

A³ ACTIVIDADES DE ADVOCACY EN ACCIÓN

LA CUESTIÓN DE LOS DATOS

CASOS DE ADVOCACY BASADOS EN LA
EVIDENCIA DE AQUELLOS QUE UTILIZAN Y
GENERAN DATOS

CONSEJOS Y RECURSOS PARA
ACELERAR EL USO DE EVIDENCIAS



Global Oncology Advocacy Leaders
COLABORAR | INNOVAR | APOYAR

DATOS Y ADVOCACY EL TIEMPO ES AHORA

La toma de decisiones basada en evidencia está en el centro de la política de salud. Los responsables de la toma de decisiones necesitan la evidencia para realizar cambios en el status quo y los *advocates* a menudo lideran el camino en el desarrollo, uso y presentación de esta evidencia.

Los días en que los pacientes eran participantes pasivos de la investigación ya se terminaron. Cada vez más, los grupos de *advocacy* ocupan un lugar central en el desarrollo conjunto de enfoques que generan la evidencia necesaria para apoyar la toma de decisiones. Esto está aportando una nueva dimensión que los reguladores, pagadores, industria y los sistemas de salud locales consideran al tomar sus decisiones.

En este documento, examinaremos seis casos de estudio muy diferentes que exploran la forma en que los *advocates* lideran el camino. Estos casos se han escrito para descubrir los procesos de pensamiento detrás de la decisión de seguir un camino en particular y, cuando sea posible, se han incluido detalles de algunos de los pasos generales para brindarle una guía del proceso elegido.

Algunos de estos casos están basados en el uso de datos que ya existen. Esta es una consideración importante. Con demasiada frecuencia, se han gastado recursos generando datos ocultos o perdidos detrás de sitios web complicados. Los *advocates* a menudo pueden ver el valor de esta información y tienen las habilidades para poder presentarla de manera que otros puedan usarla. Por lo tanto, tener un impacto no siempre significa generar sus propios datos. Sin embargo, es esencial tener claro cuáles son sus objetivos y cómo los datos y la evidencia pueden respaldar sus metas.

Tenemos dos casos muy diferentes que discuten el papel de las organizaciones de pacientes mayores. Cada vez más, los



LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. Cada ejemplo que se muestra en este documento A³ tendrá una gama de consejos para considerarse al pensar en un enfoque similar.

desafíos de resolver los problemas de salud actuales requieren que muchos interesados diferentes trabajen juntos. Es por eso que estos enfoques son cada vez más comunes. Estar involucrado en una alianza mayor puede ayudar a mejorar una organización en una nueva área, o puede ayudar a alcanzar los objetivos de la política con el apoyo de muchas otras esferas.

También tenemos varios casos que discuten el uso de registros de pacientes para generar o utilizar los datos necesarios. En un caso, mostramos cómo el uso de un registro de pacientes puede influir en la decisión sobre el acceso a los tratamientos. En este caso, el registro ya existía y el caso detalla cómo la organización del paciente usó la información de una manera enfocada. En el segundo caso de registro, escuchamos cómo los grupos de *advocates* están bien posicionados para detectar los desafíos y las preguntas sin respuesta que plantea un cáncer raro. Aquí, la organización se ha embarcado en un ambicioso proyecto para desarrollar un registro de pacientes completamente nuevo.

También hay casos que exploran el cambio de la política de salud reuniendo evidencia para causar mayor impacto en las leyes.

Seis casos no son suficientes para describir la amplitud y el alcance de la participación de *advocacy* con datos y evidencia. Estos deben considerarse como 'catadores' que demuestran solo algunas de las posibilidades.

Hacia el final de este documento A³, hay un par de páginas rápidas de 'cómo empezar'. Ellas han sido escritas para aquellos de ustedes que están empezando este viaje y contienen consejos sobre cómo escribir una encuesta y algunas pautas sobre cómo participar en una alianza de este tipo.

Finalmente, la sección de recursos al final de este libro proporciona enlaces a información de antecedentes o iniciativas que les pueden ser útiles. Un agradecimiento especial para todos los miembros de GOAL (Global Oncology Advocacy Leaders), quienes han hecho posible este libro.



Cada una de las experiencias en este documento A³ señalará algunas herramientas, guías o explicaciones independientes que puedan ayudar a otros *advocates* a empezar o aprender más sobre el uso de los datos. Buscar este ícono para ver las herramientas relevantes en la parte posterior de este documento.

La participación de los advocates en este documento no es vinculante, es voluntaria y no remunerada. Bristol Myers Squibb (BMS) brindó apoyo financiero para la redacción, edición e impresión de esta publicación. BMS no proporcionó ninguna remuneración a ninguno de los advocates ni a sus organizaciones representativas por su participación. El contenido del documento final refleja las entrevistas realizadas con los advocates, que tuvieron control editorial completo sobre los artículos finales.

CREAR UN **ATLAS GLOBAL DE DATOS** EN LA COALICIÓN GLOBAL DEL CÁNCER DE PULMÓN

Jesme Fox de la *Global Lung Cancer Coalition (GLCC - Alianza Global Contra el Cáncer de Pulmón)* y de la *Roy Castle Lung Cancer Foundation* explican cómo hacer que los datos existentes sean accesibles puede crear un recurso que los *advocates* y profesionales de salud puedan utilizar para abogar por una mejor atención y un cambio de las políticas públicas.

Se necesita evidencia para configurar las políticas públicas, y tal vez una de las formas más útiles de evidencia es la que muestra las diferencias entre los resultados que los pacientes pueden esperar entre un país y otro. Puede utilizarse para abogar por más recursos, cambios en los modelos de atención o implementación de nuevas políticas. Esa es la idea detrás del 'Global Lung Cancer e-Atlas' de la Alianza Global Contra el Cáncer de Pulmón. Jesme Fox, directora médica de la *Roy Castle Lung Cancer Foundation* y secretaria de la GLCC explica el proceso de desarrollo del atlas.

"Sabíamos que este tipo de datos de comparación puede ser extremadamente poderoso ya que nos permite hacer preguntas importantes sobre las diferencias que vemos en las tasas de supervivencia, los resultados y otras medidas de un lugar a otro", explica Jesme.

Esta no era la primera vez que Jesme había estado involucrada en un proyecto como este. En el Reino Unido, la *Roy Castle Lung Cancer Foundation* utilizó información de auditoría disponible públicamente para desarrollar un documento similar que mapeó los resultados y las medidas que la Auditoría Nacional del Cáncer de Pulmón del Reino Unido había estado recolectando. "Una de las lecciones clave que aprendimos a través de este proceso es que hay muchos datos valiosos por ahí", explica Jesme. "No siempre es necesario generar tus propios datos".

En el Reino Unido, la Auditoría Nacional del Cáncer de Pulmón recopila una variedad de datos sobre la atención de personas con cáncer de pulmón y el 'Smart Map' (Mapa Inteligente) extrae esos datos en un mapa para que las personas puedan ver las cifras de su propia región del Reino Unido. El desafío

con esta información de auditoría fue que no muchas personas sabían de su existencia, y no se presentaba en un formato que las personas puedan usar y compartir fácilmente. "Uno de los objetivos que teníamos con el proyecto del Reino Unido era hacer que los datos fueran más visibles y fáciles de usar para que las personas pudieran comparar las regiones del Reino Unido", dice Jesme.

No son solo pacientes y *advocates* quienes se benefician de este enfoque. "Muchos profesionales de salud usan Smart Map y e-Atlas porque es mucho más fácil extraer los datos de nuestro documento que de las fuentes originales", dice Jesme. "El e-Atlas ha sido diseñado para hacer la comparación entre países muy fácil e incluso la exporta directamente en diapositivas, por lo que es simple para las personas utilizarlos datos en sus presentaciones en conferencias y otros eventos".

Cuando la GLCC comenzó a pensar acerca de la necesidad de una herramienta global para permitir las comparaciones, el equipo sospechó que los datos ya estarían disponibles en el dominio público. "Sabíamos que habría diferencias en las tasas de supervivencia de un país a otro, pero también queríamos mostrar otras medidas que ayudarían a *advocacy*, como la implementación de políticas y registros que enseñasen el compromiso de los gobiernos y los sistemas de salud. Entonces, sabíamos que nuestro primer paso sería ver qué datos había disponibles", dice Jesme.

Entonces, ¿cómo una organización de *advocacy* comienza un proyecto como este? "Lo primero es darse cuenta de que no tenemos la capacidad y los recursos para hacerlo nosotros mismos", explica Jesme. "El e-Atlas GLCC es enorme. Existe



una gran cantidad de datos, pero necesitamos que alguien realmente audite esos datos y encuentre las medidas comunes en los datos que nos permitan comparar un país con otro".

Reconociendo que se necesitaba ayuda externa, la GLCC encargó a una agencia especializada para proyectar la gestión del desarrollo y realizara la auditoría de los datos disponibles. "La agencia realizó una búsqueda masiva para ver qué datos estaban disponibles, y luego nosotros en la GLCC pudimos decidir qué entraría realmente en el e-Atlas", dice Jesme. Por ejemplo, se incluyeron datos de mortalidad para todos los países y también se incluyeron los datos de supervivencia disponibles.

La GLCC buscaba más que solo datos de resultados clínicos. También querían incluir información sobre cuestiones y recursos relacionados con las políticas, así como la información sobre planes y registros nacionales de cáncer y si un país había implementado el Convenio marco para el Control del Tabaco de la OMS. "Este tipo de información es una palanca que los *advocates* pueden usar preguntándole a sus gobiernos por qué no hay un registro de cáncer o por qué no hay un plan de

Continúa en la página siguiente...

LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. Buscar los datos existentes antes de decidir generar sus propios datos
2. Utilizar agencias externas de especialistas para realizar las auditorías bajo su dirección
3. Dedicar tiempo antes de cerrar las comparaciones deseadas y la funcionalidad necesaria
4. No olvidarse de planificar actualizaciones regulares de los datos y la funcionalidad de la herramienta

1

Alianza Global Contra el Cáncer de Pulmón – e-Atlas

2

Roy Castle Lung Cancer Foundation – Smart Map

cáncer implementado en el país”, explica Jesme. Entonces, los miembros de la GLCC comenzaron a recopilar este tipo de información para agregar al e-Atlas.

Una vez que se recopilaron los datos, podría empezarse a trabajar en la construcción del mapa interactivo. Esta fue una gran tarea y una vez más, la GLCC se dio cuenta de que necesitaría ayuda experta. “Encontramos diseñadores web que podrían construir esto y luego una agencia que podría importar todos los datos en un formato que funcionaría”, explica Jesme.

Este proceso no estuvo exento de dificultades. “La idea de poder comparar países en el e-Atlas parecía una tarea fácil y fue una idea que tuvimos durante el desarrollo del proyecto”, dice Jesme, “pero fue difícil de implementar y porque no habíamos pensado en esto desde el principio, significaba que los datos tenían que reformatearse para que esto funcionase”.

Otra función que resultó difícil de implementar fue exportar los datos en diapositivas. “Descubrimos que era relativamente fácil generar gráficos a partir de los datos, pero que era mucho más complejo convertirlos automáticamente en diapositivas, y sin embargo sabíamos que esta era una función que la gente quería”.

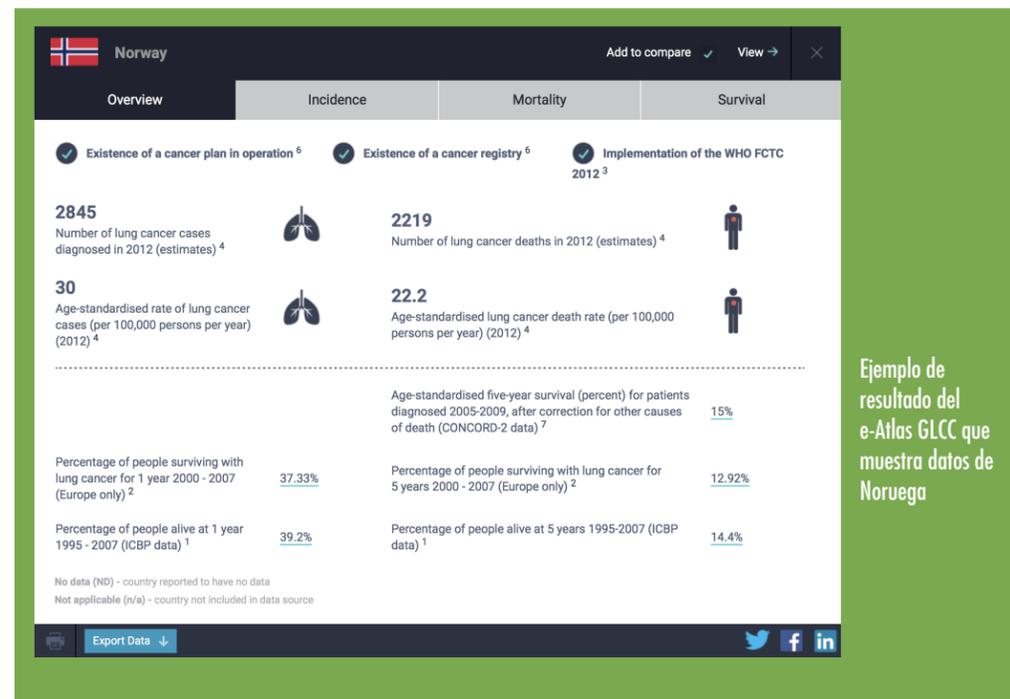
Con los datos y la funcionalidad desarrollados, la tarea final antes de lanzar la herramienta sería alojarlo en el sitio web de la GLCC. “El e-Atlas es enorme en términos de recursos que se encuentran detrás de él, y en realidad tuvimos que reconstruir el sitio web de la GLCC para que pudiera hacer frente a eso”.

Al trabajar estrechamente con los expertos y las agencias que estaban construyendo el recurso, la GLCC logró implementar toda la funcionalidad que ellos querían, pero fue una lección de la cual Jesme piensa que otros deberían aprender. “Si estuviéramos haciendo esto de nuevo, creo que pasaríamos más tiempo en el comienzo siendo muy claros en las comparaciones que quisiéramos ver en la herramienta final y la funcionalidad que desearíamos tener. De esa forma, habríamos evitado algunos de los cambios necesarios durante la construcción real”.

La consideración final que Jesme considera importante tener en cuenta es que estos tipos de recursos solo son útiles si se actualizan con los datos más recientes. “Este es un grande esfuerzo y debe tenerse en cuenta en nuestros planes de trabajo”, dice ella. “Para el e-Atlas, estos están basados en grandes conjuntos de datos internacionales y sabemos que algunos de ellos se están actualizando este año. Entonces, debemos planificar y asignar recursos”.

Al trabajar juntos en todas las organizaciones miembros de la GLCC, el e-Atlas ha sido desarrollado y lanzado en un año. “Este fue un verdadero logro para nosotros”, dice Jesme. “Y fue fundamental contar con los participantes adecuados en términos de las agencias que podrían auditar los datos y construir la herramienta del sitio web, no podríamos haber hecho esto sin ellos. Tenemos nuestros trabajos diarios y simplemente no podríamos haberlo logrado nosotros mismos”. Jesme estima que el costo para crear el e-atlas fue de alrededor de €90,000 (US\$100,000).

Ejemplo de resultado del e-Atlas GLCC que muestra datos de Noruega



ANÁLISIS DE NORMALIZACIÓN DE INVESTIGACIÓN DE RESULTADOS DEL PACIENTE

Los Resultados Informados por el Paciente (PROs) se han convertido en una parte estándar de los ensayos clínicos, pero la forma en que se analizan los datos de los PROs puede afectar los resultados de las pruebas. Para abordar este problema, la Organización Europea para la Investigación y el Tratamiento del Cáncer (EORTC - Organización Europea para la Investigación y el Tratamiento del Cáncer) creó una coalición de múltiples partes interesadas para hacer recomendaciones sobre la normalización de estos procesos. Kathy Oliver de International Brain Tumor Alliance (IBTA) y Andrew Bottomley y Madeline Pe de EORTC explican por qué se necesita un enfoque estándar y cómo la participación de advocacy ha ayudado.

Los Resultados Informados por el Paciente (PROs) se han convertido en una herramienta importante para comprender el impacto de la enfermedad y sus tratamientos en los pacientes. Mediante el uso de los PROs, los pacientes, médicos y sistemas de atención médica pueden medir el impacto relativo de los diferentes enfoques de atención en el funcionamiento, síntomas y calidad de vida del paciente. Muchas herramientas PROs estándar están disponibles para recopilar estos datos, pero al final de una prueba, es trabajo de los estadísticos analizar e interpretar estos datos crudos. Es en este proceso que los de EORTC empezaron a preocuparse, porque, hasta el momento, no existe un método estándar internacional para analizar los resultados de estas diferentes herramientas PROs.

“Hemos llevado a cabo cientos de ensayos clínicos a lo largo de los años”, dice Andrew Bottomley, Director Asistente y Jefe

del Departamento de Calidad de Vida en EORTC. “Cuando publicamos los resultados de estos ensayos, a menudo la revista nos pide que modifiquemos la forma en que hemos analizado los resultados de los PROs. Esto estaba poniendo a nuestros estadísticos nerviosos, ya que saben que esto puede afectar los resultados. Fue cuando vimos dos estudios muy similares para un mismo cáncer que tenían la misma población, las mismas medidas PROs, en el mismo marco de tiempo, pero con resultados diferentes, que nos dimos cuenta de que la única diferencia importante entre esos estudios era el métodos de análisis que utilizan”.

“Es por eso que la idea de normalizar los métodos de análisis se convirtió en un tema tan candente dentro de nuestra organización”, explica Madeline Pe de EORTC. “Pero lo que sabíamos desde el principio era que necesitaríamos múltiples disciplinas y interesados para unirnos y trabajar en esto, y

Continúa en la página siguiente...

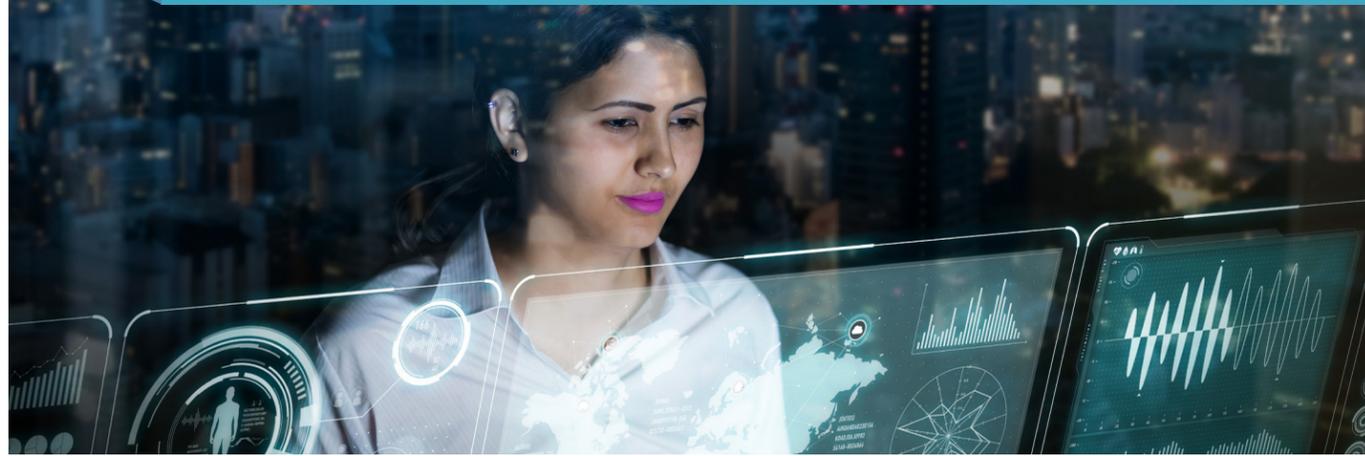


Recursos de información PROlearn sobre PROs

3

Documento revisado por pares: Analizar datos de conclusiones de PRO y CdV para ensayos clínicos sobre cáncer: un comienzo para establecer estándares internacionales

4



también sabíamos que esto debía incluir a aquellos de la comunidad de *advocacy* del paciente con cáncer. Es por eso que contactamos a Kathy Oliver de IBTA, así como a otros grupos”, dice Madeline.

“El proyecto se llama ‘Estableciendo Estándares Internacionales en el Análisis de los Resultados Informados por los Pacientes y los Datos de los Criterios de Valoración de Calidad de Vida para los Ensayos Clínicos sobre el Cáncer’ (SISAQOL)”, dice Kathy Oliver de IBTA. “En 2016, cuando la EORTC se me acercó por primera vez, me intrigaba saber más”.

Instintivamente, Kathy se dio cuenta de que este era un proyecto importante, en parte debido al alto nivel de miembros que ya estaban involucrados. “Los PROs son una parte crucial de la evidencia de que nosotros, como *advocates*, apoyamos fuertemente, y pude decir por parte de los miembros en este proyecto que este sería un grupo que solo podría reunirse para algo de gran importancia, y por eso me uní, sabiendo que estaba a punto de emprender una curva pronunciada de aprendizaje, ya que no soy una estadística”.

“Después de la primera reunión, realmente ví por qué nosotros, como *advocates*, siempre debemos estar involucrados en este tipo de proyectos”, agrega Kathy. “Cuando se analizan las pruebas de calidad de vida y los resultados informados por los pacientes, y para obtener las respuestas más precisas y sólidas de los ensayos clínicos, es esencial poder comparar los resultados de un ensayo clínico con los de otro. Sin embargo, la falta de estándares para analizar este tipo de datos hace que esto sea muy difícil”.

Kathy empezó a reflexionar sobre todas las formas en que la calidad de vida y los datos PRO pueden afectar la forma en que se interpretan y utilizan los datos clínicos. “La evidencia

de PRO y de calidad de vida afecta nuestra capacidad para comparar diferentes enfoques. Puede afectar la identificación de tratamientos particulares. Ciertamente puede tener un impacto en las orientaciones clínicas y la política de salud”, dice Kathy,” así que empecé a darme cuenta de lo importante que es trabajar juntos para crear enfoques estándar”.

Sin duda, trabajar en un proyecto que trata básicamente de métodos estadísticos complejos ¿sería desalentador para un *advocate*? “Aunque admiro a los estadísticos, la experiencia no ha sido intimidante”, explica Kathy. “La gente de EORTC como Madeline y Andrew han me dedicado tanto tiempo y atención para ayudar a comprender algunos de estos problemas tan complejos”.

Estar involucrado en el proyecto ha ayudado a Kathy a ilustrar donde ella estaba agregando valor. “Haría preguntas como ‘¿cómo esto afecta a la comunidad de pacientes?’ o ‘¿puedes explicar eso en un lenguaje sencillo para que los pacientes puedan entender lo que quieres decir?’”. Estas preguntas ayudaron a enfocar los resultados y alentaron al grupo a reflexionar sobre cómo se comunica el problema y los resultados a la comunidad en general.

Desde el punto de vista de EORTC, la participación de los *advocates*, como Kathy, ha proporcionado un valor real. “Sabíamos desde el principio que necesitábamos capturar la voz del paciente en lo que estábamos haciendo, y nos pusimos en contacto con Kathy y otros grupos para hacer esto. Kathy comprendió de inmediato el valor del proyecto y la necesidad de atraer a la comunidad de pacientes. En particular, siempre tenemos que ser muy claros en la pregunta que estamos haciendo, en la hipótesis de nuestra investigación. Kathy pudo brindarnos una perspectiva clara de esto”, dice Andrew.

“Esto comienza con preguntas realmente buenas y claras, y desafiándose unos a otros sobre cuáles deberían ser nuestros objetivos”, dice Madeline. “Esta es un área donde Kathy ha sido de gran ayuda. Por ejemplo, desarrollamos una clasificación de conceptos para nuestros objetivos de investigación. Llamamos a esto una taxonomía. No podemos hacer esto sin primero entender cuál es la perspectiva del paciente. Por ejemplo, ¿cómo definiría un paciente una mejora en su condición? Es importante que hayamos entendido esto dentro del proyecto”.

Kathy también descubrió ideas del proyecto que serían muy útiles para llevar a la comunidad de pacientes. “A través de la participación en la iniciativa SISAQOL, comprendí la importancia de reducir los datos faltantes en los cuestionarios PRO y de calidad de vida. Cuanto más aprendo acerca de cómo estos datos faltantes pueden afectar los resultados del estudio, más me doy cuenta de que la comunidad de pacientes debe estar consciente y tomar medidas para minimizar esto”, dice Kathy.

“En respuesta a este reto, Madeline Pe de EORTC y el Profesor de Bioestadística y Oncología, Jeff Sloan, (Clínica Mayo) crearon un taller para la Cumbre Bienal Mundial de IBTA de *Advocates* de Pacientes con Tumor Cerebral el pasado mes de octubre en Londres”, dice Kathy.

Ejecutar un simulacro de ensayo clínico para los participantes de la Cumbre permitió a los *advocates* ‘experimentar’ la participación en un ensayo y permitió a Madeline y Jeff resaltar los retos de la falta de datos en las herramientas PRO al simular una finalización muy apresurada de un cuestionario de calidad de vida. Esto permitió a los participantes explorar el tema de los datos faltantes y condujo a discusiones sobre cómo los *advocates* pueden ayudar involucrándose en el diseño y la implementación de ensayos clínicos.

“La participación del paciente en nuestro trabajo llegó para quedarse”, dice Andrew. “Ya es hora de que los pacientes tengan voz. Personas como Kathy pueden decir que ‘estás equivocado’ y hemos tenido esa discusión y obtuvimos un

LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. Antes de unirse a un proyecto, es necesario ver quién más está involucrado para tener una idea de con quién trabajará
2. No tener miedo de hacer preguntas básicas; si no sabe lo que significa algo, entonces la mayoría de los pacientes tampoco
3. Este no es un diálogo de una sola dirección; llevar el conocimiento que se obtiene de regreso a su comunidad de pacientes

poco de sabiduría con eso. Necesitamos la mayor cantidad de personas involucradas. Precisamos demostrar que tenemos pacientes involucrados desde el comienzo”.

Hasta ahora, el proyecto está a tres cuartos del camino y el trabajo ha revelado que se necesita hacer mucho más. “Nuestro objetivo es terminar el trabajo clave para septiembre de este año en el que ratificaremos nuestras recomendaciones”, dice Andrew, “pero queremos ir mucho más allá”.

El plan es obtener fondos para la próxima fase del proyecto, donde Andrew dice que la participación de los pacientes se fortalecerá aún más. “Definitivamente buscaremos tener más grupos de pacientes involucrados y tener al menos un paquete de trabajo dirigido por una organización de pacientes.

Para Kathy, la experiencia hasta ahora ha sido muy gratificante y no ha consumido demasiado tiempo. “La perspectiva del paciente ha sido escuchada y respetada a lo largo del proceso SISAQOL, con muchos de nuestros aportes”, dice ella. En términos de compromiso, EORTC ha cubierto los gastos para asistir a las reuniones y Kathy estima que el tiempo dedicado a ingresar en los documentos publicados y las teleconferencias equivaldría a un par de días por trimestre más cualquier reunión cara a cara. “Pero para mí, el tiempo ha sido bien empleado”, agrega. “Esto no es solo hablar de ciencia, esto toca una gran cantidad de cuestiones que pueden afectar en gran medida a las personas con cáncer”.

GARANTIZAR LA ELECCIÓN DE PACIENTES USANDO DATOS DE UN REGISTRO

Deborah Maskens de la Coalición Internacional Contra El Cáncer Renal explica cómo Cáncer Renal de Canadá pudo presentar pruebas a un organismo de Evaluación de Tecnología de Salud [HTA] que llevó a la eliminación de una restricción al acceso a un medicamento para cánceres renales.

A menudo, cuando llega una nueva terapia, hay poca o ninguna evidencia sobre cómo se compara con otras terapias disponibles recientemente. Esto puede causar problemas cuando los organismos de Evaluación de Tecnología de Salud (HTA - *Health Technology Agencies*) toman decisiones sobre a qué tratamiento otorgar acceso. En Canadá, Deborah Maskens, cofundadora de Cáncer Renal de Canadá, explica que esto causó problemas particulares a los pacientes que intentan acceder a una nueva opción de tratamiento para el cáncer renal.

“El problema inicial que teníamos era que a una terapia ya se le había otorgado el reembolso por el tratamiento de segunda línea para el cáncer de riñón; luego apareció una nueva medicina con un modo diferente de acción pero sin datos comparativos contra esa primera terapia. Por lo tanto, existía esta incertidumbre sobre cómo las dos medicinas se acumulaban unas contra otras”, explica Deborah.

Sin estos datos comparativos, la agencia de tecnología de salud, CADTH (*Health Technology Agency*), decidió mantener su recomendación de reembolso original para la primera terapia y restringir el acceso a la nueva terapia a menos que los pacientes hayan mostrado una intolerancia a la primera.

“Esta fue una recomendación que nosotros, como *advocates*, estábamos en contra, y la comunidad clínica estaba en contra”, dice Deborah. “Para nosotros, esta no fue una decisión basada en la evidencia, se basó exclusivamente en el momento y la secuencia del lanzamiento de estas dos medicinas”.

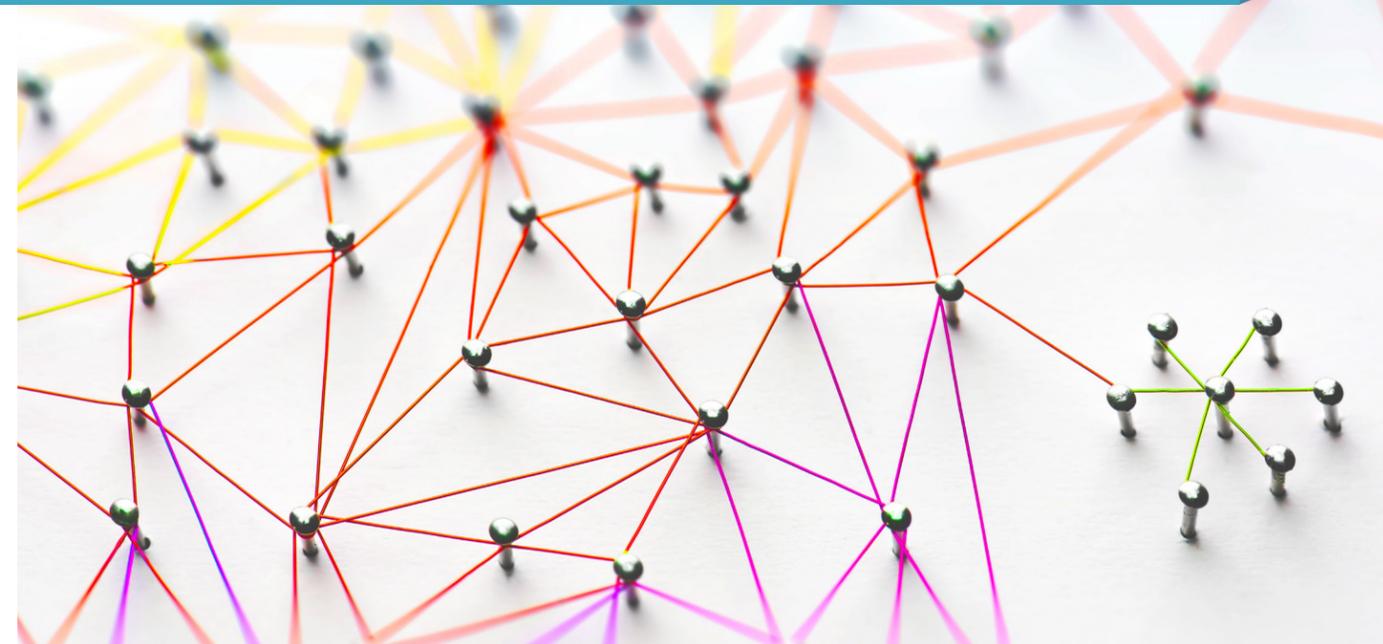
Una preocupación particular para Deborah y la comunidad de *advocates* fue que esta decisión, si se implementaba por completo, obligaría a algunos pacientes a tomar

innecesariamente una línea adicional de terapia. “Estas dos medicinas tienen diferentes modos de acción”, explica Deborah. “Desde la perspectiva del paciente, uno desea elegir una terapia de segunda línea que tenga más sentido según su experiencia con la primera línea de terapia. Tu médico y tú pueden decidir seguir cierto modo de acción si lo hiciste bien en la primera línea, pero pueden decidir cambiar a un modo de acción alternativo si tu experiencia de primera línea no ha sido tan buena”.

El otro reto al obligar a los pacientes a someterse a una ronda adicional de terapia es que podría tener implicaciones para la elegibilidad de un paciente para participar en futuros ensayos clínicos. “Para nosotros, esto era completamente innecesario y necesitábamos ver cómo las provincias de Canadá interpretarían esta decisión del organismo de HTA.

“Las provincias leen esta decisión de manera muy diferente. Algunas permitieron esto como una verdadera opción, para que los pacientes y sus médicos pudieran seleccionar una u otra de estas dos opciones. Otros siguieron esta recomendación al pie de la letra, necesitando ver la evidencia médica de que un paciente no puede tolerar el medicamento reembolsado antes de que se le permitiera probar el más nuevo. En una provincia, incluso exigían que los pacientes vieran a un segundo especialista para probar esta intolerancia”, dice Deborah.

La esperanza de un cambio llegó cuando el equipo de Cáncer Renal de Canadá recibió la notificación de que se había iniciado un proceso llamado “Solicitud de Asesoramiento” para analizar este problema. La “Solicitud de Asesoramiento” es un proceso específico que se puede iniciar cuando los planes de medicamentos en las provincias tienen dificultades para implementar las recomendaciones del organismo de HTA pancanadiense.



Aquellos interesados que participaron en la revisión inicial de estos dos medicamentos fueron alertados por la agencia de que esta Solicitud de Asesoramiento estaba en proceso y podrían enviar una respuesta”, explica Deborah. “Pero, solo tuvimos diez días para preparar nuestros argumentos y aportes en este proceso”.

Entonces, Cáncer Renal de Canadá pasó por un intenso período de deliberación sobre cómo podían aclarar sus argumentos. “Podríamos haber elegido la opción de escribir una carta muy bien redactada que diera la descripción del por qué la evidencia no respaldaba las restricciones actuales sobre el acceso a este medicamento. Este es un enfoque que se ha utilizado muchas veces antes, pero sabemos que este tipo de narración no se considera como prueba sólida para quienes toman las decisiones”.

Entonces, el equipo de Cáncer Renal de Canadá buscó otras formas en que pudieran generar nueva evidencia que demostrase que estos dos medicamentos deberían recibir el mismo estatus en términos de reembolso y acceso. Hace seis años, el Sistema Canadiense de Información sobre el Cáncer Renal (CKCis) se estableció como un registro nacional basado en la web para apoyar el desarrollo de la investigación clínica y básica en el cáncer renal. «Hemos formado parte de la Red Canadiense de Investigación del Cáncer Renal (kcrnc.

ca) y de este proyecto desde el comienzo. Para asegurar una subvención del gobierno, la organización de paciente comprometió 50.000 dólares canadienses de financiación desde el principio y continúa contribuyendo anualmente”, dice Deborah. “CKCis es más que una base de datos, incluye bancos de sangre y tumores de muchos de los centros participantes, junto con variables de datos específicamente de interés para la organización del paciente”.

Esta base de datos continúa creciendo, actualmente incluye datos abundantes de más de 9.000 pacientes tratados en los principales centros oncológicos de Canadá. La información se importa directamente desde el Registro Clínico Electrónico del paciente y se complementa con la entrada de datos de campos adicionales, rastreando la ruta completa de atención a los pacientes desde el diagnóstico hasta la muerte, de modo que hay una mina de oro de información de gran interés para las organizaciones de investigadores y pacientes por igual”.

“El reto era que esta base de datos tuviera una lista muy larga de proyectos de investigación que se pusiera en fila, y una solicitud inesperada para los propósitos de HTA no era uno de ellos, por lo que necesitábamos trabajar estrechamente con los equipos de investigación para elevar este problema. Esto no es algo que pudiéramos hacer de manera regular, pero tuvimos una buena y estrecha relación con el equipo, que podía

Continúa en la página siguiente...

LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. No confiar únicamente en las historias narradas de pacientes para ingresar decisiones de reembolso y acceso
2. Forjar relaciones sólidas con la comunidad investigadora, se necesitarán mutuamente
3. Averiguar qué infraestructura de datos está disponible en su país y cómo se la puede aprovechar



ver los beneficios de levantar las restricciones en la terapia de segunda línea”, dice Deborah.

El equipo de Cáncer Renal de Canadá ha explicado a los investigadores que estaban buscando evidencia que pudiera mostrar la equivalencia de estas dos terapias de segunda línea. “Sabíamos que habría personas en la base de datos que tomaban uno de estos dos medicamentos, y lo que esperábamos era que hubiera suficientes datos para mostrarles a los que toman las decisiones que en el contexto real, estas dos medicinas demostraron resultados similares o equivalentes,” ella dice.

Afortunadamente, los investigadores reconocieron la importancia de esta pregunta y pudieron extraer los datos que Cáncer Renal de Canadá necesitaba. “Esto tomó una enorme cantidad de trabajo de los investigadores en un espacio de tiempo muy corto”, explica Deborah. “Eso demuestra lo importante que es construir y mantener una relación de trabajo realmente estrecha con la comunidad investigadora”.

Reflexionando sobre la cantidad de trabajo involucrado, Deborah enfatiza que este tipo de oportunidades para participar en un proceso de toma de decisiones como esta ‘Solicitud de Asesoramiento’ viene sin previo aviso. “La agencia HTA no nos paga por hacer este trabajo; se espera que todo sea voluntario. Entonces no tenemos recursos asignados a esto”, dice ella.

Además del tiempo de varios investigadores, una persona de Cáncer Renal de Canadá donó una cantidad enorme de su tiempo como voluntario personal como Director de la Junta para que esto suceda dentro del período de 10 días. “Esto se convirtió en la prioridad número uno y una tarea gigantesca para un pequeño grupo de personas que decidió hacer esto porque tenía la posibilidad de cambiar los criterios de reembolso para mejor”.

El resultado fue exitoso. La evidencia presentada en la base de datos convenció a los tomadores de decisiones para que cambiasen su posición. “La recomendación ahora es que estos dos medicamentos podrían considerarse equivalentes en términos de acceso y reembolso. Esta fue una verdadera victoria”, dice Deborah. “Y la experiencia nos está llevando a pensar sobre cómo podemos usar este tipo de evidencia en el mundo real más a menudo”.

“Creo que es aquí hacia donde todos debemos dirigirnos”, dice Deborah. “Advocacy basado en la evidencia es lo que se necesita cada vez más”. Como *advocates*, tenemos que ir más allá de hacer declaraciones sobre lo que los pacientes quieren y necesitan desde un punto de vista emocional, moral o ético. Debemos estar preparados para presentar argumentos más sólidos y basados en la evidencia que aborden las crecientes incertidumbres en la toma de decisiones de HTA”.

EVIDENCIA PARA IMPULSAR EL CAMBIO DE POLÍTICAS PÚBLICAS

Kristen Santiago, de la Comunidad de Apoyo al Cáncer, explica cómo mejorar el cambio de políticas públicas cuando se cuenta con la evidencia que respalda la necesidad de un cambio.

La Comunidad de Apoyo al Cáncer (CSC) ha estado recolectando pruebas desde 2009 sobre una variedad de problemas que afectan a las personas que viven con cáncer en los Estados Unidos. En 2017, el grupo publicó su segundo informe del índice que detalla el impacto que está teniendo el cáncer en la calidad de vida, el riesgo de depresión y el impacto financiero entre muchos otros problemas. Kristen Santiago, Directora Senior de Políticas Públicas y Advocacy, utiliza este tipo de datos para convencer a los responsables de las políticas de que tomen medidas para apoyar mejor a los pacientes, sobrevivientes y cuidadores.

“Uno de los problemas clave que hemos estado viendo es la necesidad de brindar más apoyo a las personas con cáncer en términos de servicios psicosociales”, explica Kristen. “Muchos pacientes, desde los recién diagnosticados hasta los pacientes que han estado viviendo con cáncer por años, pueden experimentar angustia. Esto ha sido documentado en literatura revisada por colegas, así como también en nuestro Registro de Experiencia del Cáncer. Sabemos que los altos niveles de angustia pueden afectar negativamente los resultados del paciente”.

La Academia Nacional de Medicina, anteriormente el Instituto de Medicina, declaró que el 50% de las personas con cáncer experimentan niveles de angustia. La investigación ha demostrado que preguntar a las personas sobre cómo afrontan y evalúan sus necesidades es un primer paso importante para identificar inquietudes importantes, que pueden conducir a una mejor calidad de vida, la capacidad de permanecer en tratamiento y la satisfacción general del paciente.

El Registro de Experiencia del Cáncer incluye una herramienta validada llamada CancerSupportSource® (Fuente de Apoyo al Cáncer) para detectar la angustia que examina 25 conceptos diferentes relacionados con las necesidades psicosociales, prácticas y físicas. Esta herramienta puede ayudar a identificar inquietudes que deben abordarse desde el principio en un diagnóstico antes de que se conviertan en una barrera para la atención. Esta herramienta de detección también se administra a través de la Línea de Ayuda de Apoyo Contra el Cáncer de CSC y sus afiliados en todo el país”.

Continúa en la página siguiente...





CSC estaba interesada en tener un proceso en el que se proporcionaran pruebas de detección de socorro y se brindara apoyo apropiado dentro de los protocolos de ensayos clínicos, y se diera un énfasis en la recopilación de datos de experiencia psicosocial y de pacientes en la investigación clínica.

“Sabemos que el impacto social y emocional del cáncer es innegable, pero lo que quizás sea más convincente para la comunidad investigadora es que la angustia relacionada con el cáncer también puede tener un impacto negativo en la adherencia del paciente a un ensayo clínico y sus medicamentos”, dice Kristen. “Así que nos embarcamos en dos estrategias paralelas para cambiar el panorama de las políticas a fin de alentar un mayor apoyo para los pacientes y la recopilación de más evidencia para que podamos comprender el impacto en los pacientes”.

Kristen describe el problema que CSC está tratando de resolver. “Si los ensayos clínicos y otras formas de investigación no consideran el impacto psicosocial de la enfermedad y el tratamiento, entonces, ¿cómo sabemos que están midiendo los resultados que realmente importan a los pacientes?”, dice Kristen. “Queremos trabajar con los legisladores, reguladores, investigadores y la industria para garantizar que ambos capturemos esta evidencia y respaldemos a los pacientes a lo largo del proceso”.

Para hacer este cambio, la CSC se ha embarcado en dos iniciativas separadas. La primera de ellas fue cambiar la definición de ‘datos de experiencia del paciente’ utilizada por la Administración para el Control de Alimentos y Medicamentos (FDA) para que abarcara el impacto psicosocial de una condición, terapia o investigación clínica.

“La FDA se había centrado anteriormente solo en el impacto físico en los pacientes, y sabíamos que esto no era suficiente. La legislación que rige la Administración para el Control de Alimentos y Medicamentos de EE.UU. (también conocida como la Ley de Reautorización de la Administración de Alimentos y Medicamentos de 2017 (FDARA)) nos dio la oportunidad de redefinir esta definición”, dice Kristen.

“Sabemos que para evaluar exhaustivamente el impacto de las terapias contra el cáncer en el mundo real, será esencial captar el alcance de las preocupaciones de los pacientes, como las interrupciones en la vida familiar y laboral y los problemas logísticos y financieros que experimentan”, agrega Kristen.

La inclusión del lenguaje en la definición de datos de experiencia del paciente de la FDA facilitaría la generación de este tipo de evidencia. “Entonces, en 2017, después de reunir la evidencia psicosocial necesaria para demostrar esta necesidad, tuvimos éxito en abogar por este cambio en FDARA”, dice Kristen. “Ahora estamos trabajando con la FDA para garantizar que utilicen esta definición ampliada en toda su orientación, documentos y procesos”.

La esperanza es que ahora que esta definición esté en su lugar, los investigadores empezarán a recolectar datos de experiencia del paciente que puedan informar la toma de decisiones futura. “Eso nos ayudará a construir el cuerpo de evidencia que necesitamos para apoyar mejor a las personas con cáncer en el futuro”, dice Kristen.

El segundo elemento de los esfuerzos de las políticas de CSC se ha dirigido a apoyar una legislación llamada “La Experiencia del Paciente en la Investigación” que crearía un entorno que requeriría que la industria farmacéutica evaluara, documentara y siguiera los factores sociales y emocionales experimentados por pacientes durante ensayos clínicos. La ley requiere un proyecto piloto que invite a tres fabricantes a recopilar datos de experiencia del paciente para comprender mejor cómo los pacientes viven con su enfermedad y se ven afectados por el tratamiento.

“La evidencia fue una parte importante de nuestra argumentación para redactar esta legislación”, dice Kristen. “Los estudios han demostrado, por ejemplo, que en el cáncer de mama, aquellos pacientes que participan en intervenciones sociales y emocionales tienen beneficios significativos de aquellos que no lo hacen, como una mayor supervivencia y un riesgo reducido de recurrencia”.

“Hay una gran diferencia para los pacientes cuando tienen que viajar con mucha frecuencia para recibir tratamiento. El impacto de este tiempo fuera de su vida no está siendo capturado, pero sería beneficioso para los pacientes saber qué tipo de impacto está teniendo en la calidad de vida y las medidas psicosociales”, agrega Kristen. “En última instancia, queremos que la evidencia guíe a los pacientes para que tengan la oportunidad de tomar decisiones basadas en la gama completa de tratamientos y los impactos relacionados”.

El proceso de promulgar legislación como esta es largo. “Empieza con concienciar a los legisladores. Hemos construido relaciones sólidas durante muchos años y tenemos campeones dentro de la Cámara y del Senado con los que trabajamos estrechamente”, dice Kristen. “Parte de esto es compartir los datos que tenemos con ellos para que estén equipados con los hechos que les permitan obtener apoyo entre sus colegas”.

Luego, el equipo tendrá que trabajar en una solución concreta que pueda llevar a los legisladores para obtener comentarios y adaptación.

“Tenemos que construir la solución, y eso lleva tiempo. Los legisladores necesitan ver algo con lo que puedan trabajar y reaccionar”, dice Kristen. “Para esta ley, trabajamos en estrecha colaboración con la Representante Diana DeGette y el Representante Leonard Lance para redactar el lenguaje legislativo y seguimos trabajando con sus oficinas y sus colegas para generar apoyo para la ley. Todo este proceso lleva años - para construir los argumentos, redactar la ley y trabajar con los responsables de formular políticas”.

“Lo que ha quedado claro para nosotros trabajar en política es que el uso continuado de evidencia para apoyar la necesidad de evidencia psicosocial sigue siendo tan importante como siempre”, dice Kristen. “Creo que nosotros, en los EE.UU., estamos un poco retrasados aquí. Escuchamos casos de todo el mundo donde los datos de experiencia del paciente se están convirtiendo en parte de la toma de decisiones. Continuaremos recopilando nuestra propia evidencia sobre la necesidad de apoyar más a los pacientes, y dar las herramientas a los responsables de formular políticas públicas para que puedan luchar por un futuro en el que es normal recopilar esta evidencia en investigación y utilizarla para crear un mejor entorno y apoyo para las personas con cáncer”.

LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. Ser realista sobre el tiempo necesario para cambiar las políticas o promulgar leyes
2. Siempre que sea posible, utilizar los procesos y la legislación existentes para obtener los cambios que se está buscando.
3. Los legisladores exigen pruebas antes de que actúen, entonces haga un mapa de la evidencia existente y resalte las lagunas que se deberán llenar
4. No decepcionarse con los reveses, esto es normal

LLENANDO LAS BRECHAS EN LA EVIDENCIA A TRAVÉS DEL DESARROLLO DE UN REGISTRO

Los cánceres raros presentan a los investigadores y a la comunidad de pacientes muchas preguntas sin respuesta. En el melanoma ocular, el equipo de CURE OM, una iniciativa de La Fundación de Investigación del Melanoma (MRF), se ha embarcado en el desarrollo de un registro informado por el paciente para responder algunos de los misterios que presenta esta forma de melanoma. Aquí, la Dra. Sara Selig de CURE OM y Kyleigh LiPira de la MRF explican por qué esto es tan importante para ellos.

La Dra. Sara Selig, Cofundadora y Directora de CURE Ocular Melanoma (CURE OM) ha estado en una misión desde que a su esposo le diagnosticaron con melanoma ocular (MO) en 2006. “No sabía nada sobre esta enfermedad, hasta que mi esposo, Gregg, fue diagnosticado. Entonces, me obligué a aprender todo lo que podía”, dice Sara.

“Lo que nos sorprendió de inmediato fue la necesidad de más investigación en esta área, así como la necesidad de más apoyo y educación para las comunidades de pacientes y cuidadores, y la necesidad de apoyo para apoyar todo el campo. Entonces, nos asociamos con la Fundación de Investigación del Melanoma y establecimos la CURE OM (Comunidad Unida para la Investigación y Educación del Melanoma Ocular)”, dice Sara.

Desafortunadamente, Gregg no sobrevivió a su batalla contra la enfermedad, y esto estimuló a Sara a seguir haciendo esas preguntas básicas sobre la enfermedad. “Mientras hay investigadores increíblemente dedicados en MO, todavía hay mucho que simplemente no sabemos”, explica Sara. “Todavía es necesario identificar la ciencia básica y las causas de la enfermedad, y existen dudas sobre la experiencia del paciente y cómo los diferentes enfoques para manejar los resultados de la MO. Entonces, durante más de cinco años, hemos estado discutiendo cómo llenar esos vacíos”.

Para Kyleigh LiPira, Directora Ejecutiva de la Fundación de Investigación del Melanoma, CURE OM es exactamente el tipo de iniciativa que el MRF cree que debería ser respaldada. “Este es un tipo de melanoma que es devastador. Los pacientes y las familias están buscando respuestas y necesitan apoyo. Es por eso que estamos comprometidos con la iniciativa CURE OM y respaldamos la investigación de OM”.

Aunque muchas investigaciones de enfermedades raras estén respaldadas por el uso de registros, la idea de desarrollar un registro de pacientes para el melanoma ocular no fue una decisión inmediata. Todos los años, CURE OM convoca conferencias anuales para reunir a los principales expertos para analizar la ciencia y los problemas de OM, y que normalmente realizan dos reuniones al año.

“En esas reuniones seguían apareciendo los mismos problemas”, dice Sara. “Estábamos identificando la necesidad de más información sobre la demografía de aquellos con melanoma ocular, la necesidad de muestras de tejido que quizás nos pudieran dar pistas sobre su origen y mecanismo molecular, y los resultados de diferentes enfoques para manejarlo y tratarlo, todos estamos más cerca de tratamientos efectivos, y en última instancia, una cura”.

Es a través de estas discusiones repetidas sobre las lagunas de conocimiento que los asesores de Sara y CURE OM comenzaron a darse cuenta de que se necesita un registro de pacientes para comenzar a recopilar los datos para responder estas preguntas. “Hubo muchos factores desencadenantes de esta decisión, pero tal vez el que llamó la atención del público fue un grupo de personas de Carolina del Norte que desarrolló la enfermedad y todos vivían muy cerca el uno del otro. Eso hizo surgir las mismas preguntas sobre la causalidad que todos nos habíamos hecho a nosotros mismos en los años anteriores”.

La Dra. Marlana Orloff, miembro del Comité Directivo del Registro CURE OM, explica por qué fue tan difícil descubrir la historia natural del melanoma ocular. “El melanoma ocular, además de ser un cáncer poco común, tiene otras características que hacen que sea extraordinariamente difícil



seguir el sentido tradicional del registro del cáncer del estado”, dice Marlana. “Hay cuestiones en el hecho de que la mayoría de los pacientes son diagnosticados (y tratados) fuera de su lugar de origen, por lo que no son capturados en los registros de su lugar de nacimiento. Además, a menudo no hay diagnóstico de biopsia o patología en la presentación primaria. Finalmente, no existe un código de diagnóstico bueno y uniforme que incorpore la patología y la ubicación”.

A medida que el equipo y los asesores analizaban estos retos, quedó claro que el objetivo debía ser contar con un ‘registro informado por el paciente y administrado por el paciente’, en el que los propios pacientes ayudaran a desarrollar el registro y pudieran ingresar sus propios datos. De esta forma, el registro ayudaría a responder preguntas importantes para todas las partes interesadas y podría capturar datos de los pacientes a través de las fronteras estatales y entre las instituciones, superando así un gran obstáculo en los enfoques de registro actuales.

“Con un registro informado por el paciente, podríamos capturar información de los pacientes donde quiera que vivan, e incluso en todo el mundo. Entonces, estamos pensando en grande aquí. También podríamos capturar información que solo los pacientes conocen por sí mismos, como su experiencia con el pasar del tiempo, sus preferencias, sus recorridos por los centros de tratamiento”, dice Sara. “Esto

va a ser interinstitucional para que podamos agrupar los datos de múltiples centros donde los pacientes puedan recibir su atención. Podremos ver los datos de una manera nueva y más completa”.

Configurar un registro es una tarea desafiante, y el equipo de CURE OM se encuentra en el medio del proceso. Aseguraron fondos para desarrollar los conceptos y llevar a cabo la planificación, y esa fase casi ha terminado. Sara describe los pasos principales que ella y el equipo han seguido para llegar a este punto. “Comenzamos por aprender más sobre los registros en sí mismos. No habíamos apreciado la amplitud y la profundidad de los registros al principio. A medida que comenzamos a aprender más, tuvimos un verdadero momento de ‘una gran idea’ en el que nos dimos cuenta de que podíamos lograr mucho con este enfoque”.

“Luego, encontramos personas que conocían los registros y comenzaron a hacer muchas preguntas para realmente educarnos sobre las posibilidades y las ventajas y desventajas de varias opciones. A través de esto, pudimos conectarnos con alguien con experiencia en registros que podría guiarnos a través de esto, Jacqueline Kraska. Estamos encantados de darle la bienvenida a Jacqui a nuestro equipo”, agrega Sara.

El siguiente paso fue involucrar a la comunidad en los esfuerzos de recaudación de fondos para que CURE OM tuviera el apoyo financiero necesario para la etapa de planificación.

Continúa en la página siguiente...

7

Guía de registro de enfermedades raras: Global Genes

8

NIH: Lista de registros

El Navegador GetReal RWE

Paso 1: Aclarar los problemas

Esta sección ayuda a **entender mejor los posibles problemas** (o "problemas de eficacia") para demostrar la eficacia relativa de un medicamento, incluidas las acciones que pueden utilizarse para explorar los posibles problemas.

ACLARAR LOS PROBLEMAS

Paso 2: Encontrar las opciones de RWE

Esta función de sección proporciona **diferentes diseños de estudio o técnicas analíticas** que podrían considerarse **para discutir los problemas** (o "retos de eficacia"), según la etapa de desarrollo de un medicamento y la categoría PICO pertinente.

ENCONTRAR LAS OPCIONES DE RWE

*PICO: Población, Intervención, Comparador (Del inglés Outcome)

Directorio de recursos

Acceso a todas las páginas web, como informaciones generales sobre las evidencias en el mundo real (RWE), fuentes y diseños de estudios que proporcionan RWE, métodos analíticos que utilizan RWE, encontrar trabajos GetReal relacionados y otras fuentes autorizadas.

LEER MÁS

investigación y el desarrollo podrían mejorarse para satisfacer fielmente las necesidades de los pacientes."

Como la mayoría de las grandes alianzas, el trabajo se ha dividido en 'paquetes de trabajo' y IAPO se involucró con dos paquetes principales. "El primer paquete de trabajo se trataba de estimar la efectividad de nuevos medicamentos usando evidencia del mundo real. La segunda área en la que nos enfocamos fue buscar formas de generar y usar la evidencia del mundo real mucho antes en el desarrollo de medicamentos," dice Kawaldip.

"En IAPO, realmente habíamos pensado en maneras de reducir el tiempo para desarrollar medicamentos. La esperanza es que con períodos de desarrollo más cortos, los medicamentos nuevos pueden llegar a los pacientes más rápido y el costo de desarrollo será menor", agrega Kawaldip.

Otra oportunidad para la evidencia del mundo real es que se puede usar para comprender mejor la perspectiva del paciente y, finalmente, demostrar el valor relevante para el paciente de un medicamento en particular o una intervención médica. "Lo que hicimos fue traer esa dimensión paciente a las discusiones. Faltaban las preferencias del paciente y este tipo de conceptos agregamos al proyecto", recuerda Kawaldip.

Como parte de este trabajo, la alianza ha publicado un conjunto de recomendaciones de políticas que incluyen una sección sobre la participación más amplia de los pacientes en la evidencia en el mundo real y toma de decisiones. Esto requería que los pacientes participaran en todas las etapas del proceso de toma de decisiones; que los pacientes son considerados socios de investigación adecuados; y que se proporcione la información adecuada antes, durante y después de la conclusión del proceso de investigación para que los pacientes estén informados.

"Es este tipo de políticas lo que asegurará que los pacientes comprendan y participen en proyectos de pruebas del mundo real," dice Kawaldip. "También identificamos que hay más trabajo por hacer para explicar los estudios de evidencia del mundo real en un lenguaje claro, de modo que las personas sepan cómo son diferentes de los tipos de investigación más tradicionales."

En el centro de los resultados del consorcio está el 'Navegador RWE', una herramienta en línea que reúne el trabajo en GetReal en tres pasos principales. Esta herramienta facilita que otros descubran más acerca de la evidencia del mundo real y su aplicación a la toma de decisiones de la salud. "Es posible

jugar con esta herramienta para navegar en varios temas en los que nosotros y los otros miembros del consorcio trabajamos. Es posible ver el trabajo publicado de la alianza e incluso es posible inscribirse en un curso sobre evidencia en el mundo real", dice Kawaldip.

En términos del compromiso de IAPO, GetReal fue financiado en conjunto por la Unión Europea y los miembros de la industria, por lo que IAPO no tuvo que buscar fondos adicionales para unirse. "Tuvimos mucha gente en este proyecto en varios momentos. Hubo reuniones a las que asistir y muchas conferencias telefónicas", recuerda Kawaldip. "A veces, el proyecto necesitaba la inclusión de las políticas, por lo que nuestro encargado de políticas se involucraría, a veces solicitábamos la opinión de nuestros miembros y, por lo tanto, recurríamos a nuestro encargado de membresía. La lista continúa."

"Pero el compromiso ha valido la pena," dice Kawaldip. "Este es un tema tan importante que determinará el futuro de la investigación. Habrían perdido las ideas más importantes, la perspectiva de los pacientes, sin nuestra participación. Así que estoy orgulloso de lo que logramos".

LOS PRINCIPALES CONSEJOS

1. Comprender el compromiso necesario y las habilidades requeridas para participar en una alianza
2. Buscar información de sus miembros sobre las áreas temáticas en las que enfocarse
3. Vincularse a las iniciativas políticas que ya puede estar emprendiendo
4. Mismo habiendo fondos, entienda que a veces tiene que dedicar más tiempo de lo esperado



EMPEZANDO ENCUESTAS

Para aquellos *advocates* y grupos de pacientes que recién están empezando a generar su propia evidencia a través del uso de encuestas, existe mucha orientación sobre la mejor manera de construir una encuesta. La mayoría de las universidades publican orientaciones para los investigadores que pueden ser muy útiles, y algunos sistemas de salud también brindan orientación a quienes recopilan encuestas de salud. A continuación, se encuentran algunas de las áreas más comunes a considerar.

Objetivo (Propósito de la encuesta)

- Ser claro sobre el objetivo antes de escribir cualquier pregunta. Esto puede enfocarse en un problema particular o dirigirse a un grupo particular de pacientes
- Siempre vale la pena buscar para ver si hay una encuesta similar reciente, esto puede significar que su encuesta no es necesaria.

Preguntas para la redacción

- Involucrar a los pacientes, a los cuidadores en el diseño y la revisión de las preguntas
- Tratar de mantener el cuestionario corto - alrededor de 25 preguntas debería ser el máximo
- Concentrarse en hacer solo una pregunta a la vez. Por ejemplo, "¿Nuestro folleto de información ha sido claro y útil?" son dos preguntas: entonces divídalas
- Pensar en el orden de las preguntas. Las personas pueden verse influenciadas por preguntas anteriores en la encuesta. Entonces, hay que intentar poner primero sus preguntas generales y luego dirigirse a las áreas específicas que quieras cubrir
- Las preguntas demográficas generalmente quedan mejor al final de una encuesta

Tipos de preguntas (abiertas versus cerradas)

- Las preguntas abiertas permiten a los encuestados responder a su manera. Obtendrá una mayor variedad de respuestas, pero requerirá más trabajo para analizar
- Las preguntas cerradas requieren que las personas elijan entre una lista fija de respuestas y que sean más fáciles de analizar

Probando la encuesta

- Probarla con algunas personas que coinciden con el grupo objetivo. ¿Entendieron las preguntas?
- ¿Las respuestas recibidas coinciden con sus expectativas? Si no, puede que las preguntas necesiten ser más claras

Enviando la encuesta

- Las encuestas en línea y por correo electrónico pueden funcionar para la mayoría, pero algunos grupos vulnerables y de difícil acceso pueden necesitar una encuesta postal o una encuesta telefónica.

Confidencialidad y privacidad

- Al recopilar datos personales, tener en cuenta las leyes de privacidad locales que puedan aplicarse, y ser claro para sus participantes sobre cómo se gestiona la confidencialidad.

Ejemplos de orientación para lecturas adicionales:



Hoja de consejos de la Harvard University sobre redacción de preguntas



Guía del Scottish Health Council [Consejo de Salud Escocés] para encuestas y cuestionarios



Diseño de Encuesta de la Virginia University: Obtener los resultados que se necesita

EMPEZANDO INVOLUCRARSE EN UNA COALICIÓN

Varios de los estudios de casos en este documento incluyen proyectos en los que diferentes organizaciones se unen en una coalición. Hay muchos tipos y muchas razones para ser parte de una. Quizás la mayor oportunidad para estos grupos de múltiples interesados es la Iniciativa de Medicamentos Innovadores (IMI), un proyecto de la Unión Europea. A continuación, se incluye un resumen de su orientación que se aplicará a muchas otras oportunidades coalición.

Decidir a qué nivel quiere involucrarse

- En muchos casos, existe la oportunidad de ser un miembro completo del grupo o un miembro de la junta asesora
- Un miembro completo de la coalición será un participante igual con los otros miembros, y tendrá más responsabilidad y compromiso
- Un miembro de la junta asesora le permitirá traer la experiencia del paciente a través de un proyecto, pero no será parte de los equipos de entrega del proyecto.

Permitir que los demás sepan que deseas participar

- Las organizaciones como el IMI publican una lista de temas que se están llevando en consideración. Supervisar esos canales y cuando ver un tema interesante, comunicarse con su red de otros *advocates* e investigadores para informarles que está interesado
- Empezar las discusiones con los otros interesados para definir el rol que puede jugar dentro de la coalición
- Algunas organizaciones como el IMI tienen una herramienta de búsqueda de participantes para permitir que los miembros potenciales se encuentren entre sí.
- Las herramientas de redes sociales también se utilizan para encontrar participantes de la coalición. El IMI tiene un grupo dedicado en LinkedIn donde se distribuye información

Ser claro sobre el compromiso

- Ser un miembro completo del proyecto puede ser un gran compromiso. Hablar con otras personas que han participado en grupos similares para que entiendan cómo han experimentado y administrado esto
- Habrá obligaciones contractuales que cumplir como miembro completo del proyecto, así que hay que estar preparado para manejar la revisión y firmar un acuerdo.
- Como participante del proyecto completo, a menudo hay un rol en la gobernanza del proyecto, lo que incluye ser parte del grupo directivo.

¿Qué se puede lograr?

- Las coaliciones, con frecuencia, se forman para abordar problemas que un grupo de interesados no puede resolver solo. Estos, a menudo, cubren grandes áreas que necesitan las habilidades y el conocimiento de múltiples participantes
- Mirar los resultados de los proyectos de equipos que ya terminaron su trabajo para determinar el tipo de impacto que estos proyectos pueden ofrecer (ver el enlace para ver un ejemplo de EUPATI más abajo)
- Identificar a los miembros del grupo de pacientes que han estado involucrados en estos proyectos y ponerse en contacto con ellos para obtener una evaluación clara de su rol en el proyecto y el impacto que ellos creen que su contribución ha tenido

Ejemplos de orientación para lecturas adicionales:



El Proyecto EUPATI



Portal IMI sobre temas futuros y convocatorias de propuestas abiertas



Folleto para el Paciente de la Iniciativa de Medicamentos Innovadores

1 E-ATLAS DE LA COALICIÓN GLOBAL DEL CÁNCER DE PULMÓN

¿QUÉ ES?

Un mapa interactivo que le permite explorar y comparar los datos de cáncer de pulmón de países de todo el mundo. Los datos incluyen mortalidad y, en muchos casos, datos de supervivencia, así como cuestiones relacionadas con las políticas, como la existencia y la implementación de planes contra el cáncer.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Este es un buen ejemplo de cómo los datos existentes pueden juntarse en un formato que los *advocates* puedan usar para informar sus actividades de políticas de salud.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Si es activo en el área del cáncer de pulmón, entonces se puede utilizar la herramienta para ayudar a enmarcar algunas de las iniciativas que está considerando. Para aquellos que están fuera del área del cáncer de pulmón, la herramienta proporciona un buen ejemplo de lo que se puede lograr con los datos existentes.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<http://www.lungcancercoalition.org/e-atlas/>

2 MAPA INTELIGENTE RCLCF

¿QUÉ ES?

Este es un mapa nacional de servicios de cáncer de pulmón para el Reino Unido. Al igual que el e-atlas de GLCC, esta es una herramienta que reúne datos existentes. Sin embargo, debido a que el conjunto de datos es más completo, contiene estadísticas más detalladas.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Muchos sistemas de salud realizan auditorías nacionales de la atención brindada para enfermedades particulares. Esta información, a menudo, es difícil de encontrarse o difícil de interpretarse. El Mapa Inteligente muestra cómo se pueden juntar y presentar estos datos de una manera que pacientes, *advocates*, médicos y responsables de las políticas de salud puedan usar.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Utilizar este mapa inteligente como ejemplo para mostrar a sus colegas si hay conjuntos de datos similares disponibles en su país.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://www.roycastle.org/how-we-help/our-campaigns/improving-treatment-and-care/interactive-map>

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM: PROLEARN 3

¿QUÉ ES?

Información de libre acceso sobre Medidas de Resultados Informados por el Paciente (PRO) diseñadas para explicar los PRO a aquellos que son nuevos en el área.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Los Resultados Informados por el Paciente son ahora una herramienta estándar utilizada en estudios clínicos y otras formas de investigación en el cuidado de la salud. Debido a que se espera que los pacientes completen estas herramientas, es importante que los *advocates* las entiendan y las principales diferencias entre los diferentes tipos de PRO.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Una sección del sitio está dedicada a los PROs para *advocates* de pacientes. Este contiene videos y otros enlaces que han sido diseñados para ayudar a las organizaciones de pacientes a ganar velocidad en el uso de PRO.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://www.birmingham.ac.uk/research/activity/applied-health/research/prolearn/patient-advocates.aspx>

DOCUMENTO REVISADO POR PARES DEL SISAQOL 4

¿QUÉ ES?

La primera publicación del estudio de caso SISAQOL que describe las razones para estandarizar el análisis de PRO y las herramientas de calidad de vida relacionadas con la salud

Nota: Esta es una publicación paga

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Para aquellos que deseen comprender más acerca de la necesidad de un enfoque estándar para el análisis PRO, este artículo de opinión ofrece una buena base.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Utilizar este artículo si estás muy involucrado en el desarrollo o uso de PROs.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



[https://www.thelan-cet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045\(16\)30510-1/abstract](https://www.thelan-cet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045(16)30510-1/abstract)

5

EL PAPEL DE LOS REGISTROS IMPULSADOS POR PACIENTES

¿QUÉ ES?

Este es un informe técnico de la Agencia para la Investigación y Calidad de la Atención Médica en los EE.UU. que analiza el rol de los registros de pacientes (desarrollados por organizaciones de *advocacy*) y las redes de investigación de pacientes.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Cada vez más las organizaciones de *advocacy* están detectando preguntas sin respuesta que la comunidad investigadora no está abordando. Muchos deciden desarrollar su propio registro para recopilar datos para responder a estas preguntas.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Esta es una buena lectura de apoyo para comprender cómo se perciben y se utilizan estas iniciativas impulsadas por los *advocates*.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK164513/pdf/Bookshelf_NBK164513.pdf

6

INFORME DEL REGISTRO DE EXPERIENCIA DE CÁNCER DE 2017

¿QUÉ ES?

La Comunidad de Apoyo al Cáncer ha estado ejecutando su registro de experiencia durante muchos años. Este informe de 2017 detalla los últimos resultados informados de la experiencia de las personas con cáncer en los EE.UU.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Para aquellos en los Estados Unidos, este informe ofrece una visión general muy completa de los problemas que enfrentan las personas con cáncer en el país. Este informe se centra en la angustia relacionada con el cáncer, calidad de vida, toma de decisiones sobre el tratamiento, efecto secundario y gestión de los síntomas, toxicidad financiera y experiencias relacionadas con el trabajo.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Para aquellos en los EE.UU., esta información se puede usar para ayudar a respaldar las iniciativas de promoción. Para aquellos que están fuera de los EE.UU., este es un buen ejemplo de los tipos de datos de experiencia que se pueden generar a partir de un registro de experiencia.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



https://www.cancersupportcommunity.org/sites/default/files/uploads/our-research/2017_Report/registry_report_final.pdf?v=1

GUÍA DE REGISTROS DE ENFERMEDADES RARAS

7

¿QUÉ ES?

De la organización Genes Globales, esta es una guía en línea para los registros de enfermedades raras.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Esta es una guía bien estructurada con detalles de alto nivel. Contiene secciones sobre la comprensión, diseño y desarrollo de registros, así como consejos para garantizar un registro exitoso. También hay una guía de recursos útiles para que las personas aprendan más.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Si está pensando en empezar un registro, esta guía le explicará algunos de los conceptos básicos de lo que debe conocer.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://globalgenes.org/toolkits/understanding-rare-disease-registries-2/resource-guide/>

LISTA DE REGISTROS DE NIH

8

¿QUÉ ES?

Una lista de preguntas frecuentes sobre registros junto con un índice de A-Z de algunos de los registros que ya se han configurado.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Antes de decidir comenzar un nuevo registro, es importante verificar para ver lo que hay disponible. Hay varias listas de registros en todo el mundo, basadas principalmente en los Estados Unidos. Por lo tanto, usar esta lista como punto de partida para ver lo que ya existe, pero hay que buscar más ampliamente esta lista para asegurarse de tener una imagen completa.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Usar esta lista para identificar los registros que podrían ser un recurso útil, o como parte de su diligencia debida antes de comprometerse a establecer un nuevo registro.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you/list-registries>

9 NAVEGADOR DE LA EVIDENCIA DEL MUNDO REAL

¿QUÉ ES?

Un recurso educativo en línea que ayuda a los usuarios a descubrir más sobre el potencial de la evidencia en el mundo real. Se brinda cierta orientación y se incluye un directorio de recursos.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Mucha de la información en el navegador es técnica, diseñada para aquellos que construyen estudios de evidencia del mundo real. Sin embargo, las secciones del Navegador sí exploran el rol de los pacientes y los grupos de *advocacy*.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

El sitio está claramente estructurado por pasos, por lo que vale la pena echarle un vistazo al contenido si está empezando a involucrarse en proyectos reales de evidencia.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://rwe-navigator.eu>

10 PERSPECTIVAS DE LOS PACIENTES SOBRE LA EVIDENCIA EN EL MUNDO REAL

¿QUÉ ES?

Desde el Consejo Nacional de Salud, este informe de una mesa redonda de 2017 aclara los puntos de vista de los pacientes sobre la evidencia del mundo real y explora las habilidades necesarias para hacer el mejor uso de ella.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Para aquellos grupos que se están involucrando en proyectos de evidencia del mundo real, esto proporciona un buen resumen de los problemas a tenerse en cuenta desde la perspectiva del paciente. Es una buena lectura de apoyo e identifica algunos de los retos.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Usar esto como lectura de apoyo para respaldar cualquier trabajo que se esté haciendo en el área de la evidencia del mundo real.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<http://www.national-healthcouncil.org/sites/default/files/Patient%20Perspectives%20on%20Real-World%20Evidence.pdf>

DESARROLLO DE MEDICINAS ENFOCADO EN EL PACIENTE DE LA FDA

¿QUÉ ES?

Un sitio proporcionado por la FDA que describe su enfoque para el desarrollo de medicamentos enfocado en el paciente, la necesidad de datos de experiencia del paciente y los resultados de recientes reuniones de la FDA y otras reuniones externas sobre este tema.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Los *advocates* son cada vez más invitados a formar parte de los procesos de desarrollo de medicamentos y es útil ver qué otras organizaciones están participando en este espacio.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Este es un sitio que vale la pena visitar regularmente ya que la FDA todavía está desarrollando su enfoque sobre este tema. El sitio también tiene enlaces a recursos externos más allá de la FDA que pueden dirigirlo a otras iniciativas similares.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://www.fda.gov/drugs/developmentapprovalprocess/ucm579400.htm>

VISIÓN GENERAL DE PACIENTE Y CONSUMIDORES DE EMA

¿QUÉ ES?

Un sitio web que ofrece la visión general y a estructura de trabajo utilizados por la Agencia Europea de Medicamentos para involucrar a pacientes y ciudadanos en sus actividades.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

A medida que los *advocates* y los pacientes se vuelven más importantes para el desarrollo y la generación de datos, es importante comprender cómo los reguladores también están involucrando a los pacientes. Este sitio ofrece una amplia visión general de esto.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Hay enlaces en este sitio que cubren una amplia gama de cuestiones, además de una lista de diferentes comités y juntas donde se realizan representaciones de pacientes. Si está interesado en tomar parte de las actividades de EMA, este es un buen lugar para empezar.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/partners_and_networks/general/general_content_000317.jsp&mid=WC-0b01ac058003500c

DECISIONES BASADAS EN EVIDENCIAS EN ENFERMEDADES RARAS

¿QUÉ ES?

Un informe que analiza el enfoque de múltiples interesados para mejorar la base de evidencias para la toma de decisiones por parte de los reguladores y agencias de Evaluación de Tecnología de la Salud en el área de enfermedades raras.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Los cánceres raros representan un reto en la recopilación y uso de la evidencia necesaria para informar las decisiones. Este informe reúne varias perspectivas que analizan este tema y sugieren áreas de mejora. El informe incluye varios ejemplos de buenas prácticas.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Si estás involucrado en cánceres raros, entonces este es un informe que vale la pena leer para ver cómo los múltiples interesados ven la necesidad de que los datos de la experiencia del paciente sean parte de la toma de decisiones.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



https://www.htai.org/file-admin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/v2_files/Resource/PCISG-Resource-HTAi-2016-Panel-Report-final-for-web-Sep2016.pdf

HTAi VORTAL

¿QUÉ ES?

Una biblioteca de artículos revisados por pares en el área de participación de los pacientes en la Evaluación de Tecnología de la Salud (HTA).

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Hay secciones sobre PRO, preferencias y contribuciones del paciente y muchas otras categorías relacionadas. Si estás trabajando con agencias de la HTA y deseas obtener más información sobre los métodos y evidencia que utilizan, muchos documentos dentro de esta biblioteca pueden ser útiles.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Explorar la biblioteca por categoría, y centrarse en las secciones relevantes para el paciente para ver lo que hay allí. Un buen trabajo inicial para analizar sería: Facey K, et al. *Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation.*

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



http://vortal.htai.org/?q=cpil&term_node_tid_depth=217

VALOR DEL PACIENTE: PERSPECTIVAS DE LA COMUNIDAD DE ADVOCACY

¿QUÉ ES?

Un artículo revisado por pares escrito por muchos miembros del grupo Líderes Mundiales que Apoyan Advocacy - Global Oncology Advocacy Leaders (GOAL) que analiza los conceptos de valor en la atención oncológica desde la perspectiva del paciente.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Hay un debate constante sobre cómo se percibe el valor en oncología y una proliferación de marcos de valores. Este documento discute los conceptos detrás del valor y reconoce que los valores de una persona no son los mismos que los de otra persona.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Utilizar este documento para profundizar las discusiones sobre el valor dentro de sus propias organizaciones y llevarlo a otros interesados para impulsar el diálogo entre los grupos de interesados sobre el valor.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/hex.12628>

TRANSFORMACIÓN DEL PROYECTO

¿QUÉ ES?

Un proyecto de LUNgevity en asociación con la John Hopkins School of Public Health [Escuela de Salud Pública John Hopkins] para cuantificar las preferencias de los pacientes en el cáncer de pulmón.

¿POR QUÉ ES RELEVANTE?

Este es un ejemplo de cómo las organizaciones de pacientes se están asociando con la comunidad de investigación para responder algunas preguntas fundamentales sobre las preferencias y necesidades de las personas con un cáncer en particular.

¿CÓMO PUEDO USARLO?

Esto se puede usar como un proyecto de ejemplo al pensar en maneras en que podría generar o usar datos dentro del campo de su propio grupo de advocacy.

¿DÓNDE PUEDO ENCONTRARLO?



<https://lungevity.org/research/patient-focused-research-center-patient-force/patient-preferences-and-needs/project>



La participación de los advocates en este documento no es vinculante, es voluntaria y no remunerada. Bristol Myers Squibb (BMS) brindó apoyo financiero para la redacción, edición e impresión de esta publicación. BMS no proporcionó ninguna tarifa a ninguno de los advocates ni a sus organizaciones representativas por su participación en este documento. El contenido del documento final refleja las entrevistas realizadas con los advocates, que tuvieron control editorial completo sobre los artículos finales.