

REPORTAJE

(RWE): LA NUEVA ERA DE DATOS SANITARIOS QUE REVOLUCIONARÁ LA VIDA DE LOS PACIENTES

La medición de resultados en salud y su utilización a través de sistemas de inteligencia artificial es cada vez más importante en la toma de decisiones de salud global

La RWE puede ayudar a mejorar el acceso de los pacientes a nuevos fármacos, incrementar la eficacia y la eficiencia de la I+D o identificar las terapias más efectivas

El uso masivo de los datos está cambiando el mundo. La revolución, marcada por la globalización y el uso de la inteligencia artificial, afecta a múltiples sectores y el ámbito sanitario, y en especial el del medicamento, no es una excepción. Los avances tecnológicos en almacenamiento y computación de datos abren un abanico de oportunidades para mejorar la salud y la asistencia sanitaria de la población.

En este entorno se sitúan los datos de vida real (RWD, por las siglas en inglés de real world data). La **Agencia del Medicamento estadounidense** (*Food and Drug Administration* o FDA, por sus siglas en inglés), define los datos en vida real como los referidos al estado de salud de los pacientes y/o a la prestación de servicios sanitarios, que se recopilan de forma rutinaria a partir de una variedad de fuentes, como las historias clínicas electrónicas, los procedimientos de reclamaciones y facturación, los registros de medicamentos y de pacientes, los datos generados por los pacientes incluyendo los aparatos de uso doméstico y los datos recopilados de otras fuentes que pueden informar sobre estados de salud, por ejemplo, de dispositivos móviles.

Por otro lado, la evidencia en vida real (RWE, por las siglas en inglés de *real world evidence*) es el conocimiento derivado del análisis o síntesis de los RWD y ambos conceptos se engloban dentro del llamado big data, que supone la utilización y análisis de grandes cantidades de datos para la toma de decisiones.



UTILIDAD DE LA EVIDENCIA EN LA VIDA REAL

Ya nadie pone en duda —y más tras la pandemia por coronavirus— que la investigación es la piedra angular de la llegada de nuevos medicamentos y, por tanto, de nuevas esperanzas para la mejora de la vida de los pacientes y sus familias. En paralelo a este impulso de la I+D biomédica, los países desarrollados han ido modificando los marcos regulatorios para que los frutos de la investigación clínica lleguen lo antes posible a las personas que la necesitan.

Los ensayos clínicos han sido y siguen siendo el patrón oro (*gold standard*) como fuente de evidencia básica para la autorización de un medicamento por las agencias reguladoras. Pero también, el auge de la inteligencia artificial y la disponibilidad de datos de vida real han generado la oportunidad de complementar los ensayos clínicos con RWE.

Actualmente, esta evidencia en vida real ya se está generando —a través de distintas iniciativas— y es útil, tanto para entender mejor la epidemiología de algunas enfermedades, su progresión o su impacto en pacientes y en sistemas sanitarios, como para monitorizar la efectividad, tolerancia o adherencia de nuevos fármacos, y mejorar la efectividad de los nuevos tratamientos. La evidencia en vida real también se está empleando ya para aumentar el conocimiento sobre el estado de salud de la población o para mejorar la sostenibilidad de los sistemas de salud y optimizar los servicios sanitarios, gracias al uso eficaz y eficiente de los tratamientos y del resto de recursos.



Una de las iniciativas más ambiciosas que se han puesto en marcha en la Unión Europea, es el programa **Darwin EU** (*Data Analysis and Real World Interrogation Network*), de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, según sus siglas en inglés), una plataforma sostenible para acceder y analizar los datos sanitarios de toda la región. De forma similar, **Sentinel** en Estados Unidos, es una iniciativa de análisis de datos de salud electrónicos impulsada por la agencia estadounidense del medicamento (FDA).

El camino está aún en sus inicios pero España, en el lado positivo, se posiciona como uno de los países europeos más avanzados en el campo del uso secundario de datos sanitarios. Así lo reflejaba un estudio realizado por ODI (*Open Data Institute*) en 2021, en colaboración con Roche, sobre **el uso secundario de datos en salud**, que situaba a España como uno de los países con mejor posicionamiento en cuestiones relacionadas con el valor del uso secundario de datos en salud para la innovación, la medicina personalizada y la mejora del diagnóstico. Así mismo, este informe considera a España como uno de los países más activos para mejorar la infraestructura y los ecosistemas de datos y para incorporar el uso de RWD en los sistemas de salud.



SABÍAS QUE...

 **ESPAÑA**

Es uno de los países con mejor posicionamiento en cuestiones relacionadas con el valor del uso secundario de datos en salud para la innovación, la medicina personalizada y la mejora del diagnóstico, según un estudio de *Open Data Institute* en 2021

También es preciso mencionar que existe una necesidad creciente de seguir enriqueciendo los ensayos clínicos, complementándolos con datos de efectividad en vida real a fin de mejorar el conocimiento sobre los **efectos terapéuticos reales** de los nuevos medicamentos y reducir la incertidumbre asociada a los mismos. Desde la perspectiva de quienes adquieren los fármacos, esta evidencia puede ayudar también a mejorar los procesos de evaluación, financiación y fijación de precio de los medicamentos en base a su **aportación real en la vida de los pacientes**.

Esta necesidad es especialmente patente en enfermedades en las que los ensayos clínicos tienen ciertas limitaciones, como pueden ser algunas patologías con pocos pacientes o muy diseminadas, ya sean enfermedades raras o en subgrupos concretos de pacientes como niños, pacientes que sufren varias patologías, etc.

¿CUÁLES PUEDEN SER LOS PRINCIPALES USOS DEL RWD EN EL ÁMBITO DEL MEDICAMENTO?

Complementar la información de los ensayos clínicos.



Reducir la incertidumbre en la evaluación de nuevos medicamentos.



Definir subpoblaciones de pacientes y áreas de efectividad de los fármacos.



Favorecer el desarrollo y definición de guías de práctica clínica.



Reforzar el concepto de value-based medicine.



Aportar información relevante en el procedimiento de precio y reembolso.



Mejorar el acceso a los nuevos medicamentos.



Potenciar la investigación de nuevos fármacos y reducir el coste de la I+D.



Mejorar los procedimientos de farmacovigilancia.



etc.

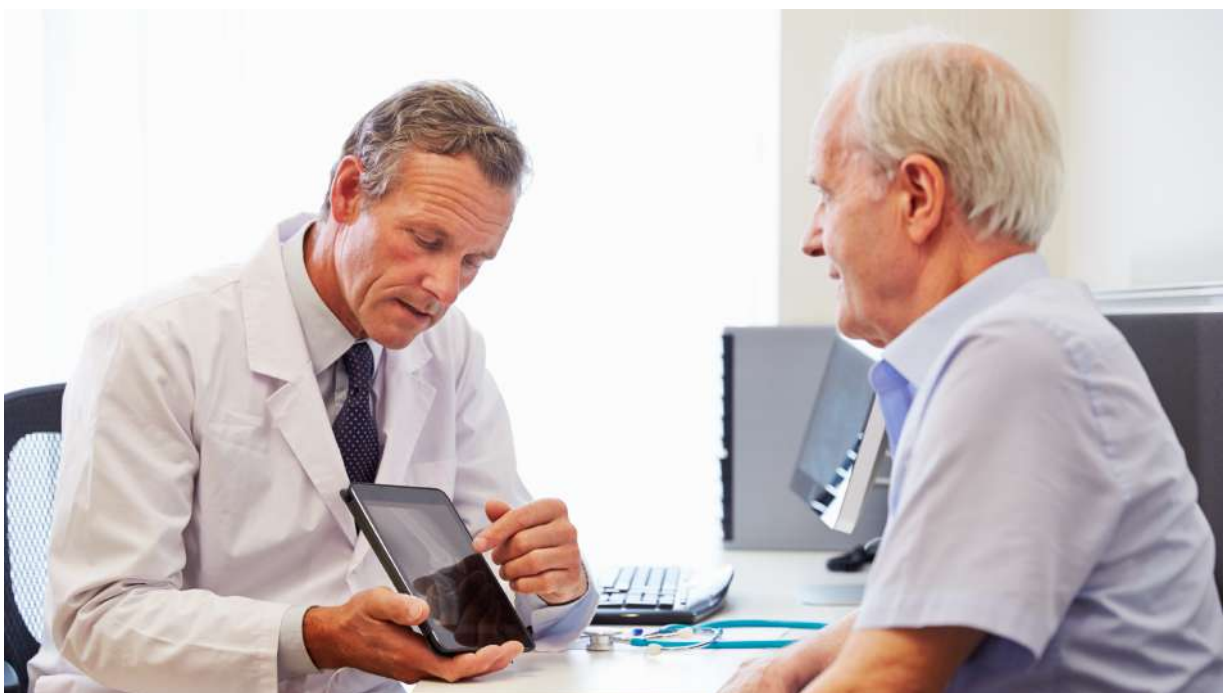


MEJORAS PARA PACIENTES, SANITARIOS, ADMINISTRACIONES, INDUSTRIA...

El potencial de los estudios con datos en vida real para mejorar el acceso de los pacientes a los fármacos innovadores es muy alto, en especial por su utilidad para complementar la evidencia disponible en el caso de medicamentos que reciben una autorización rápida por dirigirse a necesidades médicas no cubiertas.

La **farmacovigilancia**, es decir, la actividad de salud pública que tiene por objetivo la identificación, cuantificación, evaluación y prevención de los riesgos del uso de los medicamentos una vez comercializados, es otra de las grandes oportunidades que ofrece el análisis de datos de vida real. Disponer de **grandes bases de datos actualizadas** y de la capacidad necesaria para su análisis puede ayudar a identificar posibles efectos adversos de medicamentos y actuar frente a ellos de forma más inmediata.

Estos beneficios para los pacientes son extensibles a los profesionales sanitarios. En este sentido, disponer de grandes bases de datos compartidas podría contribuir a la **identificación de aquellos pacientes en los que un determinado tratamiento es más beneficioso**, o incluso para mejorar la prestación sanitaria de la población en un sentido amplio del concepto. La colaboración de los profesionales sanitarios es, además, absolutamente necesaria para diseñar y construir estas bases de datos para que resulten adecuadas para los fines que se pretenden conseguir.



Igualmente, el uso extensivo de datos de vida real y la generación de evidencia a partir de ellos será de una enorme **utilidad para las autoridades sanitarias**, ya que pueden promover un uso más efectivo y eficiente de los recursos sanitarios, crítico para establecer estrategias y políticas prioritarias con la mirada puesta en las necesidades sanitarias de los pacientes.

Por último, para las compañías farmacéuticas, la evidencia en vida real contribuirá, sin duda, a **exponer el valor del medicamento desde una amplia perspectiva social**, al generar información más completa y holística sobre sus efectos, tanto sobre la salud de los pacientes, como sobre otros ámbitos relacionados con la eficiencia del sistema sanitario, con la reducción de otras áreas de gasto o con potenciales mejoras de la productividad. Y también, es muy importante destacar el papel que puede jugar el análisis de datos de vida real, junto con herramientas de inteligencia artificial y de aprendizaje automático para **mejorar tanto la eficacia como la eficiencia de los procesos de I+D+i farmacéutica**.

LOS DESAFÍOS DE LA EVIDENCIA EN VIDA REAL

La evidencia generada a partir de estos datos es muy prometedora, pero su implementación completa aún plantea algunos retos. El principal es asegurar la calidad, validez y replicabilidad de los datos que se puedan emplear para las labores de evaluación de nuevos medicamentos.

Para avanzar en la implementación de la investigación con RWD en el ámbito farmacéutico será importante establecer procedimientos sistemáticos y estructurados que cumplan cinco requisitos:

1

QUE SE ENCUADREN EN MARCOS REGULATORIOS CLAROS

2

QUE GARANTICEN LA CALIDAD DEL DATO

3

QUE AVANCEN EN ESTANDARIZACIÓN DE LOS PROCESOS

4

QUE SEAN INTEROPERABLES EN DISTINTOS ENTORNOS

5

QUE PUEDAN SER ANALIZADOS POR PERSONAS FORMADAS EN CIENCIAS DE DATOS

...como explica el libro *Big data, datos de vida real y evaluación de nuevos medicamentos*, editado por la Fundación Gaspar Casal.



En este sentido, la **Comisión Europea** presentó en mayo de 2020 su propuesta de **reglamento sobre el Espacio Europeo de Datos Sanitarios** con el fin de “liberar todo su potencial”, garantizando “que los datos sanitarios electrónicos sean tan abiertos como sea posible y tan cerrados como sea necesario”. Los tres objetivos de este ecosistema de datos son, en primer lugar, ayudar a las personas a controlar sus propios datos sanitarios; segundo, apoyar su uso para mejorar la prestación de asistencia sanitaria, la investigación, la innovación y la elaboración de políticas, y tercero, permitir a la Unión Europea aprovechar plenamente el potencial que ofrece el intercambio, el uso y la reutilización segura de los datos sanitarios.

Y es que, la **protección de datos** es otro de los objetivos fundamentales sobre los que pivotará la evolución de la RWE. Cuestiones éticas, la formación de los profesionales y el establecimiento de sistemas de recogida de información de la práctica clínica son también grandes desafíos en este campo.

La superación de todos estos retos requiere conseguir la acción conjunta de todos los participantes en el sistema sanitario: pacientes, clínicos, gestores, administración pública e industria farmacéutica. Sobrepasar estos desafíos tendrá una **recompensa muy alta para el conjunto de la sociedad** en forma de mejoras de acceso de los pacientes a las terapias más apropiadas para ellos; promoción de la eficacia y de la eficiencia de los sistemas sanitarios y mejoras en los procesos de I+D farmacéutica y progreso de la innovación.

farmaindustria | Innovamos para las personas