

# Los 'real world data' ganan fuerza como el complemento ideal de los ensayos clínicos

■ La validación de los datos, su integración, el respeto al anonimato y la financiación plantean algunos retos

FRANCISCO ROSA  
Madrid

Si hay una cuestión de moda en el ámbito de la farmacoeconomía esa es, a día de hoy, la de la gestión y utilización de los *real world data* (datos de práctica clínica). Un término que se corresponde, como explicó Jessamy Baird, directora de Real World Evidence de Eli Lilly en Europa, Australia y Canadá, "con todo aquello que excede el ensayo clínico aleatorizado (ECA)". En este grupo habría que meter a los ensayos complementarios de los ECA, los ensayos clínicos pragmáticos, los registros de pacientes, los datos administrativos, las encuestas de salud o las historias clínicas electrónicas, entre otros.

Para los participantes en la presentación del libro *Aportación de los real world data a la mejora de la práctica clínica y del consumo de recursos de los pacientes*, que ha contado con el soporte de la Fundación Gaspar Casal y Lilly, estos constituyen "un complemento necesario" para los ECA, debido, principalmente, a que estos últimos incluyen grupos de población restringidos. Concretamente, uno de los autores de la obra, el director de la Fundación Gaspar Casal, Juan del Llano, señaló que solo aglutinan al 5 por ciento de los pacientes, aunque hay otros expertos que reducen esa cifra al 0,05 por ciento.

Y es precisamente ese *gap* el que está empujando a los distintos agentes del

## Los datos de práctica clínica: un complemento necesario

Principales diferencias entre ensayos clínicos aleatorizados y 'real world data'

Diseño	Ensayos clínicos aleatorizados (ECA)	Real world data (RWD)
Tipo de estudio	Experimental / Intervencionista	Observacional / no intervencionista
Resultados	Eficacia, seguridad y calidad	Efectividad
Población	Restringida	Amplia t sin restricciones
Monitorización	Intensa	No es necesaria
Aleatorización y ciego	Sí	No
Costes	Altos	Más baratos

Fuente: Aportación de los 'real world data' a la mejora de la práctica clínica y del consumo de recursos de los pacientes. Fundación Gaspar Casal, 2014.

El Global

sector, principalmente la administración y las agencias regulatorias, a exigir la verificación de los datos que se obtienen los ensayos aleatorizados para reducir la incertidumbre. De ahí que, por ejemplo, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) haya optado por la implementación de modelos como el *adaptive licensing*, que se traduce en una autorización condicionada para garantizar un acceso rápido mientras las compañías consiguen recolectar datos sobre la efectividad y la seguridad de los medicamentos en la práctica habitual. De ahí también que, cada vez con más frecuencia, los pagadores estén optando por los modelos de pago por resultados, para los que es fundamental la generación de *real world data*.

A este respecto, Baird reconoció que hay algunos países en los que la finan-

ciación de los fármacos depende más de los datos de vida real que en otros. Concretamente, apuntó a Holanda, que ha sido destacada en más de una ocasión por disponer de un sistema bien integrado de registro de información que está siendo utilizado con este fin. Le siguen otros como Francia, Bélgica, los países nórdicos o Alemania. Mientras tanto, España aparece en la mitad de la tabla aunque con una actividad creciente en este sentido.

### La situación de España

Para el subdirector general de Calidad de los Medicamentos y los Productos Sanitarios, Carlos Lens, que participó en el grupo de discusión que enriqueció la obra junto al presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, José Luis Poveda, o la presidenta de la Socie-

dad Española de Farmacología Clínica, Cristina Avendaño, la recolección de estos datos permitirá "conocer mejor qué estamos obteniendo de las nuevas terapias, si estas tenían aristas escondidas o si pueden ser mejorables". En su opinión, los avances en la implantación de la receta y la historia clínica electrónicas y en la interoperabilidad podrían ser aprovechados en este sentido, sin necesidad de desarrollar grandes registros. En todo caso, dijo Lens, lo importante es contar con herramientas "bien validadas y robustas", dado que siempre han existido dudas sobre la calidad de los *real world data*.

El resto de los obstáculos para consolidarlos como complemento válido tienen más que ver con la necesidad de preservar el anonimato de los pacientes, así como de convencer de su utilidad a los profesionales sanitarios. En este sentido, el director Médico de Lilly, José Antonio Sacristán, cree que la concienciación sobre el impacto que estos pueden tener en la mejora de la práctica clínica o en el descubrimiento de necesidades no cubiertas para guiar las futuras investigaciones va a ser un factor clave.

Por último, los expertos aludieron al problema de la financiación. Sobre este particular, tanto Del Llano como José Luis García, subdirector Médico del Hospital Ramón y Cajal y coautor del libro, apostaron por la colaboración público-privada, dado que ambas partes se van a ver beneficiadas.



Con la venia

Jordi Faus  
Abogado y socio de  
Faus & Moliner

La semana pasada se celebró el Curso de Derecho Farmacéutico que anualmente organiza magistralmente la Fundación del Centro de Estudios para el Fomento de la Investigación (CEFI). El interés por el acto, que congregó a más de 150 profesionales demuestra una vez más la importancia que tiene, para el sector, su entorno jurídico. Mi presentación esbozó algunos de los nuevos retos a los que se enfrenta el derecho administrativo, un derecho que en los últimos años ha sufrido una profunda transformación caracterizada, en particular, por ofrecer un apoyo legal más intenso a las garantías de los ciudadanos y las empresas frente a los privilegios de la administración. Así, por ejemplo, han merecido cobertura legal el principio de confianza legítima y de buena fe; se ha incrementado la presión sobre los

funcionarios en el ámbito de la responsabilidad personal; y se han establecido obligaciones en materia de transparencia cuya asimilación no está resultando sencilla.

A pesar de estos avances, la confianza de las empresas en algunas de las administraciones públicas que intervienen en el mundo del medicamento parece estar bajo mínimos. En este sentido, son numerosas las quejas sobre inseguridad jurídica, sobre incumplimiento de plazos, sobre la falta de respeto a las normas en materia de competencia o sobre otros incumplimientos legales; sobre las dificultades para el ejercicio de derechos, incluso sobre el trato que dispensan algunos funcionarios públicos, muy alejado del respeto y cortesía que están legalmente obligados a dispensar a los administra-

¿Dónde está la causa del descontento? Las leyes, el derecho, deben tener parte de culpa; pero me atrevo a

## La lucha por el derecho

decir que será una parte más bien reducida. Normalmente, las quejas no se centran en el contenido de la ley; sino en cómo se interpreta, cómo se aplica o cómo se elude. ¡No son pocas las veces que oímos que la ley puede decir lo que quiera, que luego la realidad es muy distinta! En esta situación, es imposible no plantearse si las administraciones y quienes las integran están preparadas para asumir los cambios; si no se trata, en definitiva, de un problema de recursos y personas.

Hablando de recursos, es obvio que el legislador que impulsa estas reformas debe dotar a las administraciones de los medios necesarios para su puesta en práctica. En cuanto a las personas, los funcionarios, podemos y debemos exigirles trato respetuoso y cortés (la ley nos dice que tenemos derecho a ello), y también renovación. Para hacer frente a los nuevos retos hace falta una renovación de las personas, savia fresca de esa que aportan los

más jóvenes, o un serio reciclaje intelectual de quienes fueron formados y han venido trabajando en un entorno muy distinto al actual.

Para acabar, en lo que respecta a las empresas, y frente a las oportunidades que ofrece actualmente el derecho administrativo, se puede pedir prudencia y rigor. La prudencia en el ejercicio de los derechos es condición necesaria para que la administración no responda con el hermetismo propio de los moluscos, y el rigor es imprescindible para seguir avanzando. **Raquel Ballesteros**, socia del despacho Bird&Bird, con quien tuve el placer de compartir mesa, lo expuso primorosamente recordando una cita de Ihering: el derecho es una lucha, y todos estamos moralmente obligados a combatir las injusticias para proteger no sólo nuestros intereses particulares, sino también al estado derecho.

@FausJordi