

Programa de evidências de mundo real (RWE) do FDA: tomada de decisões regulatórias



Dados de mundo real (RWD) e evidências do mundo real (RWE) estão desempenhando um papel cada vez

maior na tomada de decisões na área da saúde e da pesquisa clínica sendo que o *Food and Drug Administration (FDA)* usa este tipo de dado para monitorar a segurança pós-comercialização e eventos adversos. Em resposta aos requisitos da lei “*21st Century Cures Act*”, aprovada em 2016, que coloca um foco adicional no uso desses tipos de dados para apoiar a tomada de decisões regulatórias, e da sexta lei da “*Prescription Drug User Fee Act*” (PDUFA VI), o FDA está explorando o uso de RWD e RWE na tomada de decisões regulatórias.

Nesse sentido, no final de 2018, o FDA lançou um programa de evidências de mundo real, com o qual propõe orientar a geração de dados em apoio à aprovação de novas indicações ou para ajudar a apoiar os requisitos do estudo de pós-comercialização. Para entender o escopo deste programa, é importante entender a definição de RWD e RWE, conforme definido pela FDA:

- RWD refere-se a dados de pacientes coletados por diversas fontes, como registros eletrônicos de saúde (prontuário eletrônico), reclamações médicas e dados de cobrança, dados de registros de produtos e doenças, dados gerados por pacientes (inclui dados domésticos) usando aplicativos e dispositivos móveis.

- RWE é uma evidência clínica obtida a partir da análise de RWD que fornece informações sobre uso, riscos e benefícios de um produto médico derivado de fontes que não sejam os ensaios clínicos randomizados tradicionais.

O programa é guiado por uma abordagem em três partes: 1) O RWD é adequado para uso? 2) O desenho do estudo ou estudo usado para gerar a RWE fornece evidência científica adequada para responder ou ajudar a responder à questão regulatória de interesse? 3) A condução do estudo atendeu aos requisitos regulamentares da FDA?

Na sequência do lançamento do programa, em maio de 2019 o FDA publicou um guia intitulado “submissão ao FDA de documentos para medicamentos e produtos biológicos usando RWD e RWE”, com o objetivo de incentivar os patrocinadores que estão usando RWD a gerar RWE como parte de um envio regulamentar e assim fornecer informações sobre o uso do RWE em um formato simples e uniforme. Porém, este guia tem gerado discórdia entre as partes interessadas, pois alguns alertam contra o uso de RWD e RWE, enquanto outros incentivam o FDA a expandir o escopo de RWD e RWE.

O avanço desse tema está ganhando espaço no Brasil com a expansão do uso de registros médicos eletrônicos (*Electronic Medical Records – EMR*) e a multiplicação de tecnologias digitais (*Machine Learning*), banco de dados (Big Data) e inteligência artificial, que forneceram novas fontes de dados, bem como métodos mais aprimorados para capturar, armazenar e analisar dados dos pacientes.

Nos dias 03 e 04 de dezembro, a Anvisa, conjuntamente com as comunidades científicas e organizações farmacêuticas, promoveu um encontro para discutir como os dados obtidos a partir de medicamentos já comercializados podem complementar os dados de estudos de segurança e eficácia clínica tradicionais durante processos de renovação de registro ou novas indicações terapêuticas, por exemplo. Dentre os temas discutidos foram apresentadas as vantagens e desvantagens da utilização destes dados e experiências práticas de profissionais.

Sem dúvida alguma, as RWE complementam o conhecimento obtido através dos ensaios clínicos randomizados, preenchendo lacunas que os estudos clínicos não são capazes de completar. Os estudos de mundo real podem avaliar os padrões de

tratamento em uma gama muito mais ampla de desfechos. Informações sobre como os produtos se comportam em um ambiente não controlado fornecem percepções importantes em situações de maior complexidade e eficácia em larga escala, podendo demonstrar dosagem ou subdosagem terapêutica, segurança de efeitos muito raros, suportar necessidade para extensão de licença/renovação para um novo uso, entre outras variáveis que não são elucidadas durante os ensaios clínicos. Por outro lado, apresentam limitações e vieses importantes, quando comparados ao rigor metodológico dos ensaios clínicos, tais como a falta de randomização e falta de controle sobre a qualidade da coleta de dados. Muitas vezes os dados coletados não são estruturados e foram originados das mais diversas fontes, tais como registros eletrônicos de pacientes, mídias sociais, dispositivos pessoais, etc.

MATERIAL PUBLICADO EM DEZEMBRO 2019

Este material foi elaborado pelo Departamento Técnico-Científico da Invitare

Dúvidas ou sugestões? Entre em contato conosco!

 (11) 5581-1019 / (11) 5587-4688



invitare@invitare.com.br