

O uso de dados de mundo real na tomada de decisão: onde estamos no Brasil

The use of real-world data in decision-making: where we are in Brazil

Guilherme Silva Julian¹

Farmacêutico, Mestre em Ciências,
Engagement Manager, IQVIA Brasil,
São Paulo, SP.

Renato Watanabe de Oliveira

Farmacêutico, Mestre em Ciências,
IQVIA Brasil, São Paulo, SP.

Andreas S. Duva

Graduando em Farmácia, IQVIA Brasil,
São Paulo, SP.

Resumo: Estudos do mundo real fornecem evidências mais próximas à prática clínica, complementando às encontradas em ensaios clínicos randomizados e descrevendo como a assistência à saúde chega até os pacientes. Esses estudos permitem avaliar fatores de risco, descrever padrões de doenças e tratamentos na população, avaliar e monitorar os desfechos de saúde, identificar problemas socialmente relevantes, entre outros. O artigo descreve e discute a atual situação do uso de estudos de mundo real para tomada de decisões.

Palavras-chave: Sistema Único de Saúde; Formulação de políticas; Tomada de decisão.

Abstract: Real-world studies provide evidence closer to clinical practice, complementing those found in randomized clinical trials and describing how healthcare reaches patients. These studies allow the evaluation of risk factors, describe patterns of diseases and treatments in the population, evaluate and monitor health outcomes, identify socially relevant problems, and others. The paper describes and discusses the current status of using real-world studies for decision-making

Keywords: Brazilian Public Health System (SUS); Policy making; Decision making.

¹guilherme.julian@iqvia.com

A medicina baseada em evidências se tornou o paradigma da avaliação de tecnologias em saúde. Ensaio clínico randomizado são, atualmente, o padrão-ouro da avaliação de eficácia de uma nova intervenção, por possuírem um ambiente controlado e uma população específica. Porém, como os efeitos observados se traduzem na rotina clínica? Qual o impacto dessas novas tecnologias para a saúde pública? Cada vez mais, essas questões ganham atenção devido à dificuldade em se traduzir os benefícios demonstrados pelos ensaios clínicos para o cotidiano dos pacientes e a complexidade de implantação dessas novas tecnologias à realidade brasileira.

Estudos do mundo real fornecem evidências mais próximas à prática clínica, complementando aquelas encontradas em ensaios clínicos randomizados e descrevendo como a assistência à saúde chega até os pacientes. Permitem avaliar fatores de risco, descrever padrões de doenças e tratamentos na população, avaliar e monitorar os desfechos de saúde, identificar problemas socialmente relevantes, entre outros.¹ Por essas características, são ferramentas essenciais para a avaliação de estratégias terapêuticas a serem incorporadas no sistema de saúde² e, também, na construção de políticas de saúde pública baseada em evidências.

Atualmente, agências regulatórias já reconhecem a importância desse nível de evidência em determinadas avaliações de tecnologias em saúde, possuindo diretrizes específicas para seu uso.³ Com a evolução de métodos de análise e a adoção de tecnologias que permitem melhor geração e processamento de dados, há uma tendência de que esses estudos se tornem cada vez mais relevantes para a tomada de decisão. Por exemplo, a agência europeia de vigilância sanitária de medicamentos (EMA) adicionou o aprimoramento de análises de mundo real e sua utilização como um dos objetivos de desenvolvimento para os próximos cinco anos.⁴

Embora os países emergentes tenham crescente importância no cenário econômico global, sua participação na pesquisa epidemiológica permanece insuficiente. No Brasil, o ecossistema da saúde reflete seu cenário socioeconômico heterogêneo e complexo, o que torna ainda mais relevante, e ao mesmo tempo desafiadora, a geração de evidências de mundo real. No atual cenário, o desenvolvimento desse tipo de

evidência ainda é prematuro, principalmente pela ausência de políticas de incentivo, escassez de financiamento e pouco desenvolvimento científico na área. Conseqüentemente, em diversas situações, gestores de todas as esferas de governo tomam decisões com base em dados imprecisos, que não refletem a realidade local. Por exemplo, modelos farmacoeconômicos são frequentemente importados de países desenvolvidos e extrapolados para a região, levando a decisões de incorporação de tecnologias em saúde aquém do ideal.

No Brasil, diversos estudos demonstram a pequena influência de estudos epidemiológicos no planejamento de políticas de saúde pública.⁵⁻⁷ Por este motivo, é possível afirmar que as evidências coletadas em cenários ideais e distantes, como o dos estudos clínicos controlados internacionais, muitas vezes não apoiam da melhor maneira o processo de tomada de decisão. Esse cenário se torna ainda mais delicado no ecossistema de saúde brasileiro onde, além de não haver espaço para erros clínicos, também há pouca margem para erros de gestão e alocação de recursos.

Para o paciente e o médico, as diferenças entre a população estudada e o paciente real podem levar a variações na resposta ao tratamento, diminuindo sua efetividade e qualidade, aumentando os custos no seu manejo, e, até mesmo, influenciando negativamente o tempo de vida do paciente.

Em um estudo utilizando bases do Departamento de Informática do SUS (DataSUS) para descrever o perfil de tratamento e os aspectos clínicos de pacientes com carcinoma de células renais, foi observado que menos da metade dos pacientes (44,5%) foram tratados com apropriadas terapias-alvo em primeira linha. Além disso, 26,2% dos pacientes foram tratados, em todas as linhas de tratamento, apenas com quimioterapia, que possui baixa eficácia para esses pacientes.⁸ Estudos como este mostram as dificuldades no acesso a medicamentos de melhor eficácia, o que pode gerar desperdício de recursos e diminuição da qualidade e tempo de vida dos pacientes.

Além dos aspectos clínicos, os estudos de mundo real também ajudam a elucidar o manejo e a avaliação do uso de recursos. Os pagadores, pressionados com a constante escalada no custo de utilização de tratamentos inovadores, enfrentam uma necessidade cada vez maior de racionalizar os seus investimen-

tos. Porém, a escassez de estudos de mundo real impede que essa avaliação seja feita de maneira adequada e, muitas vezes, evidências clínicas em ambiente controlado são utilizadas para a tomada de decisão. Consequentemente, as análises com essas evidências acabam aumentando a incerteza e a imprevisibilidade à qual esses pagadores estão submetidos.

Um exemplo de como a falta de evidências de mundo real tem impacto no processo de tomada de decisão é o cálculo de impacto orçamentário para a incorporação do Eculizumabe para hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) conduzido pela Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde.⁹ Devido à falta de evidências sobre o tamanho da população de pacientes no Brasil, sua dispersão e velocidade com a qual o tratamento seria adotado, foram apresentados cenários cujo o impacto orçamentário, em cinco anos, variava entre 800 milhões e 10 bilhões de reais. Este exemplo deixa claro, pela amplitude dos resultados, que esse é um cenário de grande incerteza e imprevisibilidade, onde estudos de mundo real poderiam ajudar a dar mais robustez às principais premissas da análise.

Novamente, o DataSUS se apresenta como uma ferramenta importante para esse contexto. Ainda que a sua característica de base de dados de transações médicas faça com que os dados para doenças sem tratamentos ofertados, como no caso da HPN, sejam escassos, esse é um ativo de dados muito importante e que apresenta dados para outras doenças raras que podem ser utilizadas como referência para a tomada de decisão.

Os casos descritos demonstram a importância da utilização de estudos de mundo real na tomada de decisão, tanto para o aspecto clínico quanto para as políticas públicas, frente à necessidade e urgência, em nosso meio, em desenvolver estudos de mundo real para tomar decisões mais apropriadas.

Referências

1. Sherman RE, Anderson SA, Dal Pan GJ, Gray GW, Gross T, Hunter NL *et al.* Real-world evidence – what is it and what can it tell us? *N Engl J Med*, 2016; 375(23):2293-2297.
2. Barata RB. Epidemiologia e políticas públicas. *Rev Bras Epidemiol*, 2013; 16:3-17.

3. Food and Drug Administration (FDA). Framework for FDA's Real World Evidence Program. In: FDA. FDA Publication. Nova Jersey: FDA, 2018.
4. Philip AH, Richard HG, Humphreys AJ, Papatuca-Amati, M. The European Medicines Agency's goals for regulatory science to 2025. In: Kirkpatrick, P (ed). *Drug Discovery*. Londres: Nature Reviews, 2019.
5. Castiel LD, Rivera FJU. Planejamento em saúde e epidemiologia no Brasil: casamento ou divórcio? *Cad Saúde Pública*, 1985; 1:447-456.
6. Teixeira CF. Epidemiologia e planejamento de saúde. *Ciência & Saúde Coletiva*. 1999;4:287-303.
7. Malta M, Cardoso LO, Bastos FI, Magnanini MMF, Silva CMFP. Iniciativa STROBE: subsídios para a comunicação de estudos observacionais. *Rev Saúde Pública*, 2010;44:559-65.
8. Julian GS, Izelli A, Castilho G, Neusquen L, Ballalai Ferraz A.F. Disparidades no tratamento do carcinoma de células renais no SUS: padrões de tratamento, uso de recursos e custos relacionados ao tratamento. VI Fórum Brasileiro sobre Assistência Farmacêutica e Farmacoeconomia; Salvador, BA, 2018.
9. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). Eculizumabe para tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Brasília: Ministério da Saúde, 2018.

Recebido em 19 / 04 / 2019.

Aceito para publicação em 04 / 09 / 2019.