financiamiento de la seguridad social) OR (financiación) OR (subvención) OR (regulación) OR (financiación gubernamental) OR (financiamiento público) OR (financiamiento público de la salud))	8105

Característica	Reporte		
	#3	ti:((asistencia pública) OR (asistencia médica) OR (seguridad social) OR (apoyo a la planificación en salud) OR (práctica privada))	2149
	#4	ti:((enfermedades raras) OR (enfermedad huérfana) OR (enfermedades no diagnosticadas) OR (enfermedad baja prevalencia))	32
	#5	ab:((enfermedades raras) OR (enfermedad huérfana) OR (enfermedades no diagnosticadas) OR (enfermedad baja prevalencia))	1869
	#6	#1 AND #2 OR #3	2635
	#7	#4 OR #5	2100
	#8	#6 AND #7	24
Referencias identificadas	**24**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Scielo		
Plataforma	Scientific Electronic Library Online		
Fecha de búsqueda	05/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Ninguno		
Restricciones de lenguaje	Ninguno		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	(ti:(Healthcare Financing))	11
	#2	(ti:(financing))	542
	#3	(ti:(Government Financing))	8
	#4	(ti:(Public Financing))	83
	#5	(ti:(Financial Support))	27
	#6	(ti:(Grants))	45
	#7	(ti:(Public assistance))	54
	#8	(ti:(Medical Assistance))	43
	#9	(ti:(Social Security))	583
	#10	(ti:(Social Insurance))	48
	#11	(ti:(Private Practice))	55
	#12	(ti:(subsid))	1
	#13	(ti:(regulation))	1820
	#14	(ti:(financing))	542
	#15	(ti:(financement))	50
	#16	(ti:(Rare Diseases))	121
	#17	(ti:(Orphan Disease))	1
	#18	(ti:(Undiagnosed diseases))	1
	#19	(ti:(low prevalence diseases))	1
	#20	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5 OR #6 OR #7 OR #8 OR #9 OR #10	1329
	#21	#11 OR #12 OR #13 OR #14 OR #15	2431
	#22	#20 OR #21	3216
	#23	#16 OR #17 OR #18 OR #19	123

	#24	#22 AND #23	2
Referencias identificadas	**2**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	EBSCO		
Plataforma	eBook Academic Collection (EBSCOhost)		
Fecha de búsqueda	05/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Últimos 10 años		
Restricciones de lenguaje	Inglés		
Otros límites	Ninguna		
Estrategia de búsqueda	#1	"SU healthcare financing OR TI (financing, healthcare OR financings, healthcare OR healthcare financings OR health financing OR financing, health OR financings, health OR health financings) OR TI financing, government OR TI (government financing OR financing, public OR public financing) OR TI financial support OR TI (financial supports OR support, financial OR supports, financial) OR TI financing, Organized OR TI (organized financing OR community financing OR financing, community OR grants OR grant) OR TI (public assistance OR medical assistance) OR TI (security, social OR social insurance OR insurance, social) OR TI Reimbursement Mechanisms OR TI single payer system”	15794
	#2	“SU healthcare financing OR AB (financing, healthcare OR financings, healthcare OR healthcare financings OR health financing OR financing, health OR financings, health OR health financings) OR TI financing, government OR AB (government financing OR financing, public OR public financing) OR TI financial support OR AB (financial supports OR support, financial OR supports, financial) OR TI financing, Organized OR AB (organized financing OR community financing OR financing, community OR grants OR grant) OR TI (public assistance OR medical assistance) OR AB (security, social OR social insurance OR insurance, social) OR TI reimbursement mechanisms OR TI single payer system”	162889
	#3	"SU rare diseases OR TI (rare diseases or rare diseases or rare disorder or rare defect or orphan disease) OR TI (rare diseases or rare diseases or rare disorder or rare disorder or orphan disease) OR TI (rare diseases or rare disease or rare disorder or rare defect) OR TI (rare diseases or rare disorder) OR AB (rare diseases or rare disease or rare disorder or rare defect or orphan disease) OR TI undiagnosed disease OR AB undiagnosed disease"	147867
	#4	S1 OR S2	171583
	#5	S3 AND S4	1617

Característica	Reporte		
	#6	#5 AND 20140101-20241231	1544
	#7	#6 AND english	1534
	#8	#7 AND Texto completo	102
Referencias identificadas	**102**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Health Systems Evidence		
Plataforma	HSE		
Fecha de búsqueda	06/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Ninguno		
Restricciones de lenguaje	Ninguno		
Otros límites	Ninguno		
Estrategia de búsqueda	#1	healthcare financing OR financing, government OR financial support OR financing, organized OR financing OR grant	267
	#2	rare diseases OR orphan diseases OR undiagnosed diseases	26
	#3	#1 AND #2	4
Referencias identificadas	**4**		

Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	Red de Evidencia para la Salud (EVIPnet)		
Plataforma	BVsalud		
Fecha de búsqueda	06/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Últimos 10 años		
Restricciones de lenguaje	Inglés y español		
Otros límites	Ninguno		
Estrategia de búsqueda	#1	(ti:(healthcare financing)) OR (ti:(financing, healthcare OR financings, healthcare OR healthcare financings OR health financing OR financing, health OR financings, health OR health financings)) OR (ti:(financing, government)) OR (ti:(financial support)) OR (ti:(financing, organized)) OR (ti:(public assistance)) OR (ti:(health planning support)) OR (ti:(reimbursement mechanisms)) OR (ti:(reimbursement, incentive)) OR (ti:(single-payer system))	1854
	#2	ti:((financing) OR (financement) OR (grant) OR (subsid) OR (regulation))	276985
	#3	#1 OR #2	278469
	#4	(ti:(rare diseases)) OR (ti:(orphan diseases)) OR (ti:(undiagnosed diseases)) OR (ti:(orphan condition))	3955
	#5	(ab:(rare diseases)) OR (ab:(orphan disease)) OR (ab:(undiagnosed diseases)) OR (ab:(orphan condition))	57232

Característica	Reporte		
	#6	#3 OR #4	58894
	#7	#3 AND #6	219
	#8	AND (la:("en" OR "es")) AND (year_cluster:[2014 TO 2024])	119
Referencias identificadas	**119**		

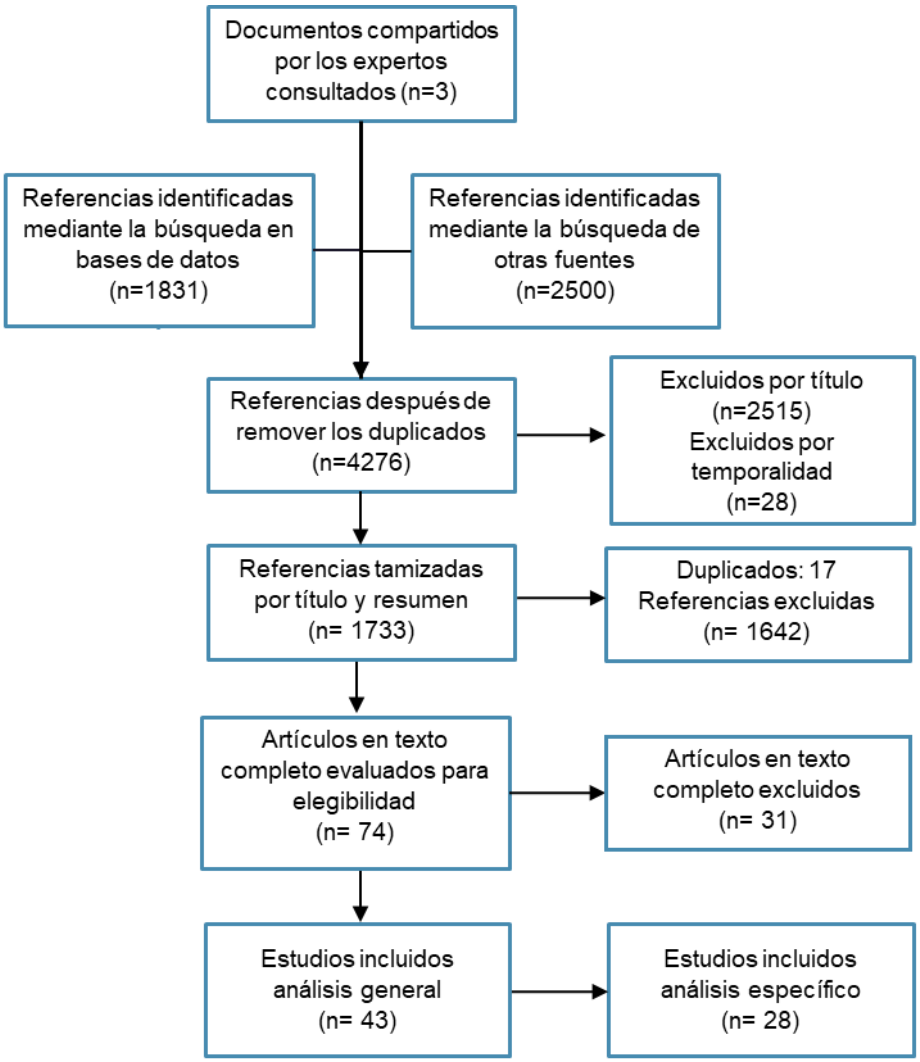
Fuente: elaboración propia.

Característica	Reporte		
Tipo de búsqueda	Nueva		
Bases de datos	PDQ-Evidence		
Plataforma	Epistemonikos		
Fecha de búsqueda	06/09/2024		
Rango de fecha de búsqueda	Ninguno		
Restricciones de lenguaje	Ninguno		
Otros límites	Ninguno		
Estrategia de búsqueda	#1	(title:(title:(Healthcare Financing)) OR abstract:(title:(Healthcare Financing)))	3
	#2	(title:((title:(Financing, Government) OR abstract:(Financing, Government))) OR abstract:((title:(Financing, Government) OR abstract:(Financing, Government))))	86
	#3	(title:((title:(Financial Support) OR abstract:(Financial Support))) OR abstract:((title:(Financial Support) OR abstract:(Financial Support))))	820
	#4	(title:((title:(Financing, Organized) OR abstract:(Financing, Organized))) OR abstract:((title:(Financing, Organized) OR abstract:(Financing, Organized))))	6
	#5	(title:((title:(Public assistance) OR abstract:(Public assistance))) OR abstract:((title:(Public assistance) OR abstract:(Public assistance))))	191
	#6	(title:(Social Security) OR abstract:(Social Security))	290
	#7	(title:((title:(Reimbursement Mechanisms) OR abstract:(Reimbursement Mechanisms))) OR abstract:((title:(Reimbursement Mechanisms) OR abstract:(Reimbursement Mechanisms))))	35
	#8	(title:((title:(Single-Payer System) OR abstract:(Single-Payer System))) OR abstract:((title:(Single-Payer System) OR abstract:(Single-Payer System))))	10
	#9	(title:(Reimbursement, Incentive) OR abstract:(Reimbursement, Incentive))	100
	#10	(title:((title:(Private Practice) OR abstract:(Private Practice))) OR abstract:((title:(Private Practice) OR abstract:(Private Practice))))	549
	#11	(title:((title:(grant) OR abstract:(grant))) OR abstract:((title:(grant) OR abstract:(grant))))	196
	#12	(title:((title:(regulation) OR abstract:(regulation))) OR abstract:((title:(regulation) OR abstract:(regulation))))	499
	#13	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5 OR #6 OR #7 OR #8 OR #9 OR #10 OR #11 OR #12	2508

Característica	Reporte		
	#14	(title:((title:(Rare Diseases) OR abstract:(Rare Diseases))) OR abstract:((title:(Rare Diseases) OR abstract:(Rare Diseases))))	70
	#15	(title:((title:(Orphan Diseases) OR abstract:(Orphan Diseases))) OR abstract:((title:(Orphan Diseases) OR abstract:(Orphan Diseases))))	3
	#16	(title:((title:(Undiagnosed diseases) OR abstract:(Undiagnosed diseases))) OR abstract:((title:(Undiagnosed diseases) OR abstract:(Undiagnosed diseases))))	15
	#17	#14 OR #15 OR #16	84
	#18	#13 AND #17	6
Referencias identificadas	**6**		

Fuente: elaboración propia.

Anexo 3. Diagrama PRISMA



Fuente: elaboración propia.

Anexo 4. Listado de estudios incluidos

N°	Título	Año	Autor u organización	Fuente
1	A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries	2018	Neil Khosla, et al.	(94)
2	A multi-stakeholder multicriteria decision analysis for the reimbursement of orphan drugs (FinMHU-MCDA study)	2021	Fernando de Andrés-Nogales, et al	(134)
3	A review of rare disease policies and orphan drug reimbursement systems in 12 Eurasian countries	2020	Marcin Czech, et al.	(95)
4	Access and unmet needs of orphan drugs in 194 countries and 6 areas: a global policy review with content analysis	2020	Adrienne Y.L. Chan, et al.	(85)
5	Access to orphan drugs: a comprehensive review of legislations, regulations and policies in 35 countries	2015	Todd Gammie, et al.	(66)
6	Addressing challenges to European multi- country collaboration models for rare diseases. Panel for the Future of Science and Technology	2024	Servicio de Investigación del Parlamento Europeo. Unidad de Prospectiva Científica (STOA)	(135)
7	Addressing unmet needs in extremely rare and paediatric-onset diseases: how the biopharmaceutical innovation model can help identify current issues and find potential solutions	2021	Emilie Neez, et al.	(69)
8	Advancing rare disease policy in Latin America: a call to action	2023	Daniel Wainstocka, et al.	(96)
9	Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches	2020	Elena Nicod, et al	(88)
10	Building a national strategy for high-cost drugs for rare diseases	2021	Health Canada	(92)
11	Comparative policy analysis of national rare disease funding policies in Australia, Singapore, South Korea, the United Kingdom and the United States: a scoping review	2024	Qin Xiang Ng, et al.	(73)
12	Evaluation of rare diseases policy performance of OECD countries using mcdm methods	2021	Ozgür INCE, et al.	(44)
13	Exploring alternative financing models and early access schemes for orphan drugs: a Belgian case study	2022	Khadidja Abdallah, et al.	(80)
14	Financing drug discovery for orphan diseases	2014	Fagnan, et al.	(136)
15	Financing of rare diseases and orphan drugs in a sanctioned country: a qualitative study	2022	Seyran Naghdi, et al.	(87)
16	Financing options for the treatment of rare diseases in Chile	2011	Bastías G, et al	(75)
17	Financing orphan drugs through a blockchain-supported insurance model	2022	Lok Sang Ho, et al.	(91)
18	Financing translation: Analysis of the NCATS rare-diseases portfolio	2015	David E. Fagnan, et al.	(81)
19	Funding Environment for Rare Diseases in Low and Middle Income Countries: A global study of the health financing context, challenges and opportunities for rare diseases in LMICs	2021	IQVIA	(77)
20	HTA decisionmaking for drugs for rare diseases: comparison of processes across countries	2022	Tania Stafinski, et al.	(137)
21	Innovative financing instruments for global health 2002–15: a systematic analysis	2017	Rifat Atun, et. Al	(138)
22	Innovative funding models for treatment of rare diseases. A global study of new financing solutions for rare diseases	2021	Pablo Morales, et al.	(139)
23	Integrated care for healthcare sustainability for patients living with rare disease	2019	Raquel Castro & Marta De Santis	(140)
24	International networks and funding opportunities for research in the field of rare diseases	2021	Département fédéral de l'intérieur DFI	(141)
25	Managing rare diseases: examples of national approaches in Europe, North America and East Asia	2022	Lucas Cortial, et al.	(71)

N°	Título	Año	Autor u organización	Fuente
26	**Modelling the Financial Framework of the Pharmacotherapy Cost of Rare Diseases with Orphan Medicines—Part II**	2014	Albena Zlatareva, et al.	(142)
27	**Novel approach to decision making for orphan drugs**	2023	Decker, et al.	(143)
28	**Orphan drug policies in different countries**	2019	Amar Abbas, et al.	(76)
29	**Rare disease curative care expenditure-financing scheme-health provider–beneficiary group analysis: an empirical study in Sichuan Province, China**	2022	Li Jia, et al	(144)
30	**Rare diseases in the age of health 2.0. Capitulo: innovative funding models for rare diseases**	2014	Amanda Lordemann, et al. International Council on Medical and Care Compunetics (ICMCC)	(145)
31	**Reimbursed price of orphan drugs: current strategies and potential improvements**	2017	Pierpaolo Mincarone, et al.	(146)
32	**Reimbursement legislations and decision making for orphan drugs in central and eastern European countries**	2019	Krzysztof, et al	(89)
33	**Reimbursement status and recommendations related to orphan drugs in European countries**	2019	Ewa Stawowczyket al	(147)
34	**Report on policy dialogue: financing options for rare diseases in Chile**	2012	Crocco, et al.	(148)
35	**Review of national rare disease strategies in selected countries**	2024	Health Information and Quality Authority (HIQA)	(74)
36	**Staying ahead: the case for a European Action Plan for Rare Diseases**	2024	Global Counsel	(149)
37	**Strategies for rare diseases: international landscape report**	2021	Takeda	(70)
38	**Systematic review on the evaluation criteria of orphan medicines in Central and Eastern European countries**	2016	Zelei T, et al.	(84)
39	**The economics of moonshots: value in rare disease drug development**	2022	Clinical and Translational Science published by Wiley Periodicals LLC on behalf of American Society for Clinical Pharmacology and Therapeutics	(72)
40	**The next generation of rare disease drug policy: ensuring both innovation and affordability**	2022	Caroline Pearson, et al.	(90)
41	**Modelos de innovación financiera para el fortalecimiento del sistema de salud en Colombia**	2024	Universidad del Bosque - INNOS	(150)
42	**Quantitative revenue estimates and qualitative assessments of innovative fundraising sources for treating rare diseases in Colombia**	2023	Surrey M Walton, Wilson Mayorga, Angela Rodríguez Narváez, Maria Alejandra Chavez, Natalia Cortés Guesguán, Luis Durango, Ludy Alexandra Parada	(82)
43	**Fuentes de Financiamiento Innovador para Enfermedades Huérfanas: una Revisión Sistemática de Literatura**	2022	Wilson Mayorgai, Angela Rodríguezii, Natalia Cortésiii, Diana López	(151)

Fuente: elaboración propia a partir de las fuentes señaladas.

Anexo 5. Matrices de extracción de datos

Adjunto al estudio, se incluyen los archivos de Excel de las matrices de extracción:

Anexo 5.1. Matriz de extracción general
Anexo 5.2. Matriz de extracción especifica

Anexo 6. Evaluación de la calidad de la evidencia

En los siguientes anexos, se presenta la evaluación de la calidad por tipo de estudio.

Cra. 45 #108a-50 Oficina 401, Bogotá • Línea IETS: 318 3355525 • contacto@iets.org.co • www.iets.org.co

Anexo 6.1. Evaluación de riesgo de sesgo estudios de corte transversal con herramienta JBI

Referencia: Li J, Yang L, Zhang Y, Liao H, Ma Y, Sun Q. Rare disease curative care expenditure-financing scheme-health provider-beneficiary group analysis: an empirical study in Sichuan Province, China. Orphanet J Rare Dis. 2022 Oct 8;17(1):373. DOI: 10.1186/s13023-022-02524-1.				
Pregunta	**Si**	**No**	**No claro**	**No aplica**
1. ¿Se definieron claramente los criterios de inclusión en la muestra?	X			
2. ¿Se describieron en detalle los sujetos de estudio y el entorno?	X			
3. ¿Se midió la exposición de manera válida y confiable?	X			
4. ¿Se utilizaron criterios objetivos y estándar para hacer la medición?	X			
• ¿Se identificaron factores de confusión?			X	
5. ¿Se establecieron estrategias para hacer frente a los factores de confusión?			X	
6. ¿Se midieron los resultados de manera válida y confiable?	X			
7. ¿Se utilizó un análisis estadístico apropiado?	X			
Valoración general	Riesgo de sesgo poco claro.			
Comentarios: La información esencial sobre los pacientes se obtuvo de los registros individuales de pacientes ambulatorios y hospitalizados.				

Fuente: elaboración propia.

Referencia: Malinowski KP, Kawalec P, Trąbka W, Czech M, Petrova G, Manova M, Savova A, Draganić P, Vostalová L, Slabý J, Männik A, Márky K, Rugaja Z, Gulbinovic J, Tesar T, Paveliu MS. Reimbursement Legislations and Decision Making for Orphan Drugs in Central and Eastern European Countries. Front Pharmacol. 2019 May 8;10:487. doi: 10.3389/fphar.2019.00487				
Pregunta	**Si**	**No**	**No claro**	**No aplica**
1. ¿Se definieron claramente los criterios de inclusión en la muestra?	X			
2. ¿Se describieron en detalle los sujetos de estudio y el entorno?	X			
3. ¿Se midió la exposición de manera válida y confiable?	X			
4. ¿Se utilizaron criterios objetivos y estándar para hacer la medición?	X			
5. ¿Se identificaron factores de confusión?			X	
6. ¿Se establecieron estrategias para hacer frente a los factores de confusión?			X	
7. ¿Se midieron los resultados de manera válida y confiable?	X			
8. ¿Se utilizó un análisis estadístico apropiado?	X			
Valoración general	Riesgo de sesgo poco claro.			
Comentarios: El estado de reembolso de los fármacos seleccionados se recopiló en una encuesta de cuestionario realizada en un grupo de expertos en política de reembolso y medicamentos huérfanos en los siguientes países de la UE-CEE seleccionados.				

Anexo 6.2. Critical appraisal checklist systematic reviews JBI

Referencia	Chan AYL, Chan VKY, Olsson S, Fan M, Jit M, Gong M, et al. Access and Unmet Needs of Orphan Drugs in 194 Countries and 6 Areas: A Global Policy Review With Content Analysis. Value Heal [Internet]. 2020;23(12):1580–91. Available from: https://doi.org/10.1016/j.jval.2020.06.020	Si	No	Poco claro	No aplicable
1	¿La pregunta de la revisión está formulada de forma clara y explícita?		X		
2	¿Fueron apropiados los criterios de inclusión para la pregunta de la revisión?	X			
3	¿Fue adecuada la estrategia de búsqueda?	X			
4	¿Fueron adecuadas las fuentes y recursos utilizados para la búsqueda de estudios?	X			
5	¿Fueron adecuados los criterios de valoración de los estudios?	X			
6	¿La valoración crítica fue realizada por dos o más revisores de forma independiente?		X		
7	¿Existían métodos para minimizar los errores en la extracción de datos?		X		
8	¿Fueron adecuados los métodos utilizados para combinar los estudios?				X
9	¿Se evaluó la probabilidad de sesgo de publicación?				X
10	¿Los datos comunicados respaldan las recomendaciones políticas o prácticas?	X			
11	¿Eran adecuadas las directrices específicas para una nueva investigación?	X			
	Riesgo de sesgo				
	Bajo	X			
	Alto				
	No claro				
	Comentarios				

Fuente: elaboración propia.

Referencia	Zelei T, Molnár MJ, Szegedi M, Kaló Z. Systematic review on the evaluation criteria of orphan medicines in Central and Eastern European countries. Orphanet J Rare Dis. 2016 Jun 4;11(1):72. doi: 10.1186/s13023-016-0455-6.	Si	No	Poco claro	No aplicable
1	¿La pregunta de la revisión está formulada de forma clara y explícita?		X		
2	¿Fueron apropiados los criterios de inclusión para la pregunta de la revisión?	X			
3	¿Fue adecuada la estrategia de búsqueda?	X			
4	¿Fueron adecuadas las fuentes y recursos utilizados para la búsqueda de estudios?	X			
5	¿Fueron adecuados los criterios de valoración de los estudios?	X			
6	¿La valoración crítica fue realizada por dos o más revisores de forma independiente?		X		
7	¿Existían métodos para minimizar los errores en la extracción de datos?		X		
8	¿Fueron adecuados los métodos utilizados para combinar los estudios?				X
9	¿Se evaluó la probabilidad de sesgo de publicación?				X

10	¿Los datos comunicados respaldan las recomendaciones políticas o prácticas?	X			
11	¿Eran adecuadas las directrices específicas para una nueva investigación?	X			
	Riesgo de sesgo				
	Bajo	X			
	Alto				
	No claro				
	Comentarios				

Fuente: elaboración propia.

Anexo 6.3. Standards for Reporting Qualitative Research

Titulo	The Next Generation of Rare Disease Drug Policy: Ensuring Both Innovation and Affordability	Financing of Rare Diseases and Orphan Drugs in A Sanctioned Country: A Qualitative Study	Exploring alternative financing models and early access schemes for orphan drugs: a Belgian case study	Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches	A multi-stakeholder multicriteria decision analysis for the reimbursement of orphan drugs (FinMHU-MCDA study)
Autor (Año)	Caroline Pearson (2022)	Naghdi S (2022)	Abdallah, K (2022)	Nicod (2020)	de Andrés-Nogales, F (2021)
Titulo			X		X
Abstract		X	X	X	X
Formulación del problema	X	X	X	X	X
Propósito o pregunta de investigación	X	X	X	X	X
Enfoque cualitativo y paradigma de investigación.		X	X		X
Investigador características, reflexividad	NA	NA	NA	NA	NA
Contexto		X	X	X	X
Estrategia de muestreo		X	X		X
Cuestiones éticas relativas a los seres humanos		X	X	X	X
Métodos de recopilación de datos		X	X	X	X

Titulo	The Next Generation of Rare Disease Drug Policy: Ensuring Both Innovation and Affordability	Financing of Rare Diseases and Orphan Drugs in A Sanctioned Country: A Qualitative Study	Exploring alternative financing models and early access schemes for orphan drugs: a Belgian case study	Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches	A multi-stakeholder multicriteria decision analysis for the reimbursement of orphan drugs (FinMHU-MCDA study)
Instrumentos y tecnicas de recopilación de datos		X	X	X	X
Unidades de estudio					
Procesamiento de los datos		X	X	X	X
Análisis de los datos		X	X	X	X
Técnicas para mejorar la confiabilidad					
Síntesis e interpretación		X	X	X	X
Enlaces a datos empíricos					
Integración con trabajos anteriores, implicaciones, transferibilidad y contribución(es) al campo					X
Limitaciones		X	X	X	
Conflicto de intereses	X	X	X	X	X
Fondos	X	X	X	X	X
Observaciones					

Fuente: elaboración propia.

Anexo 7. Informe de gestión de los espacios de participación

Introducción

La participación en salud, al ser interdependiente de la realización efectiva del derecho a la salud, permite a los diferentes actores sociales asumir la responsabilidad y el compromiso de hacer parte de las deliberaciones y discusiones sobre los problemas en salud que afectan a la comunidad (152).

En este marco, el IETS favorece el involucramiento de actores interesados en los proyectos que ejecuta, pues configura una participación muy importante en la medida en que los espacios de deliberación con las partes interesadas son clave para la obtención de datos relevantes en la definición de aspectos centrales de los procesos y que no son necesariamente identificables en la literatura (153). En términos generales, se espera que los actores aporten datos cuantitativos, cualitativos, experiencia y conocimiento derivado de la práctica alrededor del tema en particular (154), y que permitan orientar los procesos de toma de decisiones en salud (153). Es por esto por lo que se busca que quienes participen sean expertos en el tema: los expertos son considerados como personas eruditas en un tema o método; cuentan, además, con la formación y trayectoria suficiente para ser reconocidos como conocedores en profundidad (153).

Para el caso específico de la revisión sistemática realista sobre los modelos de financiación de EHR, se requiere de la participación e involucramiento de diversos actores para contextualizar la evidencia y complementar la visión sobre la aplicabilidad en el país de los elementos que se identifiquen en la revisión.

Aspectos metodológicos y logísticos del involucramiento de actores

Se parte de entender que los actores corresponden a grupos u organizaciones que pueden proveer información relevante sobre la perspectiva de los grupos que representan y que serán afectados por la decisión; también son grupos u organizaciones que pueden, en un rol consultivo, contribuir a las acciones u objetivos de una organización, proyecto o política en salud (155). En este contexto, para este producto, el mapeo o identificación de los actores clave se desarrolló considerando que el propósito del involucramiento era recoger las percepciones de quienes están relacionados con el tema de EHR y así generar espacios de conocimiento compartido en los que se profundizara sobre los aspectos estructurales y críticos que deben tenerse en cuenta a la hora de proponer recomendaciones sobre el financiamiento de estas condiciones de salud.

En este contexto, para la revisión sistemática realista, se propusieron tres momentos de involucramiento con actores clave:

a) ***Primer momento: espacio de socialización y consulta con actores***

Esta socialización y consulta tiene como objetivo contextualizar la evidencia disponible y recoger la percepción de los actores clave sobre las formas y fuentes de financiamiento de las EHR en Colombia. Se desarrolló en el marco de la sesión de la Mesa Nacional de

Enfermedades Huérfanas el día 31 de octubre a las 02:30 p.m. La estructura de la sesión se organizó así:

- **Sección 1**: En esta sección se realizó la presentación de los hallazgos preliminares de la revisión realista y de los temas clave respecto a los mecanismos y tipos de financiamiento de las EHR reportados por la literatura.
- **Sección 2:** durante la presentación, se dieron comentarios y discusión a partir la reflexión sobre la presentación preliminar de resultados en la revisión, desde su percepción y experiencia, sobre mecanismos de financiación.

b) Segundo momento: consulta con expertos

Con el objetivo de favorecer la contextualización de la evidencia y de los hallazgos, así como ampliar el conocimiento sobre experiencias internacionales exitosas, se invitó a sesiones de trabajo a dos expertos nacionales y una experta internacional, identificados a partir de la literatura incluida en la revisión como referentes clave del tema. Las consultas se desarrollaron mediante encuentros virtuales durante el mes de octubre y noviembre de 2024. Estos expertos fueron:

Tabla 7. Expertos temáticos

Nombre	Perfil
Ignacio Zarante	Médico y cirujano. Genetista y PhD en Genética. Docente e investigador en Genética Humana y Médica. Asesor Científico en Salud pública y genética y en Genética Forense. Médico genetista en el Hospital San Ignacio de Bogotá Coordinador del Centro de Enfermedades Raras, presidente de la Asociación Colombiana de Médicos Genetistas y Medicina Genómica.
Martha Carolina Rivera Nieto	Médica y cirujana. Genetista. Magister en Ciencias con énfasis en Genética Humana. Especialista en Gerencia de la Calidad en Salud. Líder del servicio de genética de la Fundación Cardioinfantil.
Natalia Messina	Abogada. Consultora. Exdirectora de Medicamentos Especiales y Alto Precio del Ministerio de Salud de la Nación de Argentina.

Fuente: elaboración propia.

c) Tercer momento: deliberación con expertos

El objetivo del panel de expertos fue deliberar sobre la evidencia identificada en el tema de los modelos de financiación existentes a nivel internacional para la atención de EHR)y su valoración en el marco del sistema de salud colombiano. Este panel de expertos se desarrolló de forma virtual el día 18 de noviembre a las 4:00 p.m.

La estructura de la sesión fue la siguiente:

- Presentación de los hallazgos de la revisión realista y de los temas clave respecto a los mecanismos y tipos de financiamiento de las EHR, reportados por la literatura.
- Discusión con los expertos.

- Presentación de las conclusiones y recomendaciones para el fortalecimiento de los mecanismos financiamiento de las EHR.
- Discusión de las recomendaciones y cierre.

Los actores identificados y convocados fueron:

Tabla 8. Actores identificados y convocados para el panel

Tipo de actor	Actor
Escenarios de participación de actores en enfermedades huérfanas	• Mesa Nacional de enfermedades huérfanas • Observatorio de enfermedades huérfanas
Instituciones Prestadoras de Salud -IPS	• Instituto Roosevelt • Hospital Pablo Tobón Uribe – HPTU • Hospital San Vicente Fundación • Fundación LaCardio
Centros y grupos de investigación	• Universidad ICESI. Centro de investigaciones en anomalías congénitas y enfermedades raras – CIACER • Instituto de Genética Humana. Universidad Javeriana • Grupo de Genética Crónicas del Instituto Nacional de Salud en Colombia • Grupo de Investigación Ciencias Básicas y Clínicas de la Salud. Universidad Javeriana. • Grupo de investigación Hospital Militar: Unidad de Investigación Científica HOMI • Grupo de investigación Méderi. • CIGGUR- Centro de investigación en Genética y Genómica de la Universidad del Rosario
Organizaciones de pacientes y cuidadores	• FECOER • FUNCOLEHF
Autoridad sanitaria nacional	• Ministerio de Salud y Protección Social – Subdirección de Enfermedades No Transmisibles • Ministerio de Salud y Protección Social – Dirección de financiamiento sectorial • Ministerio de Salud y Protección Social – Dirección de beneficios, costos y tarifas
Autoridad sanitaria territorial	• Referentes de enfermedades huérfanas de territorios priorizados: Meta: Eliana Medina Mora Quindío: Sidney Gerónimo Antioquia: Robinson Ferley Ardila Sánchez Sucre: Adolfo Emiro Cruz Tolima: Lozano Ospina Josué Duván y Mariana Diaz Boyacá: Libia Rosmira Perilla Vacca Pereira: Andrés Felipe Giraldo Herrera Bucaramanga: Sara Boada Rivera Cali – Valle: Solanyi Mosquera Castillo y Juan José Gamboa Ortiz
Autoridades de financiamiento público	• ADRES • Ministerio de Hacienda y Crédito Público

Fuente: elaboración propia.

La convocatoria se realizó por invitación directa vía correo electrónico, solicitando el diligenciamiento de declaración de conflictos de interés del IETS. Los asistentes a este espacio se detallan en la siguiente tabla:

Tabla 9. Asistentes a espacio deliberativo

Tipo / ámbito de actor	Organización	Nombre del asistente
Instituciones Prestadoras de Salud -IPS	Instituto Roosevelt	Viviana Gómez
	Hospital Militar	Juan Manuel Bello Gualtero
Organizaciones de pacientes y cuidadores / Sociedad civil	Fundación Anáas	Blanca Llorente
	FECOER - Mesa Nacional de Enfermedades Huérfanas	Diego Gil
	FUNCOLEHF - FIQUIRES - Mesa Nacional de Enfermedades Huérfanas	Martha Herrera
	FAMECOL - Mesa Nacional de Enfermedades Huérfanas	María Isabel Acevedo
	ACOPEL	Diana Aldana
	Ministerio de Salud y Protección Social – Subdirección de enfermedades no transmisibles	Heidy García
		Alberto Martínez Tejeiro
Autoridad sanitaria territorial (referentes de enfermedades huérfanas)	Secretaría de Salud del Meta	Eliana Medina Mora
	Secretaria de salud de Cali	Solanyi Mosquera Castillo
	Municipio de Bucaramanga	Sara Boada
	Secretaría Seccional de Salud de Antioquia	Robinson Ardila
	Secretaria de salud de Quindio	Yasmín Pineda
Autoridades de financiamiento público	ADRES	Edna Zoraya Sanchéz
Equipo revisor del producto	Ministerio de Salud y Protección Social	Mario Gildardo Galindo Castillo
		Carlos Ernesto Ramos Ortiz
		Ana María Herrera
		Paola Astrid Avellaneda Lozada
		Cristina Daza
Equipo desarrollador del producto	Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud	Adriana Robayo García
		Lorena del Pilar Mesa Melgarejo
		Luis Esteban Orozco
		Angelica María Rojas
		Daniela Rivera
		Diana Isabel Londoño
		Lina Moyano
		Melixa Rodríguez
		Fanny Torres
	Experta	María Carolina Rivera

Fuente: elaboración propia.

Gestión de los conflictos de intereses

Se parte de entender los conflictos de intereses (CDI) como aquellas "*posibles situaciones de orden moral, intelectual y económico que pueden impedirle a una persona actuar en forma objetiva e independiente, ya sea porque le resulte particularmente conveniente, le sea personalmente beneficioso o porque sus familiares en los grados indicados en la ley se vean igualmente beneficiados*" (156). En otras palabras, los conflictos de intereses son las tensiones que existen cuando los intereses privados pueden llegar a prevalecer sobre los intereses generales, colectivos o públicos (157).

En el IETS se ha establecido la política de transparencia mediante la cual se busca gestionar de forma adecuada los potenciales conflictos de intereses, asegurando la legitimidad y la transparencia de todos los procesos que el IETS tiene a su cargo, especialmente garantizando que quienes participen en los procesos no tengan intereses que puedan afectar su objetividad o incidir en las recomendaciones a favor de sus intereses personales (158).

El proceso de identificación y gestión de los CDI potenciales inicia con la declaración de estos por parte de los participantes. Para ello, el IETS dispone de un formato electrónico cuyo enlace se puede ver aquí: http://herramientas.iets.org.co/declaracion/home.aspx Una vez los participantes han diligenciado el formato de declaración de CDI, la información entregada es analizada por parte del Comité de gestión de los conflictos de intereses con el fin de identificar, tipificar y gestionar los potenciales conflictos.

Para la adecuada gestión de los conflictos, la deliberación del comité parte del reconocimiento la inevitable tensión entre procurar el derecho a la participación y, al mismo tiempo, generar condiciones adecuadas que no les resten legitimidad, validez y confiabilidad a la emisión de recomendaciones que se generan desde el IETS (157).

También se toman en cuenta los hechos con vigencia de dos años hacia atrás del momento en el que se hace la declaración, así como las características de los procesos o proyectos en los que las personas participarán o ejercerán sus funciones. Valorando caso a caso, se tipifican los conflictos de intereses (si son financieros, no financieros, personales u organizacionales), y se valora la experticia en función del tema utilizando una matriz que facilita el análisis y la ponderación de la experticia y del conflicto potencial (157).

Para los casos en los que la información consignada en los formatos no es suficiente, se solicita la aclaración respectiva por correo electrónico. Las respuestas enviadas por los actores también son tenidas en cuenta como elementos adicionales de análisis.

Con estos elementos de análisis (la experiencia y trayectoria profesional, la declaración de los potenciales CDI y las aclaraciones adicionales), el comité define el alcance de la participación de los actores de acuerdo con los niveles establecidos en la política de transparencia, como se muestra en la siguiente tabla: OBJ

Tabla 10. Categorías de participación

Alcance de la participación	Definición	Implicación
Participación	Identifica el conflicto como inexistente. Esta condición ocurre cuando la persona no declara ningún interés en particular o cuando se declara algún interés que no guarda relación específica con el tema, proyecto o proceso.	La persona puede participar en todos los procesos y pasos sin limitaciones.
Limitación parcial	Identifica el conflicto como probable. Esta condición ocurre cuando la persona declara un interés particular que, a consideración del comité, podría afectar la independencia y objetividad de la persona de alguna manera, pero que no le impide completamente su participación en algunas etapas del proceso.	Se limita la participación del individuo en el proceso o procesos relacionados con el interés (específico o no específico) declarado y considerado potencialmente conflictivo. Así, su participación solo se dará en aquellos ámbitos en los que el conflicto no se materialice.
Exclusión	Identifica el conflicto como confirmado. Esta situación ocurre cuando el comité identifica un claro conflicto de los intereses de la persona con el proceso en cuestión.	Se considera que, dada la importancia de los intereses declarados y su relación con el tema de interés, el individuo no debe participar ya que pondría en riesgo la validez y/o la confianza en el proceso.

Fuente: elaborado a partir de política de transparencia (156).

Para los casos en los que la participación es limitada o no puede darse, se delibera sobre los posibles cursos de acción que buscan alcanzar un equilibrio reflexivo (158), lo que quiere decir que se pretende optimizar la experticia y disminuir el riesgo de materialización de los conflictos de intereses, generando recomendaciones de acción.

Para el caso del presente ejercicio deliberativo, no se realizaron restricciones a la participación en función de potenciales conflictos de interés identificados.

9. Referencias

1. OECD. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states [Internet]. 2019 [citado 3 de diciembre de 2024]. (OECD Health Working Papers; vol. 115). Report No.: 115. Disponible en: https://www.oecd-ilibrary.org/social-issues-migration-health/performance-based-managed-entry-agreements-for-new-medicines-in-oecd-countries-and-eu-member-states_6e5e4c0f-en

2. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS. Manual para la elaboración de evaluaciones económicas en salud. Bogotá D.C.; 2014.

3. Banco Interamericano de Desarrollo. Análisis de costo-beneficio y efectividad. 2023; Disponible en: https://www.iadb.org/es/quienes-somos/midiendo-resultados/evaluacion-de-proyectos/costo-beneficio-efectividad/analisis-0

4. Campillo-Artero C, Ortún V. Cost-effectiveness Analysis: Why and How. Revista Española de Cardiología (English Edition). abril de 2016;69(4):370-3.

5. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS. Manual metodológico para la elaboración de análisis de impacto presupuestal de tecnologías en salud en Colombia. Segunda edición. Bogotá D.C.; 2024.

6. Investopedia. Social impact bond. Investopedia [Internet]. 19 de febrero de 2023; Disponible en: https://www.investopedia.com/terms/s/social-impact-bond.asp

7. World Bank. The Health Sector Reform and Sustainable Financing Flagship Program of the World Bank's Economic Development Institute, and the World Bank-wide Thematic Group on Health Sector Reform, Economics and Finance. Disponible en: https://w.w.org/en/topic/health

8. Smith J, Doe R. Market exclusivity and its impact on pharmaceutical industries. Journal of Economic Policy. 2023;10(2):45-56.

9. RICG. Informe Compras Conjuntas [Internet]. 2013. Disponible en: https://ricg.org/wp-content/uploads/legacy_content/archivos/Contenidos/es/297/INFORME%20COMPRAS%20CONJUNTAS.pdf

10. National Cancer Institute. Copayment. NIH [Internet]. 2023; Disponible en: https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/copayment.

11. Investopedia. Crowdfunding. Investopedia [Internet]. 7 de mayo de 2021; Disponible en: https://www.investopedia.com/terms/c/crowdfunding.asp

12. Investopedia. Efficiency. 2023; Disponible en: https://www.investopedia.com/terms/e/efficiency.asp

13. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS). Manual metodológico para la definición de la categoría de valor terapéutico en el marco del artículo 72 de la Ley

1753/2015. Bogotá, D.C.: Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS) y Ministerio de Salud y Protección Social (MSPS); 2023.

14. Brown JR. Public-Private Partnerships (PPPs): Definition, How They Work, and Examples. Investopedia [Internet]. 6 de junio de 2024; Disponible en: https://www.investopedia.com/terms/p/public-private-partnerships.asp

15. Kindness D, Velasquez V. How Do NGOs Get Funding? Investopedia [Internet]. 19 de julio de 2024; Disponible en: https://www.investopedia.com/ask/answers/13/ngos-get-funding.asp

16. Kagan J, Cheng M. Private Foundation: Meaning, Types, and Examples. Investopedia [Internet]. 28 de abril de 2024; Disponible en: https://www.investopedia.com/terms/p/privatefoundation.asp

17. National Cancer Institute. Out-of-pocket cost. NIH [Internet]. 2023; Disponible en: https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/out-of-pocket-cost.

18. Oxford Reference. specific tax. Disponible en: https://www.oxfordreference.com/display/10.1093/oi/authority.20110803100522246

19. Ministerio de Hacienda y Crédito Público. Sistema de gestión de ingresos públicos centrales [Internet]. Bogota; Disponible en: https://www.minhacienda.gov.co/webcenter/ShowProperty?nodeId=/ConexionContent/WCC_CLUSTER-205884

20. Yáñez Henríquez, J. El impuesto pigouviano: una herramienta para la corrección de las externalidades. Revista Estudios Tributarios. 2017;17:159-98.

21. Ocampo L, Aro JL, Evangelista SS, Maturan F, Yamagishi K, Mamhot D, et al. Research Productivity for Augmenting the Innovation Potential of Higher Education Institutions: An Interpretive Structural Modeling Approach and MICMAC Analysis. Journal of Open Innovation: Technology, Market, and Complexity. 1 de septiembre de 2022;8(3):148.

22. Comisión Económica para América Latina y el Caribe (CEPAL). Los incentivos fiscales a las empresas en América Latina y el Caribe [Internet]. Santiago de Chile; 2019. Disponible en: chrome-extension://efaidnbmnnnibpcajpcglclefindmkaj/https://repositorio.cepal.org/server/api/core/bitstreams/ade5a99c-5d38-4660-aceb-7ead729e8bb5/content

23. Departamento Nacional de Planeación (DNP). Guía metodológica con lineamientos orientadores para el uso de mecanismos alternativos de financiación en proyectos de infraestructura en Colombia [Internet]. 2022. Disponible en: https://colaboracion.dnp.gov.co/CDT/Participacin%20privada%20en%20proyectos%20de%20infraestructu/Gu%C3%ADa%20Metodol%C3%B3gica%20Mecanismos%20Alternativos%20de%20Financiaci%C3%B3n.pdf

24. Mosquera O, Angarita B. Mecanismos de financiación. En: Explorando caminos para para la sostenibilidad financiera del sistema de competitividad, ciencia, tecnología e innovación.

25. Bouwhuis S. The International Law Commission's Definition of International Organizations. International Organizations Law Review. 1 de enero de 2012;9(2):451-65.

26. Departamento Nacional de Planeación (DNP). Sobre Fuentes de Financiación. 2024. Fuentes de financiación. Disponible en: https://www.dnp.gov.co/LaEntidad_/subdireccion-general-inversiones-seguimiento-evaluacion/direccion-programacion-inversiones-publicas/Paginas/sobre-fuentes-de-financiacion.aspx

27. Gobierno del Reino Unido. Payment by Results [Internet]. Londres; 2015. Disponible en: https://assets.publishing.service.gov.uk/media/5a7b99cd40f0b62826a04a02/Payment-by-Results.pdf

28. MV. Gestión hospitalaria: del fee-for-service al pago basado en valor. [Internet]. 2023. Disponible en: https://mv.com.br/es/blog/gestion-hospitalaria--del-fee-for-service-al-pago-basado-en-valor

29. Byju's. What is pricing? 2023; Disponible en: https://byjus.com/commerce/what-is-pricing/

30. Mayo. Early access programs in the pharmaceutical industry. Pharmaceutical Development Journal. 2022;12(3):45-50.

31. Spinner DS, Ringo M, Faulkner E. Chapter 27 - Reimbursement and Payment Models for Therapies With Transformative and Curative Intent [Internet]. Vertès AA, Smith DM, Qureshi N, Dowden NJ, editores. Academic Press; 2020. 705-45 p. Disponible en: https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/B9780128120347000273

32. Verywell Health. Reimbursement. Verywell Health [Internet]. 1 de diciembre de 2023; Disponible en: https://www.verywellhealth.com/reimbursement-2615205

33. WHO Centre for Health Development (Kobe J, Organisation for Economic Co-operation and Development, Barber S.L., Lorenzoni L, Ong P. Price setting and price regulation in health care: lessons for advancing universal health coverage [Internet]. Geneva: World Health Organization; 2019 [citado 3 de diciembre de 2024]. 298 p. Disponible en: https://iris.who.int/handle/10665/325547

34. Vogler S. Chapter 13 - Assessment of External Price Referencing and Alternative Policies. En: Vogler S, editor. Medicine Price Surveys, Analyses and Comparisons [Internet]. Academic Press; 2019. p. 369-419. Disponible en: https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/B978012813166400019X

35. Escuela IEB. Blockchain: la cadena de bloques que revoluciona el sector financiero. Escuela IEB [Internet]. 6 de diciembre de 2023; Disponible en: https: //www.i.com /bl/cadena de bloques--cadena -bloque-r-segundo-fi-finanzas/

36. Ministerio de Salud y Protección Social. Unidad de Pago por Capitación (UPC). Ministerio de Salud y Protección Social [Internet]. 3 de diciembre de 2024; Disponible en: https ://w.mi.gramo.co//sal/paginas/upc_s.aspx

37. Pawson R, Greenhalgh T, Harvey G, Walshe K. Realist review--a new method of systematic review designed for complex policy interventions. Journal of health services research & policy. 2005/08/02 ed. 2005;10:21-34.

38. Greenhalgh T, Kristjansson E, Robinson V. Realist review to understand the efficacy of school feeding programmes. BMJ (Clinical research ed). 2007/10/24 ed. 2007;335(7625):858-61.

39. da Silva Corrêa Dias RI, Maia Barreto JO, Vanni T, Silveira Costa Candido AM, Hentzy Moraes L, Rodrigues Gomes MA. Estratégias para estimular o uso de evidências científicas na tomada de decisão. Cadernos Saúde Coletiva [Internet]. 2015;23(3). Disponible en: https://www.scielo.br/j/cadsc/a/sYHVMfZ33dYsHn85bFrwRQj/abstract/?lang=pt

40. Yonekura T, Quintans JR, Soares CB, Negri Filho AAD. Revisão realista como metodologia para utilização de evidências em políticas de saúde: uma revisão integrativa. Revista da Escola de Enfermagem da USP. 2019;53:e03515.

41. Moher D, Stewart L, Shekelle P. All in the Family: systematic reviews, rapid reviews, scoping reviews, realist reviews, and more. Systematic reviews. 2015/12/24 ed. 2015;4:183.

42. Kantilal K, Hardeman W, Whiteside H, Karapanagiotou E, Small M, Bhattacharya D. Realist review protocol for understanding the real-world barriers and enablers to practitioners implementing self-management support to people living with and beyond cancer. BMJ open. 2020/09/05 ed. 3 de septiembre de 2020;10(9):e037636.

43. Ministerio de Salud de Colombia. Plan Nacional gestion de enfermedades raras. 2024.

44. İNce Ö, Güre MDP. Evaluation of rare diseases policy performance of oecd countries using mcdm methods. Health Policy and Technology. septiembre de 2021;10(3):100537.

45. Instituto Nacional de Salud (INS). Enfermedades huérfanas raras [Internet]. 2024. Disponible en: https://www.ins.gov.co/buscador-eventos/Paginas/Info-Evento.aspx

46. Resolucion 023 de 2023.

47. Ministerio de Salud y Protección Social. Opciones de vida para quienes padecen enfermedad huérfana [Internet]. 2023. Disponible en: https://www.minsalud.gov.co/Paginas/Opciones-de-vida-para-quienes-padecen-Enfermedad-Huerfanas.aspx

48. Congreso de Colombia. Ley 1392 de 2010 [Internet]. Bogotá D.C.; 2010. Disponible en: https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/DE/DIJ/ley-1392-de-2010.pdf

49. Congreso de Colombia. Ley 1438 de 2011 [Internet]. Bogotá D.C.; Disponible en: https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/LEY%201438%20DE%202011.pdf

50. Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 740 de 2024. 2019.

51. Congreso de la República. Ley 1751 del 2015. Ley Estatutaria en Salud [Internet]. 2015 [citado 30 de septiembre de 2024]. Disponible en: https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/Ley%201751%20de%202015.pdf

52. Granger, C, Jorge Enrique Ramos-Forero, Ligia Alba Melo-Becerra, Giselle Tatiana Silva-Samudio. Financiamiento del Sistema de Salud en Colombia: Fuentes y usos [Internet]. BanRepublica; 2023. Disponible en: https://repositorio.banrep.gov.co/server/api/core/bitstreams/1b2e76dc-e3e7-4ef7-bc31-516ad2027d2b/content

53. Lewis J. Fermaglich, Kathleen L. Miller. A comprehensive study of the rare diseases and conditions targeted by orphan drug designations and approvals over the forty years of the Orphan Drug Act. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2023;18:163.

54. Lina Trujillo. El financiamiento por parte de la industria farmacéutica a las organizaciones de pacientes con enfermedades raras: Un uso de la acción de tutela para inducir la demanda de ciertos medicamentos. [Internet] [Tesis de maestría]. [Bogotá]: Universidad Nacional de Colombia; 2018. Disponible en: https://repositorio.unal.edu.co/bitstream/handle/unal/63996/1032451358-2018.pdf

55. Ministerios de Salud y Hacienda. Decreto 2699 de 2007. Bogotá D.C.; 2007.

56. WHO. Health systems financing [Internet]. 2011. Report No.: 5. Disponible en: https://cdn.who.int/media/docs/default-source/service-availability-and-readinessassessment(sara)/related-links-(sara)/who_mbhss_2010_section5_web.pdf?sfvrsn=fbbfb873_3

57. Tractenberg L, Struchiner M. Revisão realista: uma abordagem de síntese de pesquisas para fundamentar a teorização e a prática baseada em evidências. Ciência da Informação. 2011;40(3):425-38.

58. Rycroft-Malone J, McCormack B, Hutchinson AM, DeCorby K, Bucknall TK, Kent B, et al. Realist synthesis: illustrating the method for implementation research. Implement Sci. 2012/04/21 ed. 2012;7:33.

59. JBI. JBI critical appraisal checklist for systematic reviews and research syntheses [Internet]. 2020. (Checklist for systematic reviews and research syntheses). Disponible en: https://jbi.global/critical-appraisal-tools

60. JBI. Critical Appraisal Checklist for Analytical Cross Sectional Studies [Internet]. 2020 p. 1-6. (Critical Appraisal tools for use in JBI Systematic Reviews). Disponible en: https://jbi.global/critical-appraisal-tools

61. O'Brien BC, Harris IB, Beckman TJ, Reed DA, Cook DA. Standards for reporting qualitative research: a synthesis of recommendations. Acad Med. septiembre de 2014;89(9):1245-51.

62. Pan American Health Organization. Immunization Data: Evidence for Action. A Realist Review of What Works to Improve Data Use for Immunization, Evidence from Low- and Middle-Income Countries [Internet]. PATH; 2019. Disponible en: https://iris.paho.org/bitstream/handle/10665.2/50482/9789275120613_spa.pdf

63. Gopalan SS, Das A, Mutasa R. What makes Health Demand-Side Financing Schemes Work in Low-and Middle-Income Countries? A Realist Review. J Public Health Res. 2 de diciembre de 2014;3(3):304.

64. Diamond P, Saez E. The Case for a Progressive Tax: From Basic Research to Policy Recommendations [Internet]. CESifo; 2011. Disponible en: https://EconPapers.repec.org/RePEc:ces:ceswps:_3548

65. Rare Diseases in the Age of Health 2.0 | SpringerLink [Internet]. [citado 14 de noviembre de 2024]. Disponible en: https://link.springer.com/book/10.1007/978-3-642-38643-5

66. Gammie T, Lu CY, Babar ZUD. Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries. PLoS One. 2015;10(10):e0140002.

67. Khosla N, Valdez R. A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries. Intractable Rare Dis Res. noviembre de 2018;7(4):213-22.

68. Morales P, Arnaiz F, Brown W, Burr R. Innovative Funding Models for Treatment of Rare Diseases. A global study of new financing solutions for rare diseases. 2021;1-23.

69. Neez E, Gentilini A, Hutchings A. Addressing unmet needs in extremely rare and paediatric-onset diseases: how the biopharmaceutical innovation model can help identify current issues and find potential solutions. 2021.

70. Strategies for rare diseases: international landscape report. 2021.

71. Cortial L, Nguyen C, Julkowska D, Cocqueel-Tiran F, Moliner AM, Blin O, et al. Managing rare diseases: examples of national approaches in Europe, North America and East Asia. Rare Dis Orphan Drugs J. 2022;1(2):10.

72. Yates N, Hinkel J. The economics of moonshots: Value in rare disease drug development. Clinical Translational Sci. abril de 2022;15(4):809-12.

73. Ng QX, Ong C, Chan KE, Ong TSK, Lim IJX, Tang ASP, et al. Comparative policy analysis of national rare disease funding policies in Australia, Singapore, South Korea, the United Kingdom and the United States: a scoping review. Health Econ Rev. 19 de junio de 2024;14(1):42.

74. Health Information and Quality Authority. Review of national rare disease strategies in selected countries [Internet]. Dublin: HIQA; 2024 p. 1-145. Disponible en: https://www.hiqa.ie/sites/default/files/2024-02/Review-of%20national-rare-disease-strategies-in-selected-countries.pdf

75. Bastías G, Crocco P, Castillo-Laborde C, Cid C, Arguello C, Cifuentes P, et al. Financing options for the treatment of rare diseases in Chile. Santiago de Chile; 2011.

76. Abbas A, Vella Szijj J, Azzopardi LM, Serracino Inglott A. Orphan drug policies in different countries. J Pharm Health Serv Res. 27 de mayo de 2019;jphs.12305.

77. Funding Environment for Rare Diseases in Low and Middle Income Countries: A global study of the health financing context, challenges and opportunities for rare diseases in LMICs. 2021.

78. Wainstock D, Katz A. Advancing rare disease policy in Latin America: a call to action. The Lancet Regional Health - Americas. febrero de 2023;18:100434.

79. Czech M, Baran-Kooiker A, Atikeler K, Demirtshyan M, Gaitova K, Holownia-Voloskova M, et al. A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. Front Public Health. 28 de enero de 2020;7:416.

80. Abdallah K, Claes K, Huys I, Follon L, Calis C, Simoens S. Exploring alternative financing models and early access schemes for orphan drugs: a Belgian case study. Orphanet J Rare Dis. 9 de diciembre de 2022;17(1):429.

81. Fagnan DE, Yang NN, McKew JC, Lo AW. Financing translation: Analysis of the NCATS rare-diseases portfolio. Sci Transl Med [Internet]. 25 de febrero de 2015 [citado 20 de noviembre de 2024];7(276). Disponible en: https://www.science.org/doi/10.1126/scitranslmed.aaa2360

82. Walton SM, Mayorga W, Narváez AR, Chavez MA, Guesguán NC, Durango L, et al. Quantitative revenue estimates and qualitative assessments of innovative fundraising sources for treating rare diseases in Colombia. Journal of Market Access & Health Policy. 31 de diciembre de 2023;11(1):2211868.

83. Li J, Yang L, Zhang Y, Liao H, Ma Y, Sun Q. Rare disease curative care expenditure-financing scheme-health provider-beneficiary group analysis: an empirical study in Sichuan Province, China. Orphanet J Rare Dis. 8 de octubre de 2022;17(1):373.

84. Zelei T, Molnár MJ, Szegedi M, Kaló Z. Systematic review on the evaluation criteria of orphan medicines in Central and Eastern European countries | Orphanet Journal of Rare Diseases | Full Text [Internet]. [citado 19 de noviembre de 2024]. Disponible en: https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-016-0455-6

85. Chan AYL, Chan VKY, Olsson S, Fan M, Jit M, Gong M, et al. Access and Unmet Needs of Orphan Drugs in 194 Countries and 6 Areas: A Global Policy Review With Content Analysis. Value Health. diciembre de 2020;23(12):1580-91.

86. Pearson C, Schapiro L, Pearson SD. The next generation of rare disease drug policy: ensuring both innovation and affordability. J Comp Eff Res. octubre de 2022;11(14):999-1010.

87. Naghdi S, Maleki M, Vatankhah S. Financing of Rare Diseases and Orphan Drugs in A Sanctioned Country: A Qualitative Study. Med J Islam Republ Iran [Internet]. 15 de febrero de 2022 [citado 19 de noviembre de 2024]; Disponible en: https://mjiri.iums.ac.ir/article-1-7933-en.html

88. Nicod E, Whittal A, Drummond M, Facey K. Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2020;(189).

89. Malinowski KP, Kawalec P, Trąbka W, Czech M, Petrova G, Manova M, et al. Reimbursement Legislations and Decision Making for Orphan Drugs in Central and Eastern European Countries. Front Pharmacol. 8 de mayo de 2019;10:487.

90. Pearson C, Schapiro L, Pearson SD. The next generation of rare disease drug policy: ensuring both innovation and affordability. J Comp Eff Res. octubre de 2022;11(14):999-1010.

91. Ho LS, Zhang T, Kwok TCT, Wat KP, Lai FTT, Li S. Financing Orphan Drugs Through a Blockchain-Supported Insurance Model. Front Blockchain. 13 de abril de 2022;5:818807.

92. Building a national strategy for high-cost drugs for rare diseases: a discussion paper for engaging Canadians. Ottawa, Ontario: Health Canada = Santé Canada; 2021.

93. Fellows G, Hollis A. Funding innovation for treatment for rare diseases: adopting a cost-based yardstick approach. Orphanet J Rare Dis. 2013;8(1):180.

94. Khosla N, Valdez R. A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries. IRDR. 30 de noviembre de 2018;7(4):213-22.

95. Czech M, Baran-Kooiker A, Atikeler K, Demirtshyan M, Gaitova K, Holownia-Voloskova M, et al. A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. Front Public Health. 28 de enero de 2020;7:416.

96. Wainstock D, Katz A. Advancing rare disease policy in Latin America: a call to action. The Lancet Regional Health - Americas. febrero de 2023;18:100434.

97. Bennett, Elisabeth E, McWhorter, Rochell R. Opening the Black Box and Searching for Smoking Guns: Process Causality in Qualitative Research. European Journal of Training and Development. 2016;40(8-9):691-718.

98. Yang G, Cintina I, Pariser A, Oehrlein E, Sullivan J, Kennedy A. The national economic burden of rare disease in the United States in 2019. Orphanet Journal of Rare Diseases. 12 de abril de 2022;17(1):163.

99. Claussen Portocarrero G, Gutierrez Aguado A. Socioeconomic characteristics and costs of rare and orphan diseases in Peru, 2019. RFMH. 23 de septiembre de 2021;21(4):710-8.

100. Logviss K, Krievins D, Purvina S. Impact of orphan drugs on Latvian budget. Orphanet J Rare Dis. diciembre de 2016;11(1):59.

101. Zhang X, Zhou T, Zhou J, Zhang D, Yang Y, Pan J. Budget impact analysis of high-priced orphan medicinal products intended for the treatment of rare diseases in China: evidence from a densely populated metropolis of Chengdu. BMC Health Serv Res. 27 de septiembre de 2024;24(1):1123.

102. Lorena Mesa, Kelly Estrada. Guía para el involucramiento de actores en las evaluaciones de tecnología en salud [Internet]. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud -IETS; 2022. Report No.: 1. Disponible en: https://www.iets.org.co/Archivos/Guia_para_el_involucramiento_de_actores.pdf

103. Tapaella E. El mapeo de Actores Claves, documento de trabajo del proyecto Efectos de la biodiversidad funcional sobre procesos ecosistémicos, servicios ecosistémicos y sustentabilidad en las Américas: un abordaje interdisciplinario. 2007;45-45.

104. Esteban Tapaella. El mapeo de actores claves Una herramienta al servicio de la Evaluación Participativa. 3.ª ed. 2023.

105. Braun V, Clarke V. Using thematic analysis in psychology. Qual Res Psychol. enero de 2006;3(2):77-101.

106. Munn Z, Peters MDJ, Stern C, Tufanaru C, McArthur A, Aromataris E. Systematic review or scoping review? Guidance for authors when choosing between a systematic or scoping review approach. BMC Medical Research Methodology. 19 de noviembre de 2018;18(1):143.

107. Dirección de Promoción y Prevención, Subdirección de Enfermedades No Trasmisibles, Grupo Gestión Integrada de la Salud Cardiovascular, Bucal, del Cáncer y otras Condiciones Crónicas – Enfermedades Huérfanas/Raras. Plan Nacional de Gestión para las Enfermedades Huérfanas/Raras. Bogotá D.C.; 2024.

108. Morales P, Arnaiz F, Brown W, Burr R. Modelos innovadores de financiamiento para el tratamiento de enfermedades raras: Un estudio global de nuevas soluciones de financiamiento de enfermedades raras. 2022.

109. Universidad Icesi, Maldonado-Vargas N, Herrera JC, Universidad Icesi, Llorente B, Fundación Anáas, et al. Impuestos a bebidas alcohólicas en Colombia [Internet]. 1.ª ed. Universidad Icesi; 2023 nov [citado 14 de febrero de 2025]. (Universidad Icesi, Maldonado-Vargas N. Políticas en breve). Disponible en: https://repository.icesi.edu.co/biblioteca_digital/handle/10906/108033

110. OECD. Tributación del tabaco en América Latina y el Caribe (versión abreviada): La urgencia de una reforma de los impuestos al tabaco [Internet]. OECD; 2024 [citado 20

de diciembre de 2024]. Disponible en: https://www.oecd.org/es/publications/tributacion-del-tabaco-en-america-latina-y-el-caribe-version-abreviada_8c1c2fbb-es.html

111. Yate J. Adjustment to the calculation risk model of the Capitation Payment Unit considering risk groups in the Health Promotion Entity of the contributory regime. Universidad Nacional de Colombia; 2022.

112. Riascos A, Romero M. El Desempeño de los Modelos de Ajuste de Riesgo en Mercado competitivo de seguros de salud en Colombia. Documentos CEDE, Universidad de los Andes; 2014.

113. Lancheros, J. Ajuste por riesgo para el cálculo de la UPC en Colombia: Ajuste desde las variables de estado de salud para las aseguradas colombianas [Tesis de maestría]. Universidad Santo Tomás; 2019.

114. Dirección de Regulación de Beneficios, Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud. Condiciones de salud para ajuste de riesgo de la UPC y mecanismo de incentivos para el mejoramiento de la calidad y los resultados en salud. Ministerio de Salud y Protección Social; 2022.

115. Asociación Nacional de Instituciones Financieras -ANIF-. Evaluación del Sistema de los Recursos Asociados a la Salud (ESDRAS). Centro de Estudios Económicos; 2022.

116. Ley 1753 de 2015 [Internet]. Disponible en: https://colaboracion.dnp.gov.co/CDT/Normograma/Ley%201753%20de%202015.pdf

117. Plan Nacional de Desarrollo 2022-2026: Colombia, Potencia Mundial de la Vida. Bogotá D.C.: Departamento Nacional de Planeación; 2023.

118. Ministerio de Salud de Argentina. Resolución 263/2019 S.S. SALUD [Internet]. 2019. Disponible en: https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/resolucion_263_2019.pdf

119. Villalobos, M. Compra Conjunta de la Red [Internet]. Ministerio de Salud de Chile; sf. Disponible en: https://redsalud.ssmso.cl/wp-content/uploads/2017/10/PRESENTACION-COMPRAS-CONJUNTAS-JORNADA-BUENAS-PRACTICAS.pdf

120. NICE [Internet]. NICE; [citado 6 de diciembre de 2024]. Managed access - NICE. Disponible en: https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/managed-access

121. Dias, et al CZ. Integrative review of managed entry agreements : chances and limitations. Disponible en: https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32734573/

122. 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. OECD Health Working Papers [Internet]. 19 de diciembre de 2019 [citado 6 de diciembre de 2024]; Disponible en: https://ideas.repec.org//p/oec/elsaad/115-en.html

123. Torres Gómez JP. Acuerdos de acceso administrado: Identificación de elementos dinamizadores y de barrera para su implementación en Colombia y la región [Internet]. [Bogotá D.C.]: Universidad de Bogotá Jorge Tadeo Lozano; 2023. Disponible en: chrome-extension://efaidnbmnnnibpcajpcglclefindmkaj/https://expeditiorepositorio.utadeo.edu.co/bitstream/handle/20.500.12010/31758/Trabajo%20de%20Grado%20V4.pdf?sequence=1&isAllowed=y

124. Dirección de Medicamentos y Tecnologías en Salud Dirección de Regulación, Beneficios Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud. Acuerdos de Acceso Administrado. Modelo Operativo de Implementación. Bogotá D.C.: Ministerio de Salud y Protección Social; 2022.

125. Copete J. Factores clave en la implementación de acuerdos de riesgo compartido en el sector farmacéutico colombiano. [Internet]. Disponible en: https://intellectum.unisabana.edu.co/bitstream/handle/10818/51667/FACTOR~1.PDF?sequence=1&isAllowed=y

126. Rojas, P., & Antoñanzas. Economic analysis of drug policies on antibiotics and risk-sharing contracts [Internet]. Rojas, P., & Antoñanzas, F; 2022. Disponible en: https://dialnet.unirioja.es/servlet/tesis?codigo=305077

127. Pollock, A. Drug deals tie prices to how well patients do [Internet]. The New York Times.; 2009. Disponible en: https://www.nytimes.com/2009/04/23/business/23cigna.html?smid=url-share

128. Keogh, A., Strange, G., McNeil, K., Williams, T., Gabbay, E., Proudman, S., Weintraub, R., Wlodarczyk, J., & Dalton, B. The Bosentan patient registry: Long-term survival in pulmonary arterial hypertension. Internal Medicine Journal. 4(12):834-9.

129. Departamento Nacional de Planeación. Plan Nacional de Desarrollo: Colombia Potencia Mundial de la Vida 2022-2026. 2022;

130. Inteligencia Artificial Minciencias [Internet]. [citado 18 de noviembre de 2024]. Disponible en: https://inteligenciaartificial.minciencias.gov.co/

131. Herrera Eslava AM. Propuesta del listado de medicamentos para enfermedades huérfanas en Colombia. Revista Colombiana de Ciencias Químico-Farmacéuticas [Internet]. 2024 [citado 4 de diciembre de 2024];52(3). Disponible en: https://revistas.unal.edu.co/index.php/rccquifa/article/view/109960

132. Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 946 de 2029. Bogotá D.C.; 2019.

133. Song P, He J, Li F, Jin C. Innovative measures to combat rare diseases in China: The national rare diseases registry system, larger-scale clinical cohort studies, and studies in combination with precision medicine research. Intractable Rare Dis Res. febrero de 2017;6(1):1-5.

134. de Andrés-Nogales F, Cruz E, Calleja MÁ, Delgado O, Gorgas MQ, Espín J, et al. A multi-stakeholder multicriteria decision analysis for the reimbursement of orphan drugs

(FinMHU-MCDA study). Orphanet Journal of Rare Diseases. 26 de abril de 2021;16(1):186.

135. Servicio de Investigación del Parlamento Europeo. Unidad de Prospectiva Científica (STOA). Addressing challenges to European multi- country collaboration models for rare diseases. Panel for the Future of Science and Technology. Brussels; 2024.

136. Fagnan DE, Gromatzky AA, Stein RM, Fernandez JM, Lo AW. Financing drug discovery for orphan diseases. Drug Discovery Today. mayo de 2014;19(5):533-8.

137. Stafinski T, Glennie J, Young A, Menon D. HTA decision-making for drugs for rare diseases: comparison of processes across countries. Orphanet J Rare Dis. diciembre de 2022;17(1):258.

138. Atun R, Silva S, Knaul FM. Innovative financing instruments for global health 2002–15: a systematic analysis. The Lancet Global Health. julio de 2017;5(7):e720-6.

139. Innovative funding models for treatment of rare diseases. A global study of new financing solutions for rare diseases. 2021.

140. De Santis M. Integrated care for healthcare sustainability for patients living with rare diseases. Ann Ist Super Sanita. septiembre de 2019;55(3):276-82.

141. International networks and funding opportunities for research in the field of rare diseases. 2021.

142. Zlatareva A, Tachkov K, Stoicheva M, Georgieva S, Bozhkova MK, Petrova G. Modelling the Financial Framework of the Pharmacotherapy Cost of Rare Diseases with Orphan Medicines—Part II. ME. 2014;05(05):499-505.

143. Decker B, Mlcoch T, Pustovalova A, Dolezal T. Novel approach to decision making for orphan drugs. Int J Technol Assess Health Care. 2023;39(1):e10.

144. Li J, Yang L, Zhang Y, Liao H, Ma Y, Sun Q. Rare disease curative care expenditure-financing scheme-health provider–beneficiary group analysis: an empirical study in Sichuan Province, China. Orphanet J Rare Dis. 8 de octubre de 2022;17(1):373.

145. Bos L. Innovative funding models for rare diseases. En: Rare diseases in the age of health 20. Utrecht; 2014.

146. Mincarone P, Leo CG, Sabina S, Sarriá-Santamera A, Taruscio D, Serrano-Aguilar PG, et al. Reimbursed Price of Orphan Drugs: Current Strategies and Potential Improvements. Public Health Genomics. 2017;20(1):1-8.

147. Stawowczyk E, Malinowski KP, Kawalec P, Bobiński R, Siwiec J, Panteli D, et al. Reimbursement Status and Recommendations Related to Orphan Drugs in European Countries. Front Pharmacol. 27 de noviembre de 2019;10:1279.

148. Crocco P, Arguello C. Report on policy dialogue: financing options for rare diseases in Chile. Santiago de Chile; 2011.

149. Staying ahead: the case for a European Action Plan for Rare Diseases. 2024.

150. Universidad del Bosque - INNOS. Modelos de innovación financiera para el fortalecimiento del sistema de salud en Colombia. Bogotá D.C.; 2024.

151. Mayorga W, Rodríguez A, Cortés N, López D. Fuentes de Financiamiento Innovador para Enfermedades Huérfanas: una Revisión Sistemática de Literatura. Bogotá D.C.; 2022.

152. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS. Manual de participación y deliberación [Internet]. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS; 2014 [citado 15 de febrero de 2024]. Disponible en: http://www.iets.org.co/Archivos/65/Manual Participacion.pdf

153. Mesa L, Estrada K. Guía para el involucramiento de actores en las evaluaciones de tecnología en salud [Internet]. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud -IETS; 2020 [citado 15 de febrero de 2024]. Disponible en: https://www.iets.org.co/Archivos/Guia_para_el_involucramiento_de_actores.pdf

154. Hunger T, Schnell-Inderst P, Sahakyan N, Siebert U. Using expert opinión in health technology assessment: A guideline review. Int J Technol Assess Health Care. enero de 2016;32(3):131-9.

155. EUnetHTA. Stakeholder Involvement Policy: EUnetHTA Joint Action 2010-2012 [Internet]. 2010 [citado 16 de febrero de 2024]. Disponible en: https://www.eunethta.eu/wp-content/uploads/2018/01/EUnetHTA-JA-Stakeholder-Involvement-Policy.pdf

156. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS. Política de Transparencia [Internet]. 2013 [citado 16 de febrero de 2024]. Disponible en: https://www.iets.org.co/Archivos/Pol%C3%ADtica_Transparencia_final.pdf

157. Beltrán E. Implementación de la metodología de identificación y gestión de los conflictos de intereses. Bogotá: Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud -IETS; 2020.

158. Beltrán E. Metodología para identificación y gestión de los conflictos de interés. Fundamentos conceptuales y procedimentales. Bogotá: Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud -IETS; 2020.