



A³ ATIVIDADES DE ADVOCACY EM AÇÃO

A QUESTÃO DOS DADOS

CASOS DE ADVOCACY BASEADOS EM EVIDÊNCIAS A
PARTIR DAQUELES QUE UTILIZAM E GERAM DADOS

DICAS E RECURSOS PARA ACELERAR A
UTILIZAÇÃO DE EVIDÊNCIAS



Global Oncology Advocacy Leaders
COLABORAR | INOVAR | ADVOGAR

DADOS E ADVOCACY A HORA É AGORA

A tomada de decisões baseada em evidências está no centro da políticas de saúde. Os tomadores de decisão precisam de evidências para fazer mudanças no status quo e os defensores de interesses (*advocates*) muitas vezes mostram o caminho para o desenvolvimento, utilização e apresentação destas evidências

Grupos de advocacy, cada vez mais, estão se tornando o centro das atenções no co-desenvolvimento de abordagens que geram evidências necessárias para embasar a tomada de decisões. Isso está trazendo uma nova dimensão para as evidências que os reguladores, os pagadores, a indústria e os sistemas de saúde locais consideram ao tomar suas decisões.

Neste documento A³, examinaremos seis estudos de caso muito diferentes que exploram a forma como os defensores de interesses (*advocates*) estão assumindo a liderança. Esses casos foram escritos para desvendar os processos de raciocínio por trás da decisão para seguir uma via específica e, quando possível, detalhes de algumas das etapas gerais foram incluídos para fornecer um guia do processo seguido.

Alguns desses casos são sobre o uso de dados já existentes. Esta é uma consideração importante. Muitas vezes, foram gastos recursos na geração de dados que estão ocultos ou perdidos atrás de *websites* complicados. Os defensores de interesses (*advocates*) frequentemente podem perceber o valor desses dados e têm as habilidades para conseguir apresentá-los de uma forma que possa ser utilizada por outras pessoas. Assim, ter um impacto nem sempre significa gerar seus próprios dados. No entanto, é essencial pensar claramente sobre seus objetivos e como os dados e evidências podem embasar suas metas.

Temos dois casos muito diferentes que discutem o papel das organizações de pacientes Progressivamente, os



PRINCIPAIS DICAS

1. Cada exemplo mostrado neste documento A³ conterá várias dicas a serem consideradas ao pensar em uma abordagem semelhante

desafios de solucionar os problemas atuais de serviços de saúde exigem que muitas partes interessadas diferentes trabalhem juntas. É por esse motivo que essas abordagens estão se tornando mais comuns. Fazer parte de uma coalizão maior pode ajudar a elevar as capacidades de uma organização em uma nova área, ou pode ajudar a conquistar objetivos políticos com o apoio de muitas outras esferas.

Também temos vários casos que discutem o uso de registros de pacientes para gerar ou usar os dados que são necessários. Em um caso, mostramos como informações do registro de um paciente podem afetar uma decisão sobre acesso a tratamentos. Neste caso, o registro já existia e o caso detalha como a organização de pacientes usou as informações de uma forma direcionada. No segundo caso do registro, ouvimos como os grupos de advocacy estão bem posicionados para identificar os desafios e as questões não respondidas que um câncer raro implica. Aqui, a organização embarcou em um projeto ambicioso para desenvolver um registro de pacientes completamente novo.

Também existem casos que abordam mudanças na política de saúde reunindo evidências para causar impacto nas leis.

Seis casos não são de modo algum suficientes para descrever a extensão e a amplitude do envolvimento de advocacy com os dados e evidências. Considere isso como uma “degustação” que demonstra apenas algumas das possibilidades.

Até o final deste documento A³, há algumas páginas com dicas rápidas de ‘como começar’. Elas foram escritas para aqueles que estão apenas começando esta jornada e contêm dicas sobre como escrever um relatório e algumas orientações sobre como participar de uma coalizão.

Por fim, a seção de recursos no final deste livreto fornece links para informações gerais ou iniciativas que podem ser úteis. Agradecimentos especiais a todos os membros do GOAL (Global Oncology Advocacy Leaders) que tornaram esse livreto possível.



Cada uma das experiências neste documento A³ indicará algumas ferramentas independentes, orientação ou explicações que podem ajudar outros defensores (*advocates*) a começar ou aprender mais sobre o uso de dados. Procure este ícone para visualizar as ferramentas relevantes na parte posterior deste recurso.

A participação dos defensores (advocates) neste documento é não-vinculativa, voluntária e não remunerada. A Bristol-Myers Squibb (BMS) forneceu suporte financeiro para a elaboração, edição e impressão desta publicação. A BMS não forneceu nenhuma remuneração a nenhum dos defensores de interesses (advocates) nem a nenhuma organização de representação pela sua participação neste documento. O conteúdo do documento final reflete as entrevistas realizadas com os defensores de interesses (advocates) que tinham total controle editorial sobre os artigos finais.

CRIANDO UM ATLAS DE DADOS GLOBAL NA COALIZÃO GLOBAL CONTRA O CÂNCER DE PULMÃO

Jesme Fox da *Global Lung Cancer Coalition* [Coalizão Global contra o Câncer de Pulmão] (GLCC) e da *Roy Castle Lung Cancer Foundation* [Fundação Roy Castle contra o Câncer de Pulmão] explica como tornar os dados existentes acessíveis pode criar um recurso que defensores de interesses (*advocates*) e profissionais de saúde podem usar para lutar por melhor assistência e mudança nas políticas públicas.

São necessárias evidências para moldar as políticas, e talvez uma das formas de evidência mais úteis é aquela que mostra as diferenças entre os resultados que os pacientes podem esperar entre um país e outro. Este tipo de evidência pode ser usada para lutar por mais recursos, mudanças nos modelos de cuidado ou implementação de novas políticas. Esta é a ideia por trás do 'Atlas eletrônico Global do Câncer de Pulmão' da Coalizão Global contra o Câncer de Pulmão. Jesme Fox, Diretora Médica da *Roy Castle Lung Cancer Foundation* e Secretária da GLCC explica o processo de desenvolvimento do atlas.

"Sabíamos que esse tipo de dado de comparação pode ser extremamente poderoso, uma vez que ele nos permite fazer perguntas importantes sobre as diferenças que percebemos nas taxas de sobrevivência, nos resultados e em outras medidas de um lugar para outro," explica Jesme.

Esta não foi a primeira vez que Jesme esteve envolvida em um projeto como esse. No Reino Unido, a *Roy Castle Lung Cancer Foundation* utilizou informações de auditoria disponibilizadas publicamente para desenvolver um documento semelhante que mapeou os resultados e medidas que a *National Lung Cancer Audit* [Auditoria Nacional do Câncer de Pulmão] do Reino Unido estava coletando. "Uma das principais lições que aprendemos com este processo é que existem muitos dados satisfatórios por aí," Jesme explica. "Nem sempre é necessário gerar seus próprios dados."

No Reino Unido, a Auditoria Nacional do Câncer de Pulmão coleta uma variedade de dados sobre cuidados

de pessoas com câncer de pulmão e o 'Smart Map' [Mapa Inteligente] insere esses dados em um mapa, de modo que as pessoas possam visualizar os números da sua própria região do Reino Unido. O desafio com os dados desta auditoria era que não eram muitas pessoas que sabiam que ela existia, e ela não está apresentada em um formato que as pessoas consigam facilmente usar e compartilhar. "Uma das metas que tínhamos com o projeto do Reino Unido era tornar aqueles dados mais visíveis e fáceis de serem usados de modo que as pessoas pudessem realmente fazer comparações entre as regiões no Reino Unido," diz Jesme.

Não são apenas os pacientes e defensores (*advocates*) que se beneficiam dessa abordagem. "Muitos profissionais de saúde utilizam o *Smart Map* e o Atlas eletrônico porque é bem mais fácil extrair os nossos dados do que os das fontes originais," Jesme diz. "O Atlas eletrônico foi desenvolvido para fazer comparações entre os países de forma muito fácil e ele até mesmo os exporta diretamente em slides, de modo que seja simples para as pessoas utilizarem os dados em suas apresentações em conferências e outros eventos."

Quando a GLCC começou a pensar sobre a necessidade de uma ferramenta global para permitir as comparações, a equipe suspeitou que os dados já estariam disponíveis no domínio público. "Nós sabíamos que haveria diferenças nas taxas de sobrevivência de país para país, mas também queríamos mostrar outras medidas que ajudariam em advocacy, como a implementação de políticas e registros que demonstram o compromisso dos governos e sistemas



de saúde. Assim, sabíamos que nosso primeiro passo seria verificar quais dados já estavam por aí," diz Jesme.

Então, como uma organização de advocacy começa um projeto como esse? "A primeira coisa é reconhecer que não temos a capacidade e os recursos para fazermos isso nós mesmos," explica Jesme. "O Atlas eletrônico da GLCC é enorme. Existe uma riqueza de dados por aí, mas precisávamos de alguém que realmente os auditasse e descobrisse as medidas comuns nos dados que nos permitissem comparar um país com o outro."

A GLCC estava procurando mais do que apenas dados de resultados clínicos. Eles também queriam incluir informações sobre questões relacionadas à política e recursos. As informações sobre planos e registros nacionais referentes ao câncer, assim como se um país tinha implementado a Convenção-Quadro para o Controle do Tabaco da OMS, também foram incluídas. "Este tipo de dado é uma alavanca que os defensores (*advocates*) podem utilizar perguntando aos seus governos por que não há nenhum registro do câncer ou por que não há um plano contra o câncer

Continua na próxima página...

PRINCIPAIS DICAS

1. Examinar os dados existentes antes de decidir gerar seus próprios dados
2. Usar agências externas de especialistas para realizar as auditorias sob sua liderança
3. Dedicar tempo inicial bloqueando as comparações desejadas e a funcionalidade necessária
4. Não se esquecer de planejar atualizações regulares nos dados e na funcionalidade da ferramenta



Coalizão Global contra o Câncer de Pulmão – Atlas eletrônico



Roy Castle Lung Cancer Foundation - Smart Map

implementado no país,” explica Jesme. Desse modo, os membros da GLCC começaram coletando este tipo de informação para acrescentar ao Atlas eletrônico.

Assim que os dados tivessem sido reunidos, o trabalho poderia começar com a construção do mapa interativo. Essa foi uma grande tarefa e, novamente, a GLCC reconheceu que seria necessária a ajuda de especialistas. “Encontramos *web designers* que poderiam construí-lo e depois uma agência que poderia importar todos os dados em um formato que funcionasse,” Jesme explica.

Este processo não ocorreu sem dificuldades. “A ideia de conseguir comparar países no Atlas eletrônico parecia algo fácil de ser feito e foi uma ideia que tivemos durante o desenvolvimento do projeto,” Jesme diz, “mas foi difícil de implementá-la e, como não tínhamos pensado nisso desde o começo, significou que os dados tiveram que ser reformatados para que isso funcionasse.”

Outra função que se revelou difícil de ser implementada foi exportar os dados em *slides*. “Achávamos que seria relativamente fácil produzir gráficos a partir dos dados, mas muito mais complexo transformá-los automaticamente em slides e, apesar disso, sabíamos que essa era uma função que as pessoas desejavam.”

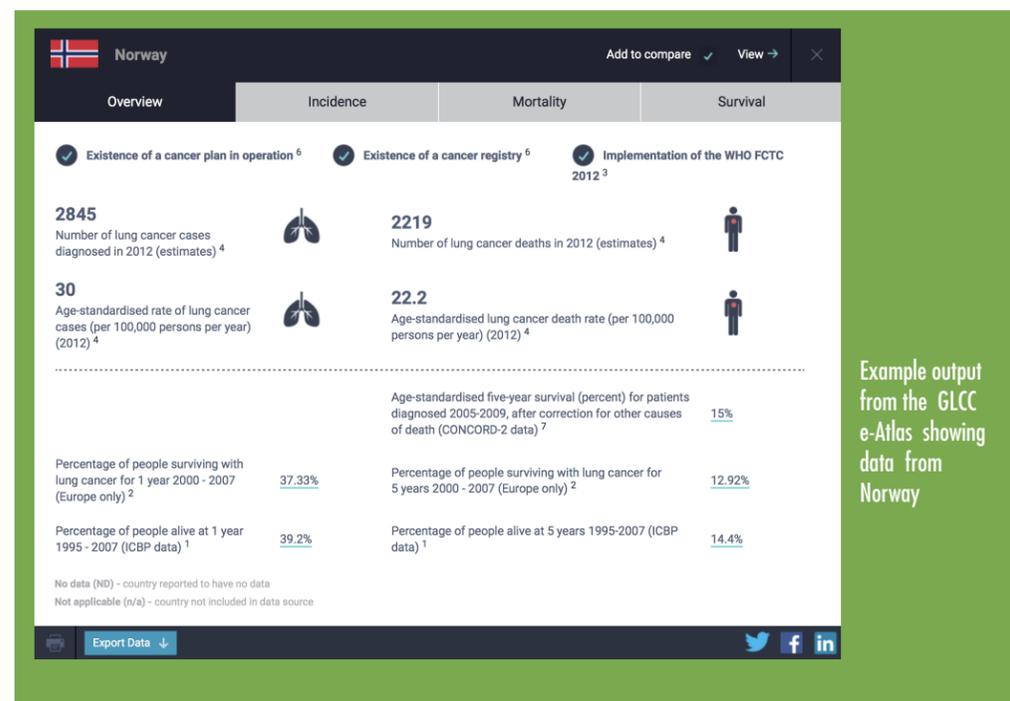
Com os dados e a funcionalidade desenvolvidos, a tarefa final antes de lançar a ferramenta seria hospedá-lo no *website* da GLCC. “O Atlas eletrônico é enorme em termos de recursos que estão por trás dele e nós, na verdade, tivemos de reconstruir o *website* da GLCC de modo que ele conseguisse superar isso.”

Trabalhando em estreita colaboração com os especialistas e agências que estavam construindo a ferramenta, a GLCC conseguiu implementar toda a funcionalidade que desejavam, mas foi uma lição com a qual Jesme acredita que outras pessoas devem aprender. “Se fôssemos fazer isso novamente, acho que dispenderíamos mais tempo inicialmente sendo muito claros com relação às comparações que desejaríamos ver na ferramenta final e a funcionalidade que desejaríamos que ela tivesse. Dessa forma, teríamos evitado algumas das mudanças que foram necessárias durante a construção real da ferramenta.”

A consideração final que Jesme considera importante é ter em mente que esses tipos de recursos são úteis somente se estiverem atualizados com os dados mais recentes. “Este é um grande trabalho e deve ser levado em consideração em nossos planos de trabalho,” ela diz. “Para o Atlas eletrônico, eles devem se basear em grandes conjuntos de dados internacionais e sabemos que alguns deles estão sendo atualizados este ano. Assim, devemos planejar e alocar recursos.”

Trabalhando em associação com as organizações membros da GLCC, o Atlas eletrônico foi desenvolvido e lançado em um ano. “Esta foi uma conquista real para nós,” Jesme diz. “E foi essencial ter os parceiros certos em termos de agências que poderiam auditar os dados e construir a ferramenta do *website*, não teríamos conseguido sem eles. Nós temos nosso trabalho diário e simplesmente não conseguiríamos nós mesmos gerenciá-lo.” Jesme estima que o custo para criar o atlas eletrônico ficou por volta de €90.000 (\$100.000).

Example output from the GLCC e-Atlas showing data from Norway



PADRONIZANDO A ANÁLISE DA PESQUISA DE RESULTADOS RELATADA PELO PACIENTE

Os Resultados Relatados pelo Paciente (PROs – *Patient Reported Outcomes*) tornaram-se uma parte padrão dos estudos clínicos, mas a forma como os dados provenientes dos PROs é analisada pode afetar os resultados do estudo. Para lidar com esse problema, a *European Organization for Research and Treatment of Cancer* [Organização Europeia para Pesquisa e Tratamento do Câncer] (EORTC) criou uma coalizão com várias partes interessadas para fazer recomendações sobre a padronização desses processos. Kathy Oliver da *International Brain Tumour Alliance* [Aliança Internacional contra Tumor Cerebral] (IBTA) e Andrew Bottomley e Madeline Pe da EORTC explicam porque uma abordagem padrão é necessária e como o envolvimento de advocacy ajudou.

Os Resultados Relatados pelo Paciente (PROs) tornaram-se uma ferramenta importante na compreensão do impacto da doença e seus tratamentos. Com a utilização dos PROs, os pacientes, médicos e sistemas de saúde podem medir o impacto relativo de diferentes abordagens de cuidados no funcionamento, nos sintomas e na qualidade de vida do paciente. Muitas das ferramentas padrão de PRO estão disponíveis para coletar estes dados, mas no final de um estudo, o trabalho dos estatísticos é analisar e interpretar esses dados brutos. É com esse processo que as pessoas da EORTC começaram a se preocupar, porque, até então, não existia nenhum método padrão internacional para analisar os resultados dessas diferentes ferramentas de PRO.

“Realizamos centenas de estudos clínicos ao longo dos anos,” disse Andrew Bottomley, Diretor Assistente e Chefe do Departamento de Qualidade de Vida na EORTC.

“Quando publicamos os resultados desses estudos, geralmente somos solicitados pela revista a mudar a forma como nós analisamos os resultados dos PROs. Isso estava deixando nossos estatísticos nervosos, uma vez que eles sabem que isso pode afetar os resultados. Mas, foi quando vimos dois estudos muito semelhantes para um câncer em particular que tinham a mesma população, as mesmas medidas de PRO, ao longo do mesmo período de tempo, mas com resultados diferentes que percebemos que a única diferença importante entre os estudos era os métodos de análises que estavam sendo utilizados.”

“É por isso que a ideia de padronizar os métodos de análise tornou-se um assunto relevante em nossa organização,” explica Madeline Pe da EORTC. “Mas nós sabíamos desde o início que seriam necessárias várias disciplinas e pessoas interessadas para se unirem e trabalharem juntas nisso, e também sabíamos que isso

Continua na próxima página...



Recurso de informações PROlearn sobre PROs

3

Artigo revisado por pares: Analisando dados dos desfechos de PRO e QoL para estudos clínicos sobre o câncer: um início na definição de padrões internacionais

4



deveria incluir a comunidade de advocacy de pacientes com câncer. É por isso que procuramos Kathy Oliver da IBTA, bem como vários outros grupos,” Madeline diz.

“O projeto é chamado ‘Definindo Padrões Internacionais na Análise de Resultados Relatados por Pacientes e nos Dados de Desfechos de Qualidade de Vida para Estudos Clínicos sobre o Câncer’ (SISAQOL),” diz Kathy Oliver da IBTA. “Em 2016, quando fui abordada pela primeira vez pela EORTC, fiquei intrigada para aprender mais.”

Instintivamente, Kathy percebeu que era um projeto importante em parte por causa do alto padrão dos parceiros já envolvidos. “Os PROs são uma parte essencial das evidências que nós, como defensores dos interesses (*advocates*), apoiamos fortemente, e eu poderia dizer dos parceiros nesta coalisão que este seria um grupo que só poderia ser formado para algo de extrema importância, e então eu entrei no barco, sabendo que eu estava prestes a embarcar em uma curva acentuada de aprendizado, uma vez que eu não sou estatística.”

“Depois da primeira reunião, eu realmente constatei por que nós, na qualidade de defensores dos interesses (*advocates*), devemos sempre estar envolvidos nesses tipos de projetos,” acrescenta Kathy. “Quando você está examinando as evidências de qualidade de vida e os resultados relatados pelo paciente, e para conseguir as respostas mais precisas e robustas dos estudos clínicos, é vital conseguir comparar os resultados de um estudo clínico com aqueles de outros. Contudo, a falta de padrões para analisar este tipo de dado torna tudo difícil.”

Kathy começou a refletir sobre todas as formas como a qualidade de vida e os dados de PRO podem afetar a forma como os dados clínicos são interpretados e utilizados. “As evidências de PRO e qualidade de

vida afetam nossa capacidade de comparar diferentes abordagens. Elas podem afetar a identificação de tratamentos específicos. Eles podem certamente ter um impacto nas diretrizes clínicas e na política de saúde” diz Kathy, “então eu comecei a perceber quão importante é trabalharmos juntos na criação de abordagens padrão.”

Certamente, trabalhar em um projeto que é basicamente sobre métodos estatísticos complexos seria assustador para um defensor do paciente (*advocate*)? “Embora eu admire os estatísticos, a experiência não foi intimidadora,” Kathy explica. “As pessoas na EORTC como Madeline e Andrew me dedicaram bastante tempo e atenção para me ajudar a compreender algumas dessas questões muito complexas.”

Estar envolvida na coalisão ajudou a ilustrar para a Kathy onde ela estava acrescentando valor. “Eu fazia perguntas como ‘como isso afeta o paciente?’, ou ‘você consegue explicar isso em uma linguagem leiga de modo que os pacientes consigam entender o que você quer dizer?’” Essas perguntas ajudaram nas conclusões e incentivaram o grupo a pensar muito sobre como ele comunica a questão e entrega os resultados para a comunidade geral.

Por parte da EORTC, o envolvimento de defensores de interesses (*advocates*) do paciente como Kathy proporcionou o valor real. “Sabíamos desde o começo que precisávamos capturar a opinião do paciente naquilo que estávamos fazendo, e procuramos Kathy, além de outros grupos, para fazer isso. Kathy imediatamente compreendeu o valor do projeto e a necessidade de introduzir a comunidade de pacientes. Especificamente, nós sempre temos que ser muito claros na questão que estamos testando, a hipótese da nossa pesquisa. Kathy conseguiu trazer uma perspectiva clara disso para nós,” diz Andrew.

“Isso começa com perguntas realmente boas e claras, e desafiando um ao outro sobre quais deveriam ser nossos objetivos,” diz Madeline. “Esta é uma área em que Kathy foi realmente útil. Por exemplo, desenvolvemos uma classificação de conceitos para nossos objetivos de pesquisa. Isso é chamado de taxonomia. Não podemos fazer isso sem primeiro compreender qual é o ponto de vista do paciente. Por exemplo, como um paciente definiria uma melhora na sua condição? É importante que compreendamos isso dentro do projeto.”

Kathy também visualizou percepções do projeto que seria muito bom que fossem levadas de volta para a comunidade de pacientes. “Por meio do envolvimento com a iniciativa do SISAQOL, entendo quão importante é reduzir os dados ausentes no PRO e nos questionários sobre qualidade de vida. Quanto mais aprendo sobre como a ausência de dados afeta os resultados do estudo, mais percebo que a comunidade de pacientes deve estar ciente disso e tomar medidas para minimizar isso,” Kathy diz.

“Em resposta a esse desafio, Madeline Pe da EORTC e o Professor de Bioestatística e Oncologia, Jeff Sloan, (Mayo Clinic) criaram um *workshop* para a Cúpula Mundial bienal da IBTA de Defensores de Interesses (*advocates*) de Pacientes com Tumor Cerebral no último mês de outubro em Londres,” diz Kathy.

Realizar um estudo clínico fictício para os participantes do Summit permitiu aos defensores de interesses (*advocates*) ‘experimentar’ a participação em um estudo e permitiu a Madeline e Jeff destacar os desafios dos dados ausentes nas ferramentas de PRO simulando uma conclusão muito apressada de um questionário de qualidade de vida. Isso permitiu aos participantes explorar a questão de ausência de dados e levou a discussões sobre como os defensores de interesses (*advocates*) podem ajudar a se envolver no projeto e na implementação de estudos clínicos.

“O envolvimento do paciente em nosso trabalho veio para ficar,” diz Andrew. “Já está na hora dos pacientes terem voz. Pessoas como Kathy podem dizer ‘você está errado’ e já tivemos esta discussão e tiramos algo de proveitoso

PRINCIPAIS DICAS

1. Antes de se associar a uma coalisão, examine quem mais está envolvido para ter uma noção de com quem você estará trabalhando
2. Não tenha medo de fazer perguntas básicas; se você não sabe o que alguma coisa quer dizer, a maioria dos pacientes também não saberá
3. Este não é um diálogo unidirecional; traga o conhecimento que você está adquirindo de volta para a sua comunidade de paciente

dela. Precisamos do máximo possível de pessoas engajadas e mostrar que os pacientes estão envolvidos desde o início.”

Até o momento, o projeto tem cerca de três quartos concluídos e o trabalho revelou que muito mais precisa ser feito. “Pretendemos finalizar o trabalho principal por volta de setembro deste ano quando ratificaremos nossas recomendações,” diz Andrew, “mas queremos ir ainda mais além.”

O plano é obter financiamento para a próxima fase do projeto no qual Andrew diz que a participação do paciente será ainda mais fortalecida. “Definitivamente gostaríamos de ter mais grupos de pacientes envolvidos e ter pelo menos um pacote de trabalho liderado por uma organização de pacientes.

Para Kathy, a experiência até o momento tem sido muito recompensadora e não muito demorada. “O ponto de vista do paciente foi ouvido e respeitado durante todo o processo do SISAQOL, sendo que muitas das nossas contribuições foram levadas em consideração,” ela diz. Em termos de compromisso, a EORTC cobriu as despesas para a participação de reuniões e Kathy estima que seu tempo gasto participando de artigos publicados e teleconferências acrescentaria mais pontos positivos a alguns dias do seu tempo por trimestre do que qualquer reunião presencial. “Mas para mim, o tempo foi bem gasto,” ela acrescenta. “Isso não é apenas falar sobre ciência, isso significa tratar de uma série de questões que podem afetar enormemente as pessoas com câncer.”

GARANTINDO A ESCOLHA PARA PACIENTES USANDO DADOS DE UM REGISTRO

Deborah Maskens da *International Kidney Cancer Coalition* [Coalizão Internacional do Câncer Renal] explica como o *Kidney Cancer Canada* conseguiu apresentar evidências a um órgão de Avaliação da Tecnologia de Saúde que levou à retirada de uma restrição ao acesso a um medicamento para câncer renal.

Muitas vezes, quando chega uma nova terapia, existem evidências limitadas ou nenhuma evidência sobre como ela se compara com outras terapias disponibilizadas recentemente. Isso pode causar problemas quando os órgãos de Avaliação da Tecnologia em Saúde [HTA – *Health Technology Agency*] tomam decisões sobre a qual tratamento conceder acesso. No Canadá, Deborah Maskens, cofundadora do *Kidney Cancer Canada* explica que isso causou problemas específicos a pacientes que tentavam ter acesso a uma nova opção de terapia para o câncer renal.

“O problema inicial que tínhamos era que já havia sido concedido reembolso para uma terapia para tratamento de segunda linha do câncer renal, quando uma nova droga foi disponibilizada com um modo de ação diferente, mas nenhum dado comparativo comparando-a com a primeira terapia. Assim, havia essa incerteza sobre como os dois medicamentos se comparavam um com o outro,” explica Deborah.

Sem esses dados comparativos, a agência de tecnologia de saúde, CADTH (*Health Technology Agency*), decidiu continuar com sua recomendação de reembolso original para a primeira terapia e restringir o acesso à terapia mais nova, exceto se os pacientes tivessem demonstrado intolerância à primeira.

“Esta era uma recomendação que nós, na qualidade de defensores de interesses (*advocates*), éramos contra e a comunidade clínica era contra,” diz Deborah. “Para nós, esta não foi uma decisão baseada em evidências, mas baseava-se unicamente no tempo e na sequência do lançamento desses dois novos medicamentos.”

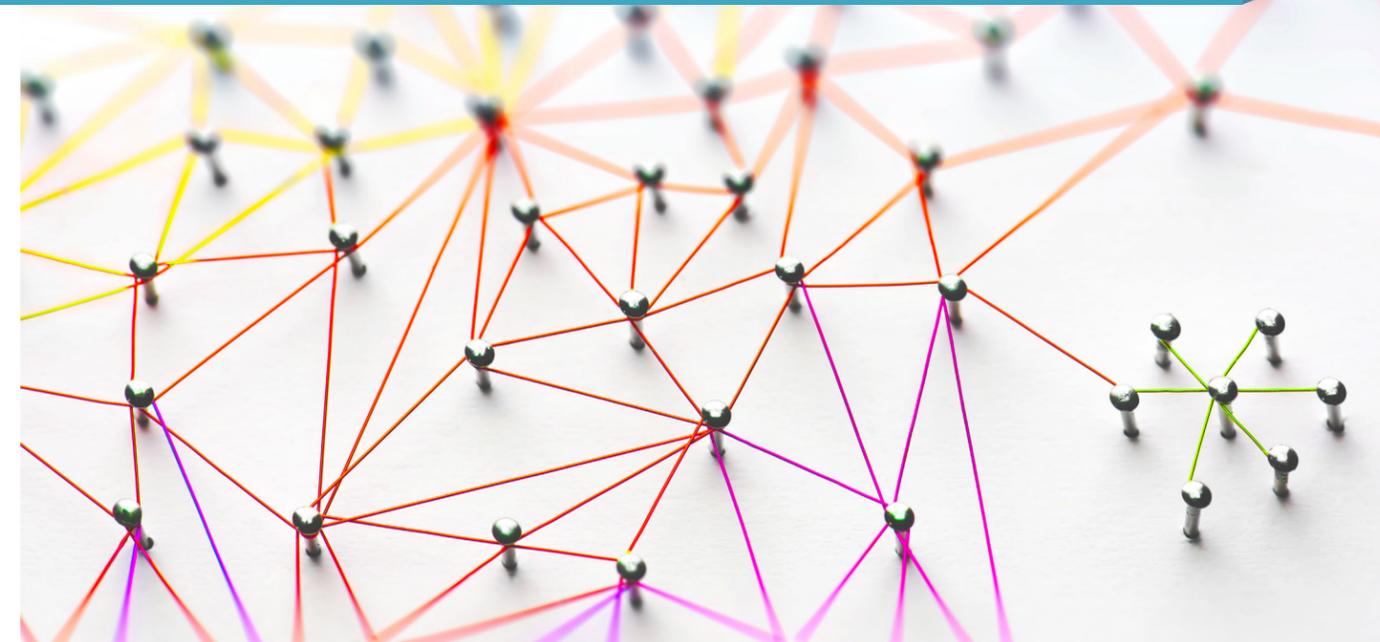
Um problema específico para Deborah e para a comunidade de advocacy era que esta decisão, se implementada totalmente, forçaria alguns pacientes a passar por uma

linha de terapia extra desnecessariamente. “Esses dois novos medicamentos tinham diferentes modos de ação,” explica Deborah. “A partir do ponto de vista do paciente, você deseja escolher uma terapia de segunda linha que faça mais sentido com base na sua experiência com a primeira linha de terapia. Você e seu médico podem decidir continuar com certo modo de ação se você tiver tido uma boa experiência na primeira linha, mas pode decidir trocar para um modo de ação alternativo se sua experiência com a primeira linha não tiver sido tão satisfatória.”

O outro desafio de forçar os pacientes a passar por uma rodada extra de terapia é que poderia haver implicações para a elegibilidade de um paciente para participar de estudos clínicos futuros. “Para nós, isso era completamente desnecessário e precisávamos ver como as províncias no Canadá interpretariam esta decisão do órgão de HTA”.

“As províncias interpretaram essa decisão de forma muito diferente uma da outra. Algumas permitiram isso como uma verdadeira escolha, de modo que os pacientes e seus médicos poderiam selecionar uma ou outra dessas duas opções. Outras seguiram essa recomendação fielmente, precisando verificar evidências médicas de que um paciente não consegue tolerar o medicamento reembolsado antes que pudessem tentar o mais novo. Em uma província eles estavam exigindo até mesmo que os pacientes consultassem um segundo especialista para comprovar esta intolerância,” Deborah diz.

A esperança por uma mudança veio quando a equipe do *Kidney Cancer Canada* recebeu a notificação de que um processo chamado ‘Pedido para Aconselhamento’ tinha sido iniciado para examinar essa questão. O ‘Pedido para Aconselhamento’ é um processo específico que pode ser iniciado quando os planos do medicamento nas províncias têm dificuldades para implementar as recomendações da agência de HTA pan-canadense.



“Esses *stakeholders* que estavam envolvidos na revisão inicial desses dois medicamentos foram alertados pela agência de que este Pedido para Aconselhamento estava em andamento e poderiam enviar uma resposta,” explica Deborah. “Mas nós tínhamos apenas dez dias para preparar nossos argumentos e nossa contribuição neste processo.”

Assim, o *Kidney Cancer Canada* passou por um período intenso de deliberação sobre como eles poderiam tomar esses argumentos claros. “Poderíamos ter continuado com a opção de elaborar uma carta redigida com termos duros que fornecesse a narrativa do motivo pelo qual a evidência não corroborava as restrições atuais do acesso a este medicamento. Esta é uma abordagem que foi usada muitas vezes antes, mas sabemos que esses tipos de narrativas não são considerados como evidências sólidas por aqueles que tomam as decisões.”

Assim, a equipe do *Kidney Cancer Canada* procurou outras formas que eles poderiam gerar novas evidências que demonstrariam que esses dois medicamentos devem receber igual status em termos de reembolso e acesso. Seis anos atrás, o Sistema Canadense de Informações sobre o Câncer Renal [*Canadian Kidney Cancer Information System*] (CKCis) foi definido como um registro nacional baseado na web para corroborar o desenvolvimento de pesquisa clínica e pesquisa básica em câncer renal. “Fizemos parte da Rede Canadense de Pesquisa do Câncer Renal [*Canadian Kidney Cancer Research*

Network] (*krcmc.ca*) e deste projeto desde o início. Para garantir uma concessão governamental, a organização de pacientes dedicou 50.000 dólares canadenses de financiamento logo no início e continua a contribuir anualmente,” diz Deborah. “A CKCis é mais do que um banco de dados, ela inclui bancos de tumores e de sangue de muitos dos centros participantes, juntamente com variáveis de dados especificamente de interesse da organização de pacientes.”

Este banco de dados continua a crescer, e atualmente inclui dados importantes de mais de 9.000 pacientes tratados em grandes centros de câncer no Canadá. As informações são importadas diretamente do EMR (Registro Médico Eletrônico) do paciente, e complementadas com a inserção de dados dos campos adicionais, que rastreiam todo o percurso do tratamento dos pacientes desde o diagnóstico até o óbito, de modo que existe uma mina de ouro de informações de interesse significativo para organizações de pesquisadores e de pacientes semelhantes.”

“O desafio era que este banco de dados tinha uma lista de projetos de pesquisa muito longa que foram enfileirados, e uma solicitação inesperada para fins de HTA não era um deles, então precisávamos trabalhar de forma estreita com as equipes de pesquisa para promover esta questão. Isso não é algo que nós poderíamos fazer regularmente, mas tínhamos um relacionamento bom e próximo com a equipe, que poderia ver

Continua na próxima página...

PRINCIPAIS DICAS

1. Não confiar unicamente na narrativa do paciente para contribuir com as decisões de reembolso e acesso
2. Estreitar relações com a comunidade de pesquisa, vocês precisarão um dos outros
3. Descobrir qual infraestrutura de dados está disponível em seu país e como ela pode ser aproveitada



os benefícios de suprimir as restrições na terapia de segunda linha,” diz Deborah.

A equipe no *Kidney Cancer Canada* explicou aos pesquisadores que eles estavam procurando evidências que poderiam mostrar a equivalência dessas duas terapias de segunda linha. “Sabíamos que haveria pessoas no banco de dados que tinham um desses dois medicamentos, e esperávamos que houvesse dados suficientes para mostrar aos tomadores de decisão que no contexto do mundo real, esses dois medicamentos demonstraram resultados semelhantes ou equivalentes,” ela diz.

Felizmente, os pesquisadores reconheceram a importância desta questão e conseguiram extrair os dados que o *Kidney Cancer Canada* precisava. “Para isso houve necessidade de muito trabalho dos pesquisadores em um espaço muito curto de tempo,” explica Deborah. “Isso mostra quão importante é construir e manter uma relação de trabalho realmente próxima com a comunidade de pesquisa.”

Refletindo sobre a quantidade de trabalho envolvida, Deborah salienta que esses tipos de oportunidades de contribuir no processo de tomada de decisão como este ‘Pedido para Aconselhamento’ chegam sem avisar. “A agência de HTA não nos paga para fazer este trabalho, espera-se que seja totalmente voluntário. Assim, não temos nenhum recurso alocado para ele,” ela diz.

Além do tempo de vários pesquisadores, uma pessoa do *Kidney Cancer Canada* dedicou um tempo pessoal considerável como voluntário na qualidade de Diretor do Conselho para fazer isso acontecer dentro do prazo de 10 dias. “Isso se tornou prioridade número um e uma tarefa gigantesca para um pequeno grupo de pessoas que decidiram fazer isso porque tinham a possibilidade de mudar os critérios de reembolso para melhor.”

O resultado foi bem-sucedido. As evidências apresentadas a partir do banco de dados convenceram os tomadores de decisão a mudar seu posicionamento. “A recomendação agora é de que esses dois medicamentos poderiam ser considerados equivalentes em termos de acesso e reembolso. Esta foi uma vitória real,” diz Deborah. “E a experiência está nos levando a pensar sobre como podemos usar com mais frequência este tipo de evidência do mundo real.”

“Acredito que é neste momento que todos precisamos seguir em frente,” diz Deborah. “O advocacy baseado em evidências é o que tem sido cada vez mais necessário. Como defensores de interesses (*advocates*), precisamos ir além de fazer declarações sobre o que os pacientes querem e precisam a partir de um ponto de vista emocional, moral ou ético. Devemos estar preparados para apresentar argumentos mais sólidos, baseados em evidências que discutam essas incertezas crescentes na tomada de decisão de HTA.”

EVIDÊNCIAS PARA IMPULSIONAR MUDANÇAS NAS POLÍTICAS PÚBLICAS

Kristen Santiago da *Cancer Support Community* [Comunidade de Apoio ao Câncer] explica que ter evidência corrobora para o processo e necessidade de mudanças nas políticas públicas.

A Comunidade de Apoio ao Câncer (CSC) está coletando evidências desde 2009 sobre várias questões que afetam a vida das pessoas com câncer nos Estados Unidos. Em 2017, o grupo publicou seu segundo relatório- índice detalhando o impacto que o câncer está tendo na qualidade de vida, no risco de depressão e o impacto financeiro entre muitas outras questões. Kristen Santiago, Diretora Sênior de Políticas Públicas e Advocacy usa este tipo de dados para convencer os legisladores a tomar medidas para dar melhor suporte aos pacientes, sobreviventes e cuidadores.

“Uma das principais questões que estávamos analisando é a necessidade de fornecer mais suporte a pessoas com câncer em termos de serviços psicossociais,” explica Kristen. “Muitos pacientes, desde os que foram recém-diagnosticados até os pacientes que estão vivendo com câncer há anos podem apresentar sofrimento. Isso foi documentado na literatura revisada por pares, bem como em nosso Registro da Experiência com o Câncer. Sabemos que altos níveis de sofrimento podem afetar negativamente os resultados do paciente”.

A *National Academies of Medicine* [Academia Nacional de Medicina], anteriormente *Institute of Medicine* [Instituto de Medicina], declarou que 50% das pessoas com câncer apresentam níveis de sofrimento. A pesquisa demonstrou que perguntar às pessoas sobre como elas estão enfrentando e avaliando suas necessidades é uma primeira etapa importante na identificação de questões relevantes, que podem levar a uma melhora na qualidade de vida, na capacidade de continuar no tratamento e na satisfação geral do paciente.

O Registro da Experiência com o Câncer inclui uma ferramenta validada chamada *CancerSupportSource*® para avaliar o sofrimento que examina 25 conceitos diferentes relacionados às necessidades psicossociais, práticas e físicas. Esta ferramenta pode ajudar a identificar preocupações que precisam ser discutidas precocemente em um diagnóstico antes que se tornem uma barreira para o tratamento. Esta ferramenta de avaliação também é aplicada por meio da Linha de Assistência de Apoio ao Câncer da CSC e nas Filiadas em todo o país.”

A CSC estava interessada em ter um processo onde a avaliação do sofrimento e o suporte apropriado fossem fornecidos dentro *Continua na próxima página...*





dos protocolos de estudo clínico, e ter mais ênfase na coleta de dados de experiência psicossocial e da experiência do paciente na pesquisa clínica.

“Sabemos que o impacto social e emocional do câncer é inegável, mas o que talvez seja mais convincente para a comunidade de pesquisa é que o sofrimento relacionado ao câncer também pode afetar negativamente a aderência de um paciente a um estudo clínico e a seus medicamentos,” diz Kristen. “Assim, embarcamos em duas estratégias paralelas para mudar o cenário da política para incentivar mais apoio para os pacientes e a coleta de mais evidências para que possamos compreender o impacto nos pacientes.”

Kristen descreve o problema que a CSC está tentando resolver. “Se estudos clínicos e outras formas de pesquisa não estão avaliando o impacto psicossocial da doença e do tratamento, como saberemos se eles estão mensurando os resultados que realmente importam para os pacientes?”, diz Kristen. “Queremos trabalhar com legisladores, reguladores, pesquisadores e com a indústria para nos certificarmos que estamos capturando essas evidências e dando suporte aos pacientes pelos processos.”

Para fazer esta mudança, a CSC embarcou em duas iniciativas separadas. A primeira delas era mudar a definição de ‘dados da experiência do paciente’ usada pela *Food and Drug Administration* [Agência de Controle de Alimentos e

Medicamentos dos EUA] (FDA) de forma que ela englobasse o impacto psicossocial de uma condição, terapia ou investigação clínica.

“A FDA concentrou-se anteriormente apenas no impacto físico nos pacientes, e percebemos que isso não era suficiente. A legislação que rege a *U.S. Food and Drug Administration* (conhecida como a *The Food and Drug Administration Reauthorization Act* [Lei de Reautorização da Agência de Controle de Alimentos e Medicamentos] de 2017 (FDARA)) nos deu uma oportunidade de redefinir esta definição,” diz Kristen.

“Sabemos que para avaliar de forma abrangente o impacto das terapias contra o câncer no mundo real será essencial capturar todas as preocupações dos pacientes como interferências na família e na vida profissional e as questões logísticas e financeiras que eles vivem,” acrescenta Kristen.

A inclusão de linguagem na definição da FDA de dados da experiência do paciente facilitaria a geração deste tipo de evidência psicossocial. “Assim, em 2017, depois de reunir as evidências necessárias para demonstrar esta necessidade, fomos bem-sucedidos em defender os interesses para esta mudança na FDARA,” diz Kristen. “Estamos agora trabalhando com a FDA para garantir que eles utilizem esta definição ampliada em todas as suas orientações, documentos e processos.”

A esperança é que agora que esta definição está em vigor, os pesquisadores começarão a coletar dados da experiência do paciente que podem informar a futura tomada de decisões. “Isso nos ajudará a construir o conjunto de evidências que precisamos para oferecer melhor suporte às pessoas com câncer no futuro,” diz Kristen.

O segundo elemento dos esforços da política da CSC foi dirigido na legislação de apoio chamada ‘*The Patient Experience in Research Act*’ [Lei da Experiência do Paciente na Pesquisa] que criaria um ambiente que exigiria que a indústria farmacêutica avaliasse, documentasse e acompanhasse os fatores sociais e emocionais apresentados pelos pacientes durante estudos clínicos. A lei prevê um projeto piloto que convidaria três fabricantes para coletar dados da experiência do paciente para compreender melhor como os pacientes estão vivendo com sua doença e como são afetados pelo tratamento.

“As evidências eram uma parte essencial de nossa argumentação para a elaboração desta legislação,” diz Kristen. “Os estudos demonstraram, por exemplo, que no câncer de mama, aquelas pacientes que se envolvem em intervenções sociais e emocionais têm benefícios significativos em relação àquelas que não o fazem, como aumento na sobrevivência e um risco reduzido de recorrência.”

“Há uma enorme diferença para os pacientes quando eles precisam viajar muito frequentemente para o tratamento. O impacto deste tempo fora da sua rotina não está sendo capturado, mas seria benéfico para os pacientes saberem que tipo de impacto isso está tendo nas medidas de qualidade de vida e psicossociais,” acrescenta Kristen. “Por fim, queremos que as evidências guiem os pacientes de modo que eles tenham uma oportunidade de tomar decisões com base na variedade total de tratamentos e impactos relacionados.”

O processo de promulgar a legislação dessa forma é longo. “Começa com a conscientização com os legisladores. Construímos relações sólidas durante muitos anos e temos protetores na Câmara e no Senado com quem trabalhamos estreitamente,” diz Kristen. “Parte disso é o compartilhamento dos dados que temos com eles de modo que eles estejam munidos com os fatos que permitem angariar apoio entre os colegas.”

Em seguida, a equipe terá que trabalhar em uma solução concreta que eles podem levar aos legisladores para *feedback* e adaptação.

“Temos de criar a solução, e isso leva tempo. Os legisladores precisam ver algo com o qual eles possam trabalhar e reagir,” diz Kristen. “Para esta lei, trabalhamos estreitamente com a Representante Diana DeGette e o Representante Leonard Lance para elaborar a linguagem legislativa e continuamos a trabalhar com seus departamentos e seus colegas para construir o apoio para a lei. Todo este processo leva anos – criar os argumentos, elaborar a lei e trabalhar com os decisores políticos.”

“O que ficou claro para nós que estamos trabalhando na política é que o uso contínuo da evidência para corroborar a necessidade de evidências psicossociais continua tão importante quanto antes,” diz Kristen. “Acredito que nós, nos EUA, estamos um pouco atrás da curva aqui. Ouvimos casos de todo o mundo onde os dados da experiência do paciente estão fazendo parte da tomada de decisão. Continuaremos a reunir nossas próprias evidências sobre a necessidade de fornecer mais suporte aos pacientes, e munir nossos decisores políticos com isso de modo que eles possam lutar por um futuro onde é normal coletar estas evidências na pesquisa e usá-las para criar um ambiente melhor e dar suporte a pessoas com câncer.”

PRINCIPAIS DICAS

1. Ser realista sobre o tempo necessário para mudar as políticas e promulgar leis
2. Se possível, utilizar processos e legislação existentes para obter as alterações que você está procurando
3. Os legisladores exigem evidências antes de agir, então mapeie as evidências disponíveis e realce qualquer lacuna que precisa ser preenchida
4. Não ficar desapontado com contratempos, eles são normais.

PREENCHENDO AS LACUNAS EM EVIDÊNCIA POR MEIO DO DESENVOLVIMENTO DE UM REGISTRO

Cânceres raros expõem aos pesquisadores e à comunidade de pacientes muitas perguntas não respondidas. No melanoma ocular, a equipe da CURE OM, uma iniciativa da *Melanoma Research Foundation* [Fundação de Pesquisa do Melanoma] (MRF), embarcou no desenvolvimento de um registro relatado pelo paciente para responder confiantemente alguns dos mistérios que esta forma de melanoma apresenta. Aqui, a Dra. Sara Selig da CURE OM e Kyleigh LiPira da MRF explicam porque isso é tão importante para elas.

A Dr. Sara Selig, cofundadora e diretora da CURE Ocular Melanoma (CURE OM) está em uma missão desde que seu marido foi diagnosticado com melanoma ocular (MO) em 2006. “Eu não sabia nada sobre esta doença, até que meu marido, Gregg, foi diagnosticado. Então, eu me dediquei a aprender o máximo que pudesse,” Sara diz.

“O que nos espantou imediatamente foi a necessidade de mais pesquisa nesta área, bem como a necessidade de maior suporte e orientação para as comunidades de pacientes e cuidadores, e a necessidade de advocacy para apoiar toda a área. Assim, nos unimos com a *Melanoma Research Foundation* e estabelecemos a CURE OM (*Community United for Research and Education of Ocular Melanoma* [Comunidade Unida para Pesquisa e Orientação sobre o Melanoma Ocular]),” diz Sara.

Infelizmente, Gregg não venceu esta batalha com a doença, e isso incentivou Sara a continuar fazendo aquelas perguntas básicas sobre a doença. “Embora existam pesquisadores incrivelmente dedicados em MO, ainda há muito que nós simplesmente não conhecemos,” explica Sara. “A ciência básica e as causas da doença ainda precisam ser identificadas, e existem dúvidas sobre a experiência do paciente, e como diferentes abordagens no manejo do MO levam a resultados. Assim, por mais de cinco anos, estamos discutindo como preencher essas lacunas.”

Para Kyleigh LiPira, Diretora Executiva da *Melanoma Research Foundation*, a CURE OM é exatamente o tipo de iniciativa que a MRF considera que deve ser apoiada. “Este é o tipo de melanoma que é devastador. Os pacientes e seus familiares estão procurando respostas e precisam de suporte. É por isso que estamos comprometidos com a iniciativa da CURE OM e apoiando a pesquisa em MO.”

Embora muita pesquisa sobre doença rara seja apoiada pelo uso de registros, a ideia de desenvolver um registro de pacientes para o melanoma ocular não foi uma decisão imediata. Todos os anos, a CURE OM convoca conferências anuais para reunir os maiores especialistas para avaliar a ciência e as questões de MO, realizando normalmente duas reuniões por ano.

“Nessas reuniões, as mesmas dúvidas continuavam surgindo,” diz Sara. “Estamos identificando a necessidade de mais informações sobre os dados demográficos daqueles com melanoma ocular, a necessidade de amostras de tecido que poderiam, talvez, nos fornecer pistas de sua origem e do mecanismo molecular, e os resultados das diferentes abordagens para controlá-la e tratá-la – tudo isso nos levando mais perto de tratamentos eficazes e, por fim, uma cura.”

É por meio dessas discussões repetidas sobre as lacunas no conhecimento que Sara e os consultores da CURE OM começaram a perceber que é necessário o registro de pacientes para começar a coletar os dados para responder a essas perguntas. “Existem muitos gatilhos para esta decisão, mas talvez aquele que prendeu a atenção do público foi um grupo de pessoas na Carolina do Norte que desenvolveu a doença e todos viviam muito próximos uns dos outros. Isso trouxe as mesmas dúvidas sobre a causalidade que todos estávamos nos perguntando nos anos anteriores.”

A Dra. Marlana Orloff, membro do Comitê Diretivo de Registro da CURE OM, explica porque tem sido tão difícil descobrir sobre a história natural do melanoma ocular. “O melanoma ocular, além de ser um câncer raro, apresenta várias outras características que o tornam extremamente difícil de ser rastreado no sentido do registro estadual tradicional do câncer,” diz Marlana. “Existem problemas no fato de que a maioria dos pacientes é diagnosticada (e



tratada) fora de seu estado e desse modo não inseridos nos registros do estado onde reside. Além disso, geralmente não há nenhum diagnóstico por biópsia ou de patologia na apresentação primária. Por fim, não há um código de diagnóstico satisfatório e uniforme que incorpora a patologia e a localização.”

Conforme esses desafios eram analisados pela equipe e pelos consultores, ficava mais claro que o objetivo deve ser ter um ‘registro alimentado e relatado pelo paciente’, aquele no qual os próprios pacientes ajudam a desenvolver o registro e podem inserir seus próprios dados. Neste sentido, o registro ajudará a responder essas perguntas importantes para todas as partes interessadas e conseguir capturar dados dos pacientes entre as fronteiras estaduais e entre instituições, superando, portanto, um grande obstáculo nas abordagens do registro atual.

“Com um registro relatado pelo paciente conseguiríamos capturar informações de pacientes independentemente do local onde vivam, e mesmo por todo o mundo. Deste modo, estamos pensando grande. Também conseguiríamos capturar informações que apenas os pacientes sabem, como sua experiência ao longo do tempo, suas preferências, a suas jornadas pelos centros de tratamento,” diz Sara. “Isso ocorrerá entre instituições de modo que possamos agrupar

os dados de vários centros onde os pacientes podem estar recebendo tratamento. Conseguiremos avaliar os dados de uma forma nova e mais abrangente.”

Configurar um registro é uma tarefa desafiadora, e a equipe da CURE OM está no meio do processo. Eles garantiram o financiamento para desenvolver os conceitos e realizar o planejamento, e essa fase já está quase acabando. Sara descreve as principais etapas que ela e a equipe seguiram para conseguir realizar este objetivo. “Começamos aprendendo mais sobre os próprios registros. Não tínhamos estimado a amplitude e a profundidade dos registros no início. À medida que começamos a aprender mais, tivemos um momento real de ‘súbita inspiração’ quando percebemos que poderíamos alcançar muito mais com essa abordagem.”

“Em seguida, descobrimos pessoas que sabiam sobre os registros e começamos a fazer um monte de perguntas, para realmente nos instruímos sobre as possibilidades e as vantagens das várias opções. Por meio disso, conseguimos nos conectar com uma pessoa com experiência em registros que poderia nos orientar, Jacqueline Kraska. Temos o prazer de dar as boas-vindas a Jacqui em nossa equipe,” Sara acrescenta.

A próxima etapa foi envolver a comunidade nos esforços de captação de recursos de modo que a CURE OM teria o

Continua na próxima página...

7

Guia para registro de doença rara: Global Genes

8

NIH: Lista de registros

O Navegador de EMR do GetReal:

Etapa 1: Esclarecer os problemas

Esta seção ajuda a **compreender melhor os possíveis problemas** (ou 'problemas de eficácia') para demonstrar a eficácia relativa de um medicamento, incluindo as ações que podem ser usadas para explorar os possíveis problemas.

ESCLAREÇA OS PROBLEMAS

Etapa 2: Encontrar opções de Evidências do Mundo Real (EMR)

A função desta seção fornece **diferentes desenhos de estudo ou técnicas analíticas** que poderiam ser consideradas para **discutir os problemas** (ou 'desafios de eficácia'), dependendo da etapa do desenvolvimento de um medicamento e a categoria de PICO* relevante.

ENCONTRE AS OPÇÕES DE EMR

*PICO: População, Intervenção, Comparador, Desfecho (do inglês Outcome)

Diretório de recursos

Acesso a todos os **sites**, como informações gerais sobre as evidências do mundo real (EMR), fontes e desenho do estudo que fornecem EMR, métodos analíticos que utilizam EMR, e encontrar o trabalho do GetReal relacionado e outras fontes oficiais.

LEIA MAIS

que outras pessoas descubram mais sobre as evidências do mundo real e sua aplicação na tomada de decisões na saúde. "Você pode brincar com esta ferramenta para navegar em vários problemas em que nós, e outros membros da aliança, trabalhamos. Você pode visualizar o trabalho publicada da aliança e pode até mesmo inscrever-se em um curso sobre evidências do mundo real," diz Kawaldip.

Em termos do compromisso da IAPO, o GetReal foi cofinanciado pela União Europeia e pelos membros da indústria e assim a IAPO não teve que procurar financiamento adicional para se associar. "Tínhamos muitas pessoas neste projeto em várias ocasiões. Existem reuniões para participar e muitas teleconferências," lembra Kawaldip. "Algumas vezes o projeto precisava de contribuição de uma política, e assim nosso diretor de políticas se envolvia, algumas vezes estávamos pedindo contribuições dos nossos membros e então nos apoiariamos em nossos associados. A lista continua."

"Mas o comprometimento tem valido a pena," diz Kawaldip. "Esse é um tópico importante que moldará o futuro de como a pesquisa é realizada. Eles teriam perdido as percepções mais importantes, as percepções do paciente, sem nosso envolvimento. Então, estou orgulhoso do que conquistamos."

PRINCIPAIS DICAS

1. Compreender o comprometimento necessário e as habilidades exigidas para participar de uma aliança
2. Buscar a contribuição de seus membros nas áreas em questão e nos concentrarmos nelas
3. Associar a iniciativas políticas que você já pode estar realizando
4. Mesmo se houver financiamento para cobrir esses custos, saiba que você às vezes precisará dedicar mais tempo do que o esperado

sobre como a pesquisa e o desenvolvimento poderiam ser melhorados para satisfazer mais estreitamente as necessidades dos pacientes."

Como na maioria das grandes alianças, o trabalho foi dividido em 'pacotes de trabalho' e a IAPO se envolveu com dois pacotes principais. "O primeiro pacote de trabalho era todo sobre estimar a eficácia de novos medicamentos usando evidências do mundo real. A segunda área na qual nos concentramos foi avaliar as formas de gerar e usar evidências do mundo real em um momento mais precoce no desenvolvimento de medicamentos," diz Kawaldip.

"Na IAPO, temos realmente pensado sobre de que formas poderíamos reduzir o tempo para desenvolver medicamentos. A esperança é de que com tempos de desenvolvimento mais curtos, novos medicamentos podem chegar aos pacientes mais rapidamente e o custo do desenvolvimento será menor," acrescenta Kawaldip.

Outra oportunidade para evidências do mundo real é que elas podem ser usadas para compreender melhor o ponto de vista do paciente e, por fim, demonstrar o valor relevante para o paciente de um medicamento ou intervenção médica específica. "O que fizemos foi trazer a dimensão daquele paciente para as discussões."

As preferências do paciente estavam ausentes e foram esses tipos de conceitos que acrescentamos a aliança," lembra Kawaldip.

Como parte deste trabalho, a aliança publicou um conjunto de recomendações políticas que inclui uma seção sobre o amplo envolvimento de pacientes nas evidências do mundo real e na tomada de decisões. Isso fez com que os pacientes se envolvessem em todas as etapas do processo de tomada de decisão; que os pacientes sejam considerados como parceiros de pesquisa adequados; e que informações apropriadas sejam fornecidas antes, durante e após a conclusão do processo de pesquisa de modo que os pacientes sejam informados.

"São esses tipos de políticas que garantirão que os pacientes compreendam e participem dos projetos de evidências do mundo real," diz Kawaldip. "Identificamos também que há mais trabalho a ser feito para explicar os estudos de evidências do mundo real em linguagem clara de modo que as pessoas saibam como diferem de tipos mais tradicionais de pesquisa."

No centro dos resultados desta aliança está o 'Navegador de EMR' – uma ferramenta on-line que reúne o trabalho no GetReal em três etapas principais. Esta ferramenta facilita



COMEÇANDO ENQUETES

Para os grupos de defensores (*advocates*) e pacientes que estão apenas começando a gerar suas próprias evidências por meio da utilização de pesquisas, existe muita orientação sobre a melhor forma de criar uma enquete. A maioria das universidades publica orientações para pesquisadores que podem ser muito úteis, e alguns sistemas de saúde também fornecem orientação para aqueles que fazem enquetes sobre cuidados com a saúde. Abaixo estão as áreas mais comuns a serem consideradas.

Objetivo (Finalidade da enquete)

- Certifique-se dos objetivos antes de elaborar qualquer pergunta. Você pode se concentrar em um problema específico ou direcionar para um grupo específico de pacientes
- Vale sempre a pena verificar se já não foi realizada uma enquete semelhante recentemente, isso pode significar que sua enquete não é necessária

Elaborando perguntas

- Envolver os pacientes, cuidadores no desenvolvimento e revisão das perguntas
- Tente manter o questionário curto – o máximo deve ser cerca de 25 perguntas
- Concentre-se em fazer somente uma pergunta por vez. Por exemplo, "Nosso folheto de informações foi claro e útil?" são duas perguntas, então divida-as
- Pense a respeito da ordem das perguntas. As pessoas podem ser influenciadas pelas perguntas anteriores na enquete. Então, tente fazer primeiro as perguntas gerais e depois passe para áreas específicas que deseja abordar
- Geralmente é melhor deixar as perguntas sobre dados demográficos para o final da enquete

Tipos de perguntas (abertas versus fechadas)

- Perguntas abertas permitem que os pesquisados respondam do seu próprio jeito. Você receberá uma variedade maior de respostas, mas terá mais trabalho para analisá-las
- Perguntas fechadas exigem que as pessoas escolham a partir de uma lista fixa de respostas e são mais fáceis de serem analisadas

Testando sua enquete

- Faça um teste com algumas poucas pessoas que correspondem ao grupo alvo. Eles entenderam as perguntas?
- As respostas recebidas correspondem às suas expectativas? Caso contrário, talvez as perguntas precisem ser mais claras

Enviando sua enquete

- Enquetes on-line e por e-mail podem funcionar para a maioria das pessoas, mas alguns grupos vulneráveis e difíceis de serem contatados podem precisar de uma enquete por correio ou telefone

Confidencialidade e privacidade

- Se estiver coletando dados pessoais esteja ciente das leis locais de privacidade que podem ser aplicáveis, e seja claro com os participantes sobre a forma como a confidencialidade é tratada

Exemplos de orientação para leituras suplementares:



Página de dicas da Harvard University sobre formulação de perguntas



Orientação do Scottish Health Council [Conselho de Saúde Escocês] para enquetes e questionários



Projeto de Enquetes da Virginia University: Obtendo os resultados que você precisa

COMEÇANDO PARTICIPANDO DE UMA COALIZÃO

Muitos dos estudos de caso neste documento incluem projetos em que diferentes organizações se reúnem em uma coalizão. Existem muitos tipos de coalizão e muitos motivos para participar de um deles. Talvez a maior oportunidade para coalizão com várias partes interessadas seja a *Innovative Medicines Initiative* [Iniciativa de Medicamentos Inovadores] (IMI), um projeto da União Europeia. A seguir, está um resumo da orientação aplicável a várias outras oportunidades de coalizão.

Decida em que nível você deseja estar envolvido

- Em muitas coalizões, existe a oportunidade de ser um parceiro integral do projeto ou um parceiro do comitê consultivo
- Um parceiro integral do projeto será um membro igual da coalizão com os outros parceiros, e terá mais responsabilidade e compromisso
- Um parceiro do comitê consultivo permitirá inserir a experiência do paciente em um projeto, mas você não fará parte das equipes de atendimento do projeto

Informe os outros o quanto você deseja estar envolvido

- Organizações como a IMI publicam uma lista de tópicos que estão sob consideração. Monitore esses canais e, quando você visualizar um tópico que seja de interesse, peça ajuda à sua rede de outros defensores de interesses (*advocates*) e pesquisadores para que eles saibam que você está interessado
- Inicie as discussões com outras pessoas que também estão interessadas em definir o papel que você pode desempenhar dentro da coalizão
- Algumas organizações como a IMI têm uma ferramenta de busca de parceiros para que os possíveis parceiros possam se encontrar
- Ferramentas de relacionamento social também são usadas para encontrar parceiros para coalizão. A IMI tem um grupo dedicado no LinkedIn onde as informações são distribuídas

Seja claro sobre o comprometimento

- Ser um parceiro integral do projeto pode ser um grande compromisso. Converse com as outras pessoas que estão envolvidas em coalizões semelhantes para compreender como foi a experiência deles e como eles lidaram com ela
- Haverá obrigações contratuais a serem cumpridas na qualidade de parceiro integral do projeto, então esteja preparado para lidar com a revisão e assinar um contrato de coalizão
- Como membro integral do projeto, geralmente há uma função para você na administração do projeto, inclusive de fazer parte do grupo diretivo

O que você pode alcançar?

- As coalizões geralmente são formadas para tratar de questões que um grupo de pessoas interessadas não consegue resolver sozinho. Muitas vezes, eles tratam de grandes áreas que precisam de habilidades e conhecimento de vários parceiros
- Examine os resultados dos projetos da coalizão que já concluíram seu trabalho para determinar o tipo de impacto que esses projetos podem gerar (consulte o link da EUPATI abaixo para ver um exemplo)
- Identifique grupos de pacientes que estão envolvidos nesses projetos e peça ajuda à eles para fazer uma avaliação clara de suas funções no projeto e o impacto que eles acreditam que sua contribuição teve

Exemplos de orientação para leituras suplementares:



O Projeto da EUPATI



Portal da IMI sobre futuros tópicos e convites abertos à apresentação de propostas



Brochura do Paciente da Iniciativa de Medicamentos Inovadores

1 ATLAS ELETRÔNICO DA COALIZÃO GLOBAL CONTRA O CÂNCER DE PULMÃO

O QUE É?

Um mapa interativo que permite explorar e comparar os dados sobre câncer de pulmão dos países pelo mundo. Os dados incluem mortalidade e, em muitos casos, dados de sobrevida, bem como problemas relacionados à política como a existência e implementação de planos para o câncer.

POR QUE É RELEVANTE?

Este é um bom exemplo de como dados existentes podem ser reunidos em um formato que defensores de interesse (*advocates*) podem utilizar para informar suas atividades da política de saúde.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Se você for ativo na área de câncer de pulmão, a ferramenta pode ser usada para ajudar a planejar algumas das iniciativas que você possa estar considerando. Para aqueles que estão fora da área do câncer de pulmão, a ferramenta fornece um bom exemplo do que pode ser alcançado com os dados existentes.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

2 SMART MAP DA RCLCF

O QUE É?

Este é um mapa nacional de serviços para o câncer de pulmão no Reino Unido. Assim como o atlas da GLCC, esta é uma ferramenta que reúne dados existentes. No entanto, como o conjunto de dados é mais abrangente, ele contém estatísticas mais detalhadas.

POR QUE É RELEVANTE?

Muitos sistemas de saúde realizam auditorias nacionais dos cuidados fornecidos para doenças específicas. Esses dados geralmente são difíceis de serem encontrados ou interpretados. O Smart Map mostra como esses dados podem ser reunidos e apresentados de uma forma que os pacientes, defensores de interesses (*advocates*), clínicos e responsáveis de política da saúde consigam usar.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Utilize este mapa inteligente como um exemplo para mostrar aos seus colegas se há conjuntos de dados semelhantes disponíveis em seu país.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

UNIVERSITY OF BIRMINGHAM: PROLEARN 3

O QUE É?

Informações livremente acessíveis sobre as medidas de Resultados Relatados pelo Paciente (PROs) desenvolvidos para explicar os PROs para aqueles que são novos na área.

POR QUE É RELEVANTE?

Os Resultados Relatados pelo Paciente são atualmente uma ferramenta padrão usada em estudos clínicos e outras formas de pesquisa de cuidados com a saúde. Como os pacientes devem preencher essas ferramentas, é importante que os defensores de interesse (*advocates*) as compreendam e as principais diferenças entre os diferentes tipos de PROs.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Uma seção deste site é dedicada aos PROs para defensores de interesses (*advocates*) do paciente. Ela contém vídeos e outros *links* que foram desenvolvidos para ajudar as organizações de pacientes a ganharem velocidade com o uso de PROs.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

ARTIGO REVISADO POR PARES DA SISAQOL 4

O QUE É?

A primeira publicação do estudo de caso da SISAQOL que descreve a justificativa para padronização da análise de PRO e as ferramentas de qualidade de vida relacionada à saúde.

Observação: Esta é uma publicação paga

POR QUE É RELEVANTE?

Para aqueles que desejam compreender mais sobre a necessidade de uma abordagem padrão para análise de PRO, este artigo de opinião fornece uma boa base.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Use este artigo se você estiver profundamente envolvido no desenvolvimento ou uso dos PROs

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

5

O PAPEL DOS REGISTROS ALIMENTADOS PELO PACIENTE

O QUE É?

Este é um artigo técnico da Agência para Pesquisa em Cuidados com a Saúde e Qualidade nos EUA que discute o papel dos registros alimentados pelo paciente (aqueles desenvolvidos por organizações de advocacy) e redes de pesquisa alimentadas pelo paciente.

POR QUE É RELEVANTE?

Cada vez mais organizações de advocacy estão detectando perguntas não respondidas que a comunidade de pesquisa não está discutindo. Muitos decidem desenvolver seu próprio registro para coletar dados para responder a essas perguntas.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Esta é uma boa leitura de base para compreender como essas iniciativas dirigidas pelo advocacy são percebidas e usadas.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

6

RELATÓRIO DO REGISTRO DA EXPERIÊNCIA COM O CÂNCER DE 2017

O QUE É?

A Comunidade de Suporte ao Câncer está executando seu registro de experiência por muitos anos. Este relatório de 2017 detalha os últimos resultados da experiência que as pessoas com câncer nos EUA estão relatando.

POR QUE É RELEVANTE?

Para aqueles que estão nos EUA, este relatório fornece um panorama geral bem completo dos problemas que as pessoas com câncer enfrentam no país. Este relatório concentra-se no sofrimento relacionado ao câncer, na qualidade de vida, na tomada de decisão sobre o tratamento, na toxicidade financeira e em experiências relacionadas ao trabalho.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Para aqueles que estão nos EUA, essas informações podem ser usadas para ajudar as iniciativas de advocacy. Para aqueles que não estão nos EUA, este é um bom exemplo dos tipos de dados de experiência que podem ser gerados a partir de um registro de experiência.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

GUIA DE REGISTROS DE DOENÇAS RARAS

7

O QUE É?

Da organização *Global Genes*, este é um guia on-line para registros de doenças raras.

POR QUE É RELEVANTE?

Este é um guia bem estruturado com alto nível de detalhes. Ele contém seções sobre a compreensão, planejamento e desenvolvimento de registros, além de dicas sobre como garantir um registro bem-sucedido. Existe também um guia útil de recursos para as pessoas aprenderem mais.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Se você está pensando em iniciar um registro, este guia explicará alguns dos princípios básicos que você precisa conhecer.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

LISTA DE REGISTROS DE NIH

8

O QUE É?

Uma lista das perguntas feitas com frequência sobre os registros juntamente com um índice de A-Z de alguns dos registros que já foram organizados.

POR QUE É RELEVANTE?

Antes de decidir começar um novo registro, é importante verificar o que já existe. Há várias listas de registros em todo o mundo, esta é baseada principalmente nos Estados Unidos. Desse modo, use esta lista como um ponto de partida para verificar o que já existe, mas pesquise de forma mais ampla do que esta lista para se certificar que você tem uma visão completa.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Utilize esta lista para identificar registros que poderiam ser um recurso útil para você, como parte de sua devida diligência antes de criar um novo registro.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

9 NAVEGADOR DE EVIDÊNCIAS DO MUNDO REAL

O QUE É?

Um recurso educacional on-line que ajuda os usuários a descobrir mais sobre o potencial de evidências do mundo real. Algumas orientações são fornecidas e um diretório de recursos está incluído.

POR QUE É RELEVANTE?

Muitas das informações no navegador são técnicas, desenvolvidas para aqueles que criam estudos da evidência do mundo real. No entanto, as seções do Navegador exploram o papel dos grupos de pacientes e de advocacy.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

O site é claramente estabelecido em etapas e vale a pena dar uma olhada no conteúdo se você está começando a se envolver com os projetos de evidência do mundo real.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



<https://rwe-navigator.eu>

10 PONTOS DE VISTA DO PACIENTE SOBRE AS EVIDÊNCIAS DO MUNDO REAL

O QUE É?

A partir do Conselho Nacional de Saúde, este relatório de uma mesa-redonda de 2017 esclarece os pontos de vista dos pacientes sobre as evidências do mundo real e explora as habilidades necessárias para fazer o melhor uso dele.

POR QUE É RELEVANTE?

Para aqueles grupos que estão envolvidos nos projetos de evidência do mundo real, ele fornece um bom resumo dos problemas para estar ciente a partir de um ponto de vista do paciente. Faz uma boa leitura de base e identifica alguns dos desafios.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Utilize-o como leitura de base para dar suporte a qualquer trabalho que você esteja fazendo na área de evidências do mundo real.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

DESENVOLVIMENTO DO MEDICAMENTO FOCADO NO PACIENTE DA FDA

O QUE É?

Um site fornecido pela FDA que descreve sua abordagem para o desenvolvimento de medicamentos centrado no paciente, a necessidade de dados da experiência do paciente e os resultados de reuniões recentes com a FDA e outras reuniões externas sobre este assunto.

POR QUE É RELEVANTE?

Os defensores de interesses (*advocates*) estão cada vez mais sendo convidados a fazer parte dos processos de desenvolvimento do medicamento e são úteis para visualizar quais outras organizações estão participando deste espaço.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Este é um site que vale a pena visitar regularmente uma vez que a FDA ainda está desenvolvendo sua abordagem para este tópico. O centro também contém links para recursos externos além da FDA que podem direcioná-lo para outras iniciativas semelhantes.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

VISÃO GERAL

O QUE É?

Um site que fornece um panorama geral e a estrutura de trabalho usada pela Agência de Medicamentos da Europa para envolver os pacientes e cidadãos em suas atividades.

POR QUE É RELEVANTE?

Os defensores de interesses (*advocates*) e pacientes tornam-se mais importantes para o desenvolvimento e geração de dados, é importante compreender como os reguladores também estão envolvendo os pacientes. Este site fornece um amplo panorama geral desta situação.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Existem *links* neste site que incluem uma grande variedade de questões mais uma lista de diferentes comitês e conselhos onde acontecem as representações do paciente. Se você estiver interessado em participar das atividades da EMA, este é um bom lugar para começar.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

DECISÕES BASEADAS EM EVIDÊNCIAS EM DOENÇAS RARAS

O QUE É?

Um relatório que avalia a abordagem de várias partes interessadas para melhorar a base de evidências para a tomada de decisão pelos reguladores e pelos órgãos de Avaliação de Tecnologia da Saúde na área de doenças raras.

POR QUE É RELEVANTE?

Cânceres raros representam um desafio na coleta e utilização de evidências necessárias para embasar as decisões. Este relatório reúne vários pontos de vista que avaliam esta questão, bem como sugerem áreas que devem ser melhoradas. O relatório inclui vários exemplos de boas práticas.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Se você estiver envolvido em cânceres raros, este é um relatório que vale a pena ler para verificar como as várias partes interessadas veem a necessidade de dados da experiência do paciente de fazer parte da tomada de decisões.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

HTAi VORTAL

O QUE É?

Uma biblioteca de artigos revisados por pares na área de envolvimento do paciente na Avaliação de Tecnologia da Saúde (ATS).

POR QUE É RELEVANTE?

Ele contém seções de PROs, preferências e contribuições do paciente e muitas outras categorias relacionadas. Se você estiver trabalhando com órgãos de ATS e quiser saber mais sobre os métodos e evidências que eles utilizam, muitos artigos dessa biblioteca podem ajudar.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Explore a biblioteca por categoria, concentrando-se nas seções relevantes do paciente para verificar o que está lá. Um bom artigo de partida a ser avaliado seria: Facey K, et al. *Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation.*

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

VALOR DO PACIENTE: PONTOS DE VISTA DA COMUNIDADE DE ADVOCACY

O QUE É?

Um artigo revisado por pares elaborado por muitos membros do grupo de *Global Oncology Advocacy Leaders* [Líderes Globais de Advocacy em Oncologia] (GOAL) que discute os conceitos de valor em cuidados oncológicos a partir do ponto de vista do paciente.

POR QUE É RELEVANTE?

Existe um debate constante sobre como o valor é percebido na oncologia, e uma proliferação de estruturas de valor. Este artigo discute os conceitos por trás do valor e reconhece que os valores de uma pessoa não são os mesmos de outra.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Utilize este artigo para mais discussões sobre o valor dentro de suas próprias organizações e apresente a outras partes interessadas para motivar o diálogo entre os grupos de partes interessadas sobre o valor.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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

TRANSFORMAÇÃO DO PROJETO

O QUE É?

Um projeto da LUNgevity em parceria com a *John Hopkins School of Public Health* para quantificar as preferências do paciente no câncer de pulmão.

POR QUE É RELEVANTE?

Este é um exemplo de como as organizações de pacientes estão se associando com a comunidade de pesquisa para responder algumas perguntas fundamentais sobre as preferências e necessidades de pessoas com um câncer específico.

COMO POSSO UTILIZÁ-LO?

Pode ser usado como um exemplo de projeto à medida que você pensa nas formas que você poderia gerar ou usar os dados dentro do seu próprio grupo de defesa de pacientes.

ONDE POSSO ENCONTRÁ-LO?



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



A participação dos advocates neste documento é não vinculativa, voluntária e não remunerada. A Bristol Myers Squibb (BMS) forneceu suporte financeiro para a elaboração, edição e impressão desta publicação. A BMS não forneceu nenhuma remuneração a nenhum dos defensores de interesses (advocates) nem a nenhuma organização pela sua participação neste documento. O conteúdo do documento final reflete as entrevistas realizadas com os defensores de interesses (advocates) que tinham total controle editorial sobre os artigos finais.