

Real World Evidence: Mitos y Realidades

**Fondo Nacional de Recursos
Unidad de Evaluación
Abayubá Perna,
Setiembre de 2025**

- Conceptos básicos de RWE
- Ejemplo del Uruguay
- Mitos y realidades

- Conceptos básicos de RWE

Conceptos RWD/ RWE



Real
world
data
(RWD)

Datos sobre los efectos de las intervenciones de salud que no se recopilan en el contexto de ensayos clínicos aleatorizados altamente controlados

Los RWD se pueden obtener de muchas fuentes: registros de salud electrónicos , registros de pacientes, y otras fuentes de datos recopilados de forma rutinaria dentro de la práctica clínica habitual

Real
world
evidence
(RWE)

La evidencia derivada del análisis y síntesis de datos del mundo real (RWD)

- **Datos del Mundo Real (RWD):** La materia prima. ¿De dónde vienen? Historias clínicas electrónicas, bases de datos de reclamos, registros de pacientes, datos de dispositivos wearables, etc.
- **Evidencia del Mundo Real (RWE):** Lo que se obtiene al analizar y usar los RWD. Es la evidencia clínica sobre el uso y los beneficios o riesgos de un producto médico en la práctica clínica real.







Population		Ensayo clínico	Sistema de salud
Tipo de estudio/ Fuentes	RCTs (randomized controlled trials)		Estudios observacionales/ estudios de cohortes /Registros electrónicos
Características del diseño	↑ validez interna ↓ validez externa		↓ validez interna ↑ validez externa
Outcomes	Eficacia	↔ Gap	Efectividad

La discrepancia observada entre los efectos de una intervención de salud en la práctica clínica habitual (efectividad) en comparativo con los efectos demostrados en ensayos controlados aleatorios (eficacia) se conoce como la **brecha eficacia -efectividad**

Conceptos básicos (5)

Diseños

Descriptivos



Observacionales

Corte transversal

Ecológicos

Serie de casos

Observacionales

Corte transversal

Casos controles

Cohortes

Analíticos

Experimentales

Ensayos clínicos
controlados
aleatorizados

Cuasi Experimentales

Estudios observacionales (especialmente de cohortes)

Aportes en el ciclo de evaluación de una tecnología

Ayuda a identificar mejor a los pacientes que se benefician más de los tratamientos, así como a aquellos que no se benefician

Los resultados se pueden recopilar en una variedad de entornos de la práctica médica típica

Estimar beneficios a mas largo plazo así como eventos adversos a largo plazo o raros

Permite la recopilación de datos más representativos sobre el uso de recursos y costos en la práctica diaria

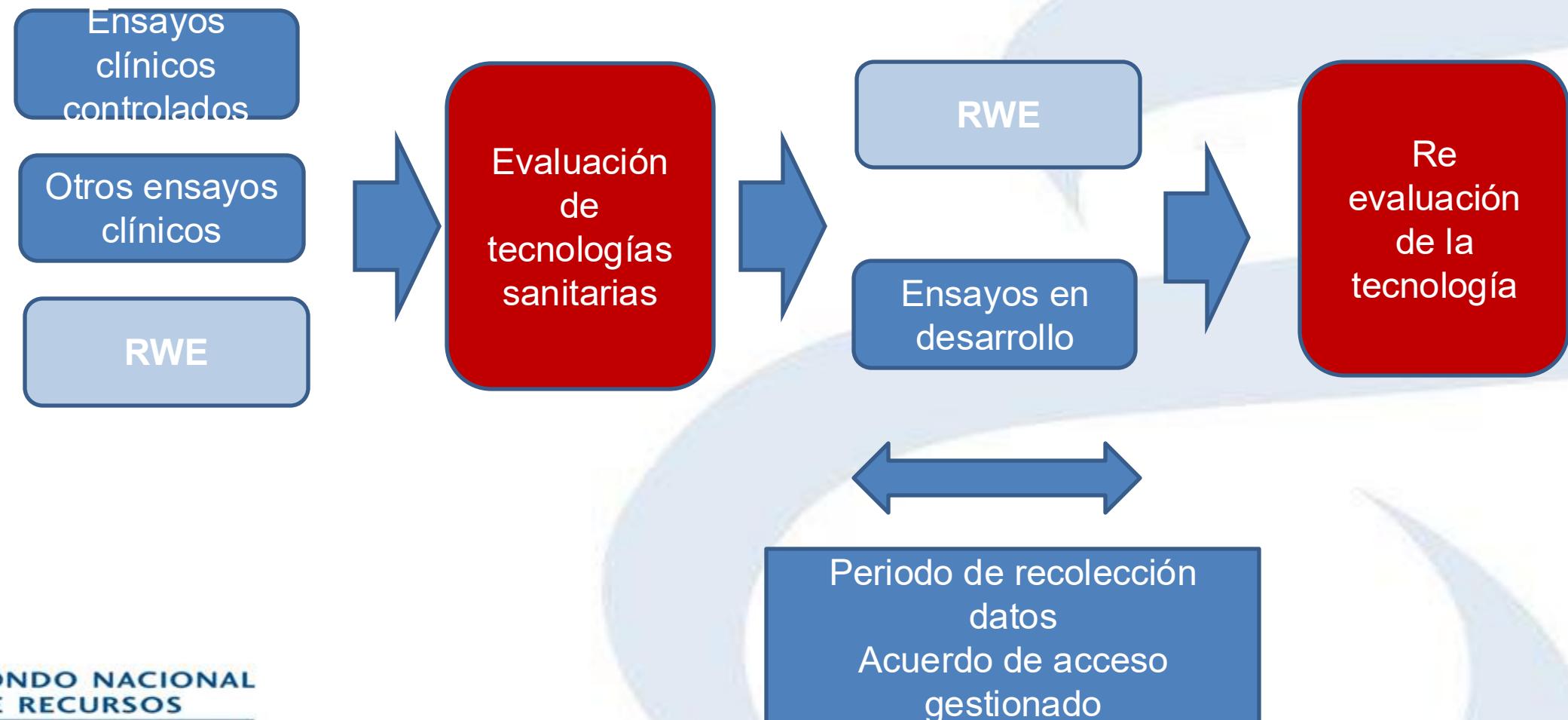
Permite identificar cómo se dosifica y aplica un tratamiento en la práctica diaria así como sus niveles de adherencia



Uso de RWD/RWE en los procesos de aprobación y evaluación de tecnologías sanitarias

- La RWE puede tener distintas utilidades durante las diferentes fases del ciclo de evaluación de tecnologías sanitarias
 - fase de desarrollo
 - fase post comercialización (puede llegar a adquirir un rol relevante a la hora de determinar la desinversión de determinadas tecnologías)
- NICE recientemente ha desarrollado y publicado su marco normativo para el uso de RWE

Reducción de incertidumbre clínica:



Blinatumomab vs historical standard therapy of adult relapsed/refractory acute lymphoblastic leukemia



N Gökbuget¹, M Kelsh², V Chia², A Advani³, R Bassan⁴, H Dombret⁵, M Doubek⁶, AK Fielding⁷, S Giebel⁸, V Haddad⁹, D Hoelzer¹, C Holland¹⁰, N Ifrah¹¹, A Katz², T Maniar¹², G Martinelli¹³, M Morgades¹⁴, S O'Brien¹⁵, J-M Ríbera¹⁴, JM Rowe¹⁶, A Stein¹⁷, M Topp¹⁸, M Wadleigh¹⁹ and H Kantarjian¹⁵

- Drug = blinatumomab; disease = leukemia; design = externally controlled trial
- Studied in **single-arm clinical trial**: primary outcome of complete remission/partial hematological recovery in 43% (95% CI 35–50%) of n=189 patients
- Results compared to **historical data** extracted from Europe and United States, with weighted analysis and propensity scoring used to balance compared populations: complete remission 24% (95% CI 20-27%) among n=694 patients
- FDA-approved (Dec 2014) for Philadelphia chromosome-negative, relapsed and refractory B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia

New Indication for Prograf Based on RWE



FDA Approves New Use of Transplant Drug Based on Real-World Evidence

[f Share](#) [t Tweet](#) [in LinkedIn](#) [Email](#) [Print](#)

- Prograf® (tacrolimus) approved for prophylaxis of organ rejection in patients receiving liver transplants in 1994 (later for kidney & heart) based on RCT evidence, and the drug is used widely in clinical care
- RCTs not done for lung transplant, but sponsor (Astellas Pharma US) submitted supplemental New Drug Application to FDA with non-interventional 'RWE' study
- Study data and design were evaluated according to FDA standards
- Approval for preventing rejection/death in lung transplant granted 16 Jul 2021

- Ejemplo del Uruguay

¿QUE ES EL FONDO NACIONAL DE RECURSOS (FNR)?

- Institución creada por ley en 1980, con forma jurídica de persona pública no estatal y administrada por una Comisión Honoraria (Ministerio de Salud Pública, Instituto de Seguridad Social, Ministerio de Economía, prestadores integrales e institutos de medicina altamente especializada (IMAE)).
- Cobertura financiera universal a procedimientos de alta complejidad, a dispositivos de alto precio y a medicamentos de alto costo a todas las personas radicadas en el país con cobertura de salud por el SNIS (sistema nacional integrado de Salud).
 - Información con que cuenta el FNR
 - Bases de datos exhaustivas (real world data)*
 - Unidad de evaluación FNR
 - Evidencia del mundo real /Real Word evidence (RWE)
- Aspectos éticos: Solicitud de consentimiento para uso de información.

PRESTACIONES

ÁREA CARDIOLÓGICA

Estudios Hemodinámicos
Cirugías
Angioplastias
Marcapasos
Cardio-desfibriladores
Trasplantes

OTRAS ÁREAS

Trasplante de Médula Ósea
Trasplante hepático en adultos
Quemados
PET
Dispositivos: Implantes cocleares
Endoprótesis
Tratamiento de la infertilidad

**MEDICAMENTOS
ALTO PRECIO
(Esclerosis múltiple)**

ÁREA TRAUMATOLÓGICA

Prótesis de Cadera y Rodilla

ÁREA NEFROLÓGICA

Hemodiálisis
Diálisis peritoneal
Trasplantes

ACTOS EN EL EXTERIOR

Trasplante pulmonar
Trasplante hepático en niños
Cirugías cardíacas pediátricas
Trombo endarterectomía pulmonar
Retinoblastoma congénito

NORMATIVAS DE COBERTURA FINANCIERA



Elaboradas con referentes expertos en diferentes áreas.

Regulan la aplicabilidad a la cobertura financiera.

Fuentes y calidad de datos

Sin datos de la vida real confiables no es posible avanzar más allá y generar evidencia de la vida real

El armado, diseño y recolección fiable de los datos resulta un paso crítico

Registro : definido como un sistema organizado de recolección de datos clínicos y de otra naturaleza dentro de un marco o formato estandarizado sobre una condición de salud determinada

Los datos deben ser utilizado de acuerdo con las leyes y reglamentos nacionales en materia de protección de datos y gobernanza de la información

Calidad de los datos



Dato incompleto



Dato faltante



Dato no estructurado



Dato subjetivo



Dato incompleto Scores de riesgo

Editor de Datos (Navegación) - [ACTOS_MEDICOS.SOL_5001_PAC]

Archivo Edición Ver Datos Herramientas

epipi[1] N

	epipieda	epipildh	epipicom	epipiper	epipiest	epipisco	epipirie	epfli	epflieda	epfliedh	epflihem	epflimas
199						.			S	S	S	S
200	S	N	N	N	N	1	BAJO	N				N
201	N	S	S	N	S	3	INTERMEDIO ALTO	N				
202	N	S	S	N	S	3	INTERMEDIO ALTO	N				
203	N	N	S	N	S	2	INTERMEDIO	N				
204						.			S	S	N	S
205	N	S	N	N	S	2	INTERMEDIO	N				N
206						.			S	N	N	S
207	N	S	N	S	S	3	INTERMEDIO ALTO	N				
208	N	N	S	S	S	3	INTERMEDIO ALTO	N				
209	N	S	S	N	N	2	INTERMEDIO	N				
210						.			S	S	S	S
211	N	N	N	N	S	1	BAJO	N				
212	S	N	N	N	N	1	BAJO	N				
213						.			S	S	S	S
214	S	S	N	S	S	4	ALTO	N				
215						.			S	N	N	N
216						.			S	S	S	N
217	N	N	S	N	N	1	BAJO	N				
218	S	N	S	N	S	3	INTERMEDIO ALTO	N				
219						.			S	N	N	S
220	N	S	N	N	N	1	BAJO	N				
221	S	N	N	N	S	2	INTERMEDIO	N				
222	S	N	N	N	S	2	INTERMEDIO	N				
223	S	N	N	N	N	1	BAJO	N				
224						.			S	N	N	N
225	N	S	S	N	N	2	INTERMEDIO	N				

Variables

Nombre	Etiqueta	Tipo	Formato	Etiquet
epipi	EPIPI	str1	%9s	
epipieda	EPIPIEDA	str1	%9s	
epipildh	EPIPILDH	str1	%9s	
epipicom	EPIPICOM	str1	%9s	
epipiper	EPIPIPER	str1	%9s	
epipiest	EPIPIEST	str1	%9s	
epipisco	EPIPISCO	double	%10.0g	
epipirie	EPIPIRIE	str15	%15s	
principio_activo1	PRINCIPIO_ACTIVO1	str9	%9s	

Variables Copia temporal

Propiedades

Variables

Nombre	epipi
Etiqueta	EPIPI
Tipo	str1
Formato	%9s
Etiqueta de valor	
Notas	

Datos

Marco de datos	default
Nombre de archivo	ACTOS_MEDICOS.SOL_5001_PAC.dta
Etiqueta	
Notas	
Variables	221
Observaciones	3,602
Tamaño	8.83M

Datos faltantes

Editor de Datos (Navegación) - [angio_sol_2019]

Archivo Edición Ver Datos Herramientas



eehofevi[151]

	eecor3	zeecor3	eecor4	eehofevi	eecopsis	ecc	eccf	ee
151	N	.	
152	N	.	
153	N	.	
154	.	.	.	17	.	N	.	
155	.	.	.	28	.	N	.	
156	N	.	
157	N	.	
158	1.005e+08	ECOCARDIO-Insuficienci	1.005e+08	ECO	55	.	N	.
159	.	.	.	40	.	N	.	
160	N	.	
161	N	.	
162	N	.	
163	.	.	.	60	.	N	.	
164	N	.	
165	D	.	
166	N	.	
167	.	.	.	30	55	N	.	
168	N	.	
169	S 01nov2014 00:00:00	.	
170	N	.	
171	.	.	.	55	.	N	.	
172	N	.	
173	.	.	.	67	.	N	.	
174	.	.	.	29	.	N	.	
175	N	.	
176	N	.	
177	N	.	

Editor de Datos (Navegación) - [angio_sol_2019]

Archivo Edición Ver Datos Herramientas



eehofevi[151]

	eecor3	zeecor3	eecor4	eehofevi	eecopsis	ecc	eccf	ee
109	N	.	
110	0	0	N
111	0	0	N
112	0	0	N
113	0	0	N
114	0	0	N
115	0	0	N
116	0	0	N
117	0	0	N
118	0	0	N
119	0	30	N
120	0	.	D
121	0	.	N
122	0	0	N
123	0	0	N
124	0	0	N
125	10	.	N
126	10	76	N
127	10	.	N
128	10	0	N
129	10	.	N
130	10	.	D
131	10	.	N
132	10	.	N
133	10	.	N
134	10	60	N
135	10	.	N

Dato no estructurado

scres[28]

LACTANTE DE 1 MES DE VIDA PORTADORA DE SINDROME DE DOWN + CANAL A-V COMPLETO. PREMATURO CON HIPERFLUJO SIGNIFICATIVO REFERACTARIO A TRATAMIENTO MEDICO.

scres

13

14

15

16

17 10 DIAS DE VIDA, PORTADOR DE DUCTUS ARTERIOSO PERMEABLE CON REPERCUSION HEMODINAMICA (HIPERTENSION, HIPERFLUJO PULMONAR).

18

19

20 T4F SEVERA BLALOCK 2002 CIV AMPLIA CON SHUNT DE D-I

21 D-TGA SIMPLE ESTENOSIS SUPRAVALVULAR PULMONAR RESIDUAL

22 PACIENTE DE 11 MESES DE EDAD PORTADORA DE ATRESIA TRICUSPIDEA CON CIV MULTIPLES + BLALOCK.

23

24

25 1 MES DE VIDA ESTENOSIS AORTICA SEVERA CON REPERCUSION HEMODINAMICA

26 6 DIAS DE VIDA COARTACION DE AORTA PREDUCTAL SEVERA

27

28 LACTANTE DE 1 MES DE VIDA PORTADORA DE SINDROME DE DOWN + CANAL A-V COMPLETO. PREMATURO CON HIPERFLUJO SIGNIFICATIVO REFERACTARIO A TRATAMIENTO MEDICO.

29

30 PTE. 3 A?OS DE EDAD PORTADOR DE CIA DE AMPLI REPERCUSION HEMODINAMICA

31 PTE. 2 A?OS EDAD PORTADOR AP + CIV (TIPO II- BOSTON)+ SIND. DOWN , COLOCACION TUBO PERICARDICO VALVULADO VA-APT + INSUFICIENCIA TUBO MODERADO

32 PTE DE 15 A?OS PORTADORA DE SINDROME DE DOWN CON CANAL AV COMPLETO CORREGIDO AL A?O DE VIDA , PRESENTA I. MITRAL PROGRESIVA

33 LACTANTE DE 1 MES Y 2 DIAS CON BUEN CRECIMIENTO CARDIOPATIA CONGENITA: TETRALOGIA DE FALLOT CON ESTENOSIS PULMONAR VALVULAR, SUBVALVULAR.

34

35

36

37

38 PETE 12 DIAS VIDA PORTADORA SINDROME VENTRICULO IZQ.HIPOPLASICO

39 ENDOCARDITIS

Variables

Filtrar variables aquí		
Nombre	Etiqueta	Tipo
<input checked="" type="checkbox"/> aep_id	AEP_ID	double
<input checked="" type="checkbox"/> ap_id	AP_ID	double
<input checked="" type="checkbox"/> cahashid	CAHASHID	str32
<input checked="" type="checkbox"/> casedada	CASEDADA	double
<input checked="" type="checkbox"/> casedadm	CASEDADM	double
<input checked="" type="checkbox"/> casedadd	CASEDADD	double
<input checked="" type="checkbox"/> casexo	CASEXO	str1
<input checked="" type="checkbox"/> caimae	CAIMAE	double
<input checked="" type="checkbox"/> zcaimae	ZCAIMAE	str20

Variables

Copia temporal

Propiedades

Variables

Nombre	scres
Etiqueta	SCRES
Tipo	str400
Formato	%400s
Etiqueta de valor	
Notas	

Datos

Marco de datos	default
Nombre de archivo	cc-infantil-sol202006.dta
Etiqueta	
Notas	
Variables	189
Observaciones	7,519
Tamaño	32.28M

Activo

Filtro: 400 Ver: 100 Orden: Dataset

Otro: 7,510 Elenco Anexo Modo Navegación CAP NUM

Dato subjetivo

Fecha de Solicitud: ____ / ____ / ____

Nombre del paciente _____ C.I. _____

Edad: ____ años Sexo: Femenino Masculino Institución de origen _____

Los datos que se solicitan en este formulario deben ser completados por el Médico tratante del paciente. Deben ser volcados en forma rigurosa, teniendo en cuenta que formaran parte de una Base de Datos centralizada en el Fondo Nacional de Recursos, que podrá ser utilizada, además por otras Instituciones asistenciales o académicas. El Médico se hace responsable, con su firma, de un documento de carácter médico-legal.

MEDICO ONCÓLOGO SOLICITANTE:

Nº de caja profesional _____ Nombre _____ Firma _____

SUSPENSIÓN DE TRATAMIENTO: No Si Fecha: ____ / ____ / ____

Motivo: Finaliza Intolerancia Indicación médica
 Abandono Fallecimiento Otro

Especifique: _____

CAMBIO DE TRATAMIENTO

Cambia de fármaco? No Si

Droga que recibía: Trastuzumab Lapatinib Fulvestrant Pertuzumab
 Trastuzumab emtansine (TDM-1) Ribociclib

Otras situaciones

Editor de Datos (Navegación) - [cancer-mama-sol]

Archivo Edición Ver Datos Herramientas

zdiag[136] Cancer de mama avanzado

cafecaut	diag	zdiag	diagfec	estpt	estad	zestad	fpre
457	29aug2011 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01sep2008 00:00:00	.	IV	22
458	27mar2015 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	10dec2010 00:00:00	.	IV	21
459	28may2012 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01jan2008 00:00:00	.	IV	.
460	07jul2015 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01may2010 00:00:00	.	II B	21
461	09aug2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	20sep2012 00:00:00	.	IV	21
462	01apr2013 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01jan2007 00:00:00	.	IV	21
463	18sep2014 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01sep2010 00:00:00	.	IV	.
464	15jul2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	17aug2017 00:00:00	.	IV	21
465	06aug2018 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01jan2013 00:00:00	.	IV	21
466	24jun2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	28mar2019 00:00:00	.	IV	21
467	24jan2012 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	08jul2009 00:00:00	.	IV	21
468	28sep2009 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	11jan1993 00:00:00	.	IV	21
469	06mar2017 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01jan2009 00:00:00	.	IV	21
470	02jan2017 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	30jul2014 00:00:00	.	IV	21
471	20may2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	07may2019 00:00:00	.	IV	22
472	20may2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	25jan2019 00:00:00	.	IV	21
473	23dec2013 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01oct2013 00:00:00	.	IV	21
474	22aug2011 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	11jan2006 00:00:00	.	IV	21
475	29apr2013 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	27aug2010 00:00:00	.	IV	21
476	22mar2010 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	22feb2010 00:00:00	.	IV	21
477	07sep2009 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	05aug1999 00:00:00	.	IV	21
478	26dec2011 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01feb2004 00:00:00	.	IV	21
479	17jul2017 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	12apr2017 00:00:00	.	IV	22
480	11jul2011 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	27sep2010 00:00:00	.	II A	22
481	.	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	01jan1987 00:00:00	.	IV	.
482	14may2019 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	07nov2015 00:00:00	.	IV	21
483	19jul2011 00:00:00	5.005e+08	Cancer de mama avanzado	10sep2001 00:00:00	.	IV	21

Variables

Filtrar variables aquí

Nombre	Etiqueta	Tipo	Formato	Etiquet
cahashid	CAHASHID	str32	%32s	
casedada	CASEDADA	double	%10.0g	
casedadm	CASEADM	double	%10.0g	
casedadd	CASEDADD	double	%10.0g	
casexo	CASEXO	str1	%9s	
caimae	CAIMAE	double	%10.0g	
zcaimae	ZCAIMAE	str10	%10s	
casinst	CASINST	double	%10.0g	
zcasinst	ZCASINST	str32	%32s	

Variables Copia temporal

Propiedades

Variables

Nombre: zdiag
Etiqueta: ZDIAG
Tipo: str23
Formato: %23s
Etiqueta de valor:
Notas:

Datos

Marco de datos: default
Nombre de archivo: cancer-mama-sol.dta
Etiqueta:
Notas:
Variables: 240
Observaciones: 4,144
Tamaño: 11.84M

Activo

Año: 23 Vars: 240 Orden: Dataset Obs: 4,144 Filtro: Agregado Modo: Navegación CAP NUM

Estrategias para evaluar y mejorar la calidad del dato

- Auditorías
- Inteligencia Artificial :
 - * Imputacion del dato faltante
 - * Algoritmo para encontrar pacientes con datos “inconsistentes”

Diseños de registros y base de datos específicas en RWD/RWE. Experiencia Unidad de Evaluación

- Registro de defunciones del BPS y MSP
- HCEN
- SIIAS (Sistema de Información Integrada del Área Social)
- Bases del FNR



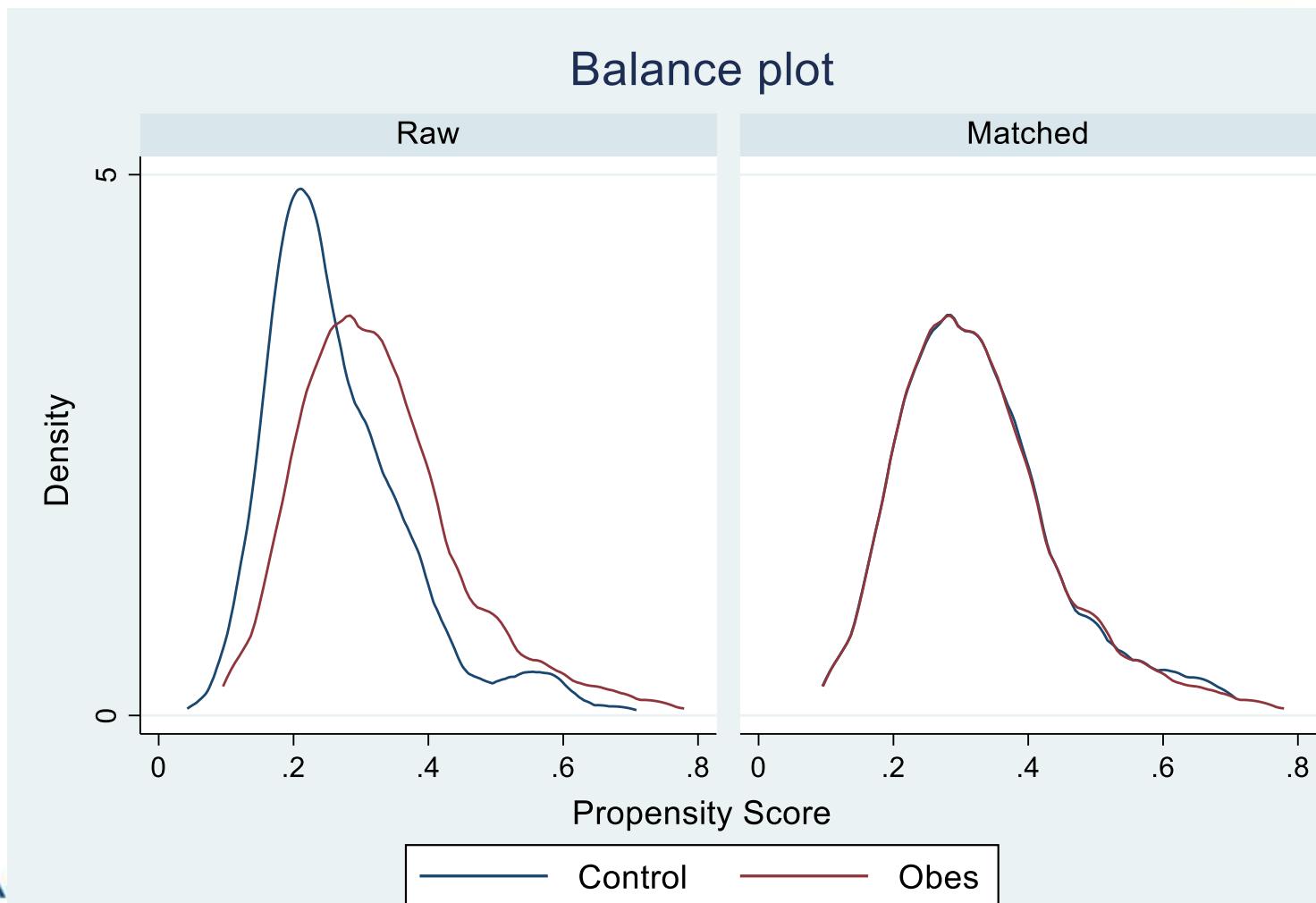
Análisis de datos en RWD/RWE

- Datos observacionales potencialmente susceptibles de sesgos
- Los problemas más habituales que podemos encontrar al momento de análisis de este tipo de datos:
 - Efectos confundidores
 - Datos faltantes



- Propensity Score Matching: se basa en la generación de grupos comparables en base a la posibilidad de haber recibido el tratamiento que queremos evaluar y así, evaluar su efectividad en base al desenlace deseado

Gráficos de densidad de frecuencia para el valor del puntaje de propensión de las pacientes tratadas (programa de obesidad) y controles, antes y después del apareamiento





**FONDO NACIONAL
DE RECURSOS**
Medicina Altamente Especializada

Técnicas de Reproducción Humana Asistida de Alta Complejidad

REPORTE DE RESULTADOS

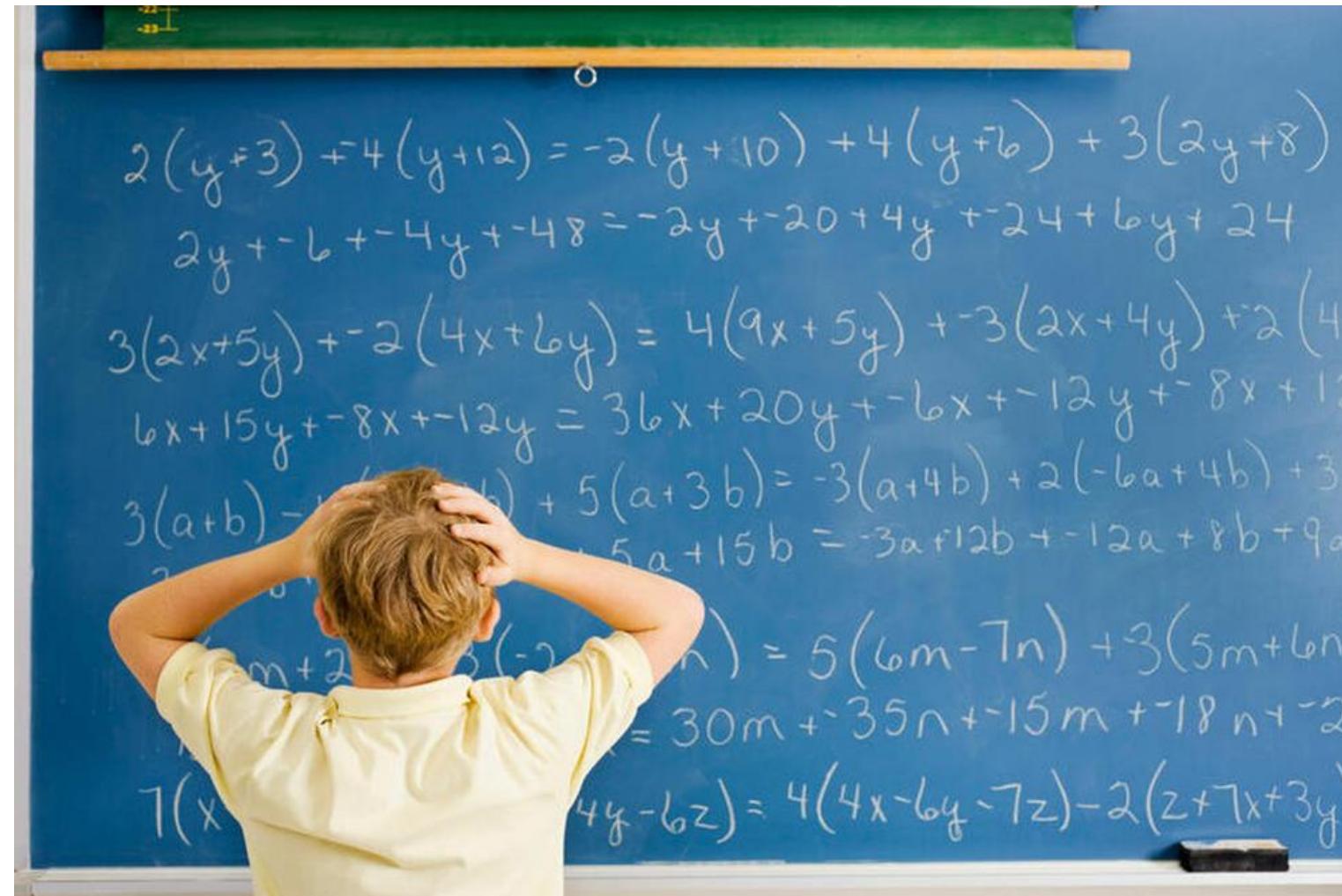
**Unidad Evaluación
FNR**

Julio 2025



Para atribuir el parto a una transferencia financiada por el FNR se consideró como criterio temporal una ventana de tiempo de entre **22 y 44** semanas.

CONSIDERACIONES METODOLOGICAS





En virtud de la evidencia disponible citada, que muestra la no inferioridad de ambos fármacos, y una diferencia de ocho veces entre el costo del tratamiento con el Sunitinib y el Pazopanib, el FNR resolvió modificar la normativa anterior, estableciendo como 1^a línea solamente al Pazopanib.

ACCESS TO MECHANICAL THROMBECTOMY IN ACUTE ISCHAEMIC STROKE WITH LARGE VESSEL OCCLUSION IN URUGUAY (2021-2024). REAL WORLD EVIDENCE.



¹Assistant Physician at the National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos), Montevideo, Uruguay; ²Evaluation Unit Leader at the National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos), Montevideo, Uruguay; ³Technical Coordinator at the National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos), Montevideo, Uruguay; ⁴Medical Director at the National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos), Montevideo, Uruguay

INTRODUCTION

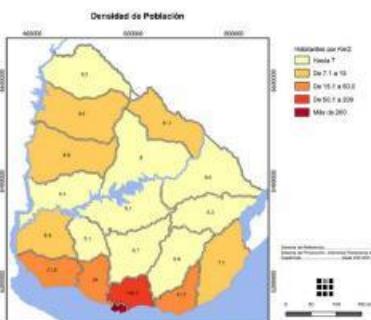
National Resources Fund (FNR) is a financing agency for highly complex and high-cost medical treatments. Among these is Mechanical Thrombectomy (MT) for acute ischemic stroke (AIS) due to large vessel occlusion (LVO). Knowing access to this technique highlights the importance of continuing to identify and address barriers that limit the number of patients who can benefit from it.

METHODOLOGY

Retrospective cohort study, whose population includes all the cases that applied for financing by the FNR in the period November 2021 to April 2024. It aims to evaluate the access to MT of selected candidates for the procedure in accordance with current financial coverage regulations. To estimate the number of expected cases for Uruguay previous epidemiological figures on the incidence of AIS (national studies) and data on hospital discharges with a diagnosis of AIS (provided by the Population Health Surveillance Area of the Ministry of Public Health of Uruguay for the year 2023) were considered.

URUGUAY IN NUMBERS

- Total population: 3.499.451 habitants (INE 2023).
- Population distribution: capital city 41%.
- General health provider distribution: 40.5% public, 59.5% private

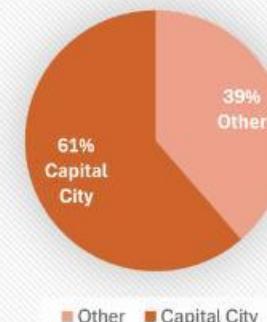


RESULTS

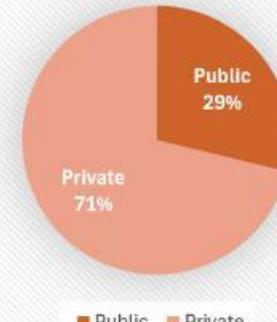
In the period considered, 159 candidates for financing applied to FNR. Of these, 132 cases accessed full financing, 5 partial financing, 5 didn't meet criteria for financial coverage and 17 remained in unresolved status. Among the cases with full financing, 94 come from private health providers and 38 from public one, 81 cases originated in the capital's geographical area and 51 in the interior of the country

**Real annual number of patients to access MT in Uruguay 1.5% .
Annual expected number of patients to access MT 3%.**

Geographical distribution of MT in Uruguay



MT according to health care provider



CONCLUSIONS

Access to TM financed by FNR is lower than expected. To date, the number of cases that apply to financial coverage by FNR remains stable with approximately 70 cases per year, with a significant disparity observed in geographical origin (Montevideo vs. interior) and in the patient's provider of origin (public vs. private).

Artículos originales

Rev Urug Cardiol 2023; 38: e202
doi: 10.29277/cardio.38.1.3

Análisis ajustado de la mortalidad operatoria en cirugía cardíaca de adultos en Uruguay; 14 años de aplicación y validación del EuroSCORE I ajustado por el Fondo Nacional de Recursos

Abayuba Perna¹, Gustavo Saona², Graciela Fernández¹,
Rosana Gambogi¹

Krizia Osterkamp, Daniel Pedrosa, Abayubá Perna and Eliana Lanzani

National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos) - Montevideo, Uruguay

BACKGROUND

In recent years, there has been an increase in judicial claims in Uruguay seeking pembrolizumab for the treatment of advanced kidney cancer. Understanding the characteristics and clinical evolution of patients accessing this medication through judicial rulings is essential to support health policies based on Real World Evidence (RWE).

METHODS

This study aims to describe the sociodemographic and clinical characteristics, as well as global survival, of patients diagnosed with advanced clear cell renal carcinoma who received pembrolizumab-axitinib through judicial claims against the National Resources Fund (Fondo Nacional de Recursos, FNR, in Spanish) in Uruguay between 2020 and 2022. Patients with a favorable judicial ruling during the study period who received at least one dose of the combination therapy were included. Descriptive analyses of sociodemographic and clinical characteristics were conducted, and survival was estimated using the Kaplan-Meier method.

Table 1: Sociodemographic and clinical characteristics of patients who received pembrolizumab-axitinib through court order (2020-2022)

Age		Advanced renal cancer classification % (n)*	
Median age (range)	55.6 (21-74)	Stage IV de novo	46.5% (20)
Age p25-p75	35-69	Relapsed/metastatic disease	53.5% (23)
Sex % (n)		Histopathology % (n)*	
Female	32.6% (15)	Clear cell	93% (40)
Male	67.4% (31)	Unclassified	7% (3)
Place of residence % (n)		Number of metastatic organs % (n)*	
Montevideo	50% (23)	1	23.3% (10)
Other regions	50% (23)	≥2	76.7% (33)
Type of healthcare provider % (n)*		Most common metastatic sites % (n)*	
Public	20.9% (9)	Lung	60.5% (26)
Private	79.1% (34)	Lymph nodes	44.2% (19)
Comorbidities % (n)*		Bone	
Hypertension	53.5% (23)	Adrenal gland	23.3% (10)
Diabetes	23.3% (10)	Liver	20.9% (9)
Dyslipidemia	23.3% (10)	Treatment line via court order % (n)*	
History of other malignant neoplasm	16.3% (7)	First line	95.3% (41)
Current smoker	13.9% (6)	Second line	4.7% (2)
Obesity	9.3% (4)	* Variables with missing data for 3 individuals due to lack of contact (neither with the patient nor their family), and absence of the court order documentation.	
Ischemic heart disease	4.7% (2)		

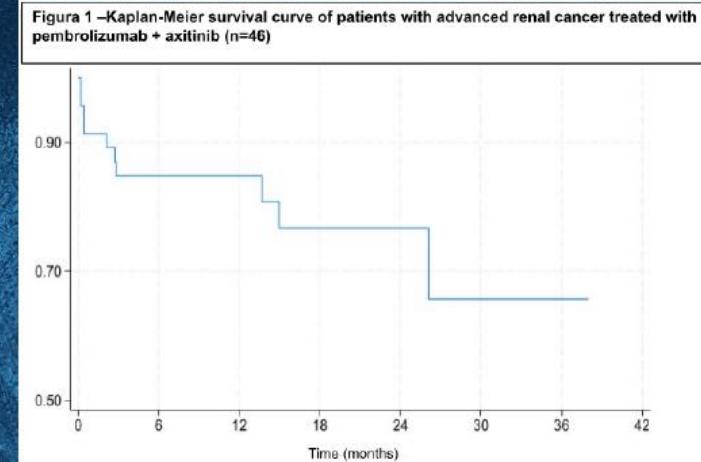
CONCLUSIONS

This RWE study provides promising results regarding the effectiveness of pembrolizumab-axitinib treatment in the Uruguayan healthcare context. The findings favor the opportunity to incorporate this therapy for advanced kidney cancer into the Comprehensive Health Care Plan. Additionally, it highlights the importance of real-world evidence in supporting healthcare policy decisions.

RESULTS

Between 2020 and 2022, 46 patients received pembrolizumab-axitinib treatment through judicial claims for advanced clear cell renal carcinoma. The average age was 55.6 years, with a male predominance, mostly from the private healthcare sector, and with a similar distribution between the capital and the interior of the country. The survival analysis showed a global survival rate of 84.8 percent at 12 months (95% CI: 70.7, 92.4), 78.3 percent at 24 months (95% CI: 61.8, 88.3), and 67.1 percent at 36 months (95% CI: 38.8, 84.5).

Figura 1 –Kaplan-Meier survival curve of patients with advanced renal cancer treated with pembrolizumab + axitinib (n=46)





• Mitos y realidades

Introducción

- **El "Mito" inicial:**

Los ensayos clínicos aleatorizados (ECA) son la única fuente de evidencia válida y el "estándar de oro". Explica por qué se les considera así: control, aleatorización, validez interna.

- **La "Realidad" inicial:**

A pesar de su rigor, los ECA tienen limitaciones importantes que los estudios RWE buscan complementar.

Mito 1:

"Los RWE van a reemplazar a los ECA."

•**Realidad:** No lo van a hacer. Son **complementarios**. Los ECA evalúan la **eficacia** (si un tratamiento funciona en condiciones ideales y controladas), mientras que los RWE evalúan la **efectividad** (si un tratamiento funciona en la práctica clínica habitual). Los RWE son ideales para responder preguntas que los ECA no pueden.

Mito 2:

"Los RWE son menos rigurosos o de menor calidad."

•**Realidad:** Aunque no tienen la aleatorización de los ECA, los RWE requieren un diseño de estudio y técnicas analíticas muy rigurosas para minimizar sesgos y factores de confusión. La calidad de los RWD es crucial y se están desarrollando estándares para asegurar que sean "aptos para su propósito".

Mito 3:

"Los RWE solo sirven para la investigación post-comercialización."

•**Realidad:** Si bien son muy útiles para la farmacovigilancia y para entender el uso de un fármaco a largo plazo, sus usos se han expandido. Se utilizan para generar hipótesis, diseñar ensayos clínicos más eficientes, y cada vez más, las agencias reguladoras (como la FDA y la EMA) los aceptan para respaldar decisiones de aprobación y reembolso.

Mito 4: "Cualquier dato del mundo real es evidencia."

- **Realidad:** Hay una gran diferencia entre los Datos del Mundo Real (RWD) y la Evidencia del Mundo Real (RWE).
- Los RWD son solo la información cruda.
- Para que se conviertan en evidencia, deben ser analizados, interpretados y validados a través de una metodología científica sólida.
- La relevancia y fiabilidad de los datos son clave.

Mito 5:

"El RWE es solo una moda pasajera impulsada por el Big Data."

•**Realidad:** El uso de RWE responde a una necesidad real del sistema de salud: comprender cómo funcionan los tratamientos en la vida real, en poblaciones más diversas y heterogéneas que las de los ECA. Ayudan a tomar decisiones de reembolso y a crear guías clínicas que reflejen mejor la práctica médica.

¿Para qué sirve el RWE?

- * Casos de uso (Realidades en acción): Medicina personalizada: Identificar subgrupos de pacientes que responden mejor a ciertos tratamientos.
- * Enfermedades raras: Obtener evidencia en poblaciones pequeñas donde un ECA sería inviable.
- * Análisis de seguridad: Detectar eventos adversos raros o a largo plazo que no se observaron en los ensayos clínicos.
- * Economía de la salud: Evaluar el costo-efectividad de las terapias en la práctica clínica.

Conclusión:

- **Resumen:** Los RWE no son un reemplazo de los ECA, sino una herramienta indispensable que complementa nuestra comprensión de los tratamientos.
- **El futuro:** El uso de RWE seguirá creciendo, impulsado por la digitalización de la salud y la necesidad de tomar decisiones más informadas y centradas en el paciente.

"Estamos entrando en un mundo donde es cada vez más claro que lo que más importa no es la aprobación de la FDA de una innovación médica, sino más bien, su impacto en el mundo real, su rendimiento real. ¿Qué tan bien mejora la vida de todos los pacientes afectados, no solo de los pocos seleccionados que califican para ensayos clínicos altamente estructurados? A medida que nuestro enfoque colectivo se expande de las aprobaciones a los resultados, la fluidez con los datos del mundo real y las herramientas para generar y analizar esta información, será cada vez más crítica."

Amy Abernethy, M.D., Forbes, Diciembre de 2018

<https://www.orphastrategy.com/real-world-evidence/>

La evidencia del mundo real puede mejorar nuestra comprensión de la prestación de atención sanitaria , experiencias de los pacientes , y los impactos de las tecnologías en el entorno de la practica clínica



MUCHAS GRACIAS