

White Paper

Del dato a la decisión: el potencial del Real World Data en el diálogo temprano

DANIEL CALLEJO, Principal HEOR

JORDI DOMINGUEZ, Market Access Lead

INÉS JAUMOT, Thought Leadership Lead Spain

MARIA LLORET, Consultant HEOR

NURIA PERULERO, HEOR Lead

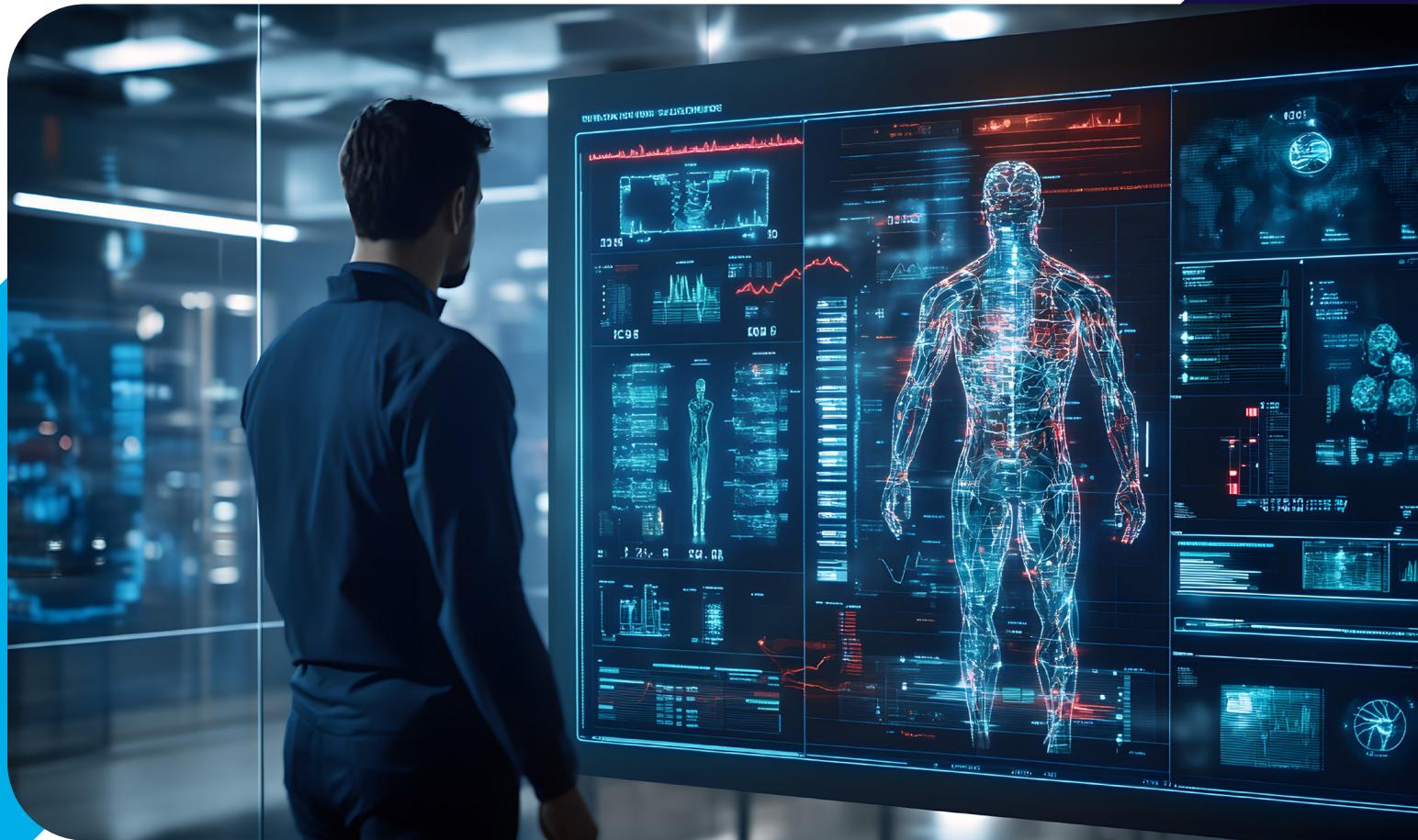


Tabla de contenidos

Introducción	1
RWE hoy: aplicaciones y valor en la práctica real	2
Retos en el uso del RWE en el diálogo temprano en España	3
Beneficios y oportunidades del diálogo temprano en España	6
El RWE del futuro: visión compartida y próximos pasos	9
Conclusiones	13
Referencias	14

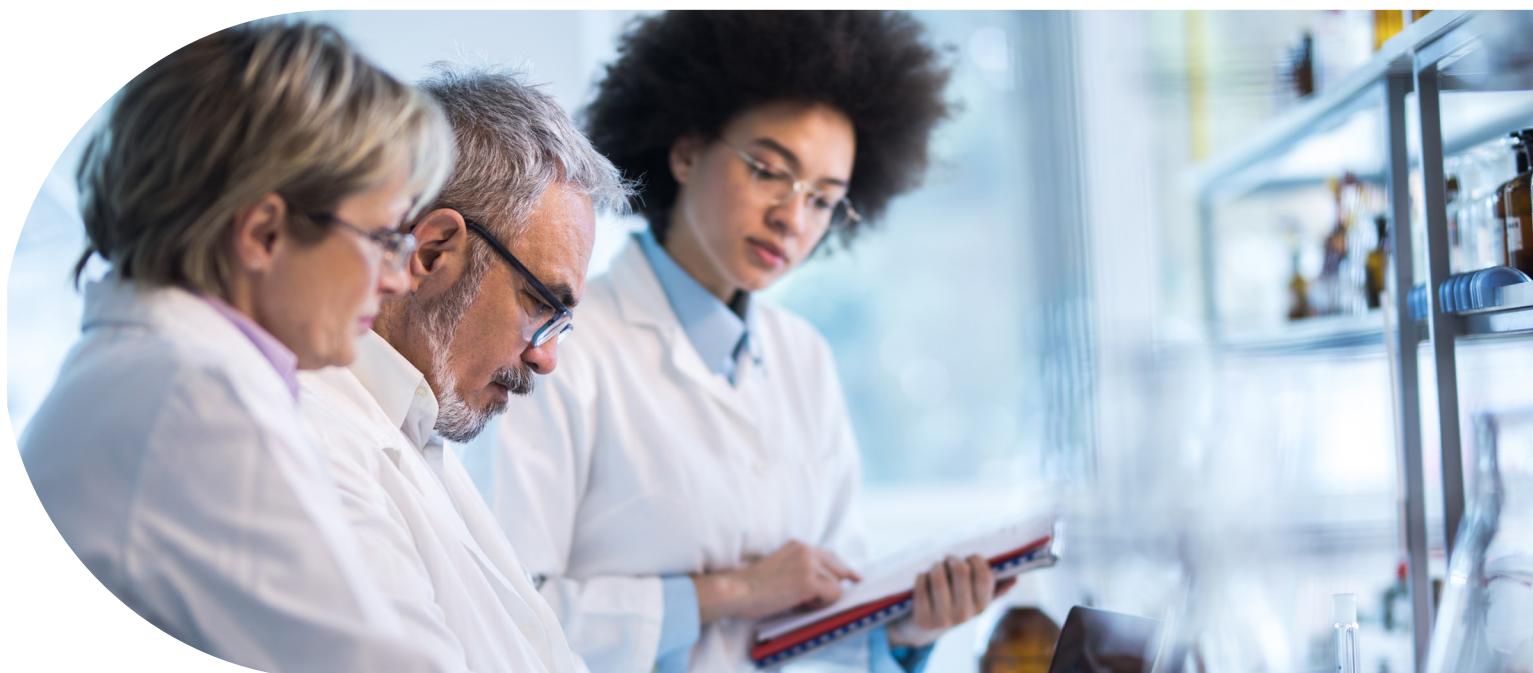
Introducción

En un entorno sanitario cada vez más complejo y orientado a la eficiencia, la evidencia en vida real (RWE de sus siglas en inglés) se ha consolidado como una herramienta clave para complementar la evidencia obtenida en los programas de desarrollo clínico.

Derivada de registros clínicos, bases administrativas, estudios observacionales y otras fuentes fuera del contexto de los ensayos clínicos, la RWE permite entender la efectividad de las intervenciones sanitarias en la práctica real, aportando una dimensión crítica para la toma de decisiones clínicas, regulatorias y económicas. La creciente incorporación de RWE en los procesos de evaluación y acceso a medicamentos responde a una necesidad urgente: trascender los límites del ensayo clínico y capturar la diversidad, la variabilidad y la complejidad de la asistencia sanitaria en práctica habitual. En contextos donde los estudios actuales no reflejan suficientemente la práctica cotidiana — por su diseño, población o duración —, la RWE emerge como un puente entre la evidencia científica y la realidad asistencial.

Algunos organismos e instituciones internacionales como la **Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA)**, la **Agencia Europea de Medicamentos (EMA)**, la **Sociedad Internacional de Farmacoeconomía y Resultados en Salud (ISPOR)** o la **Organización para la Cooperación y el Desarrollo Económicos (OCDE)** reconocen este potencial y trabajan activamente en el establecimiento de marcos normativos para su integración.

En este escenario, el diálogo temprano centrado en RWE se posiciona como una estrategia transformadora. Estos espacios de colaboración — que reúnen a industria, reguladores, financiadores y proveedores sanitarios, sociedades científicas y pacientes — permiten **anticipar necesidades, consensuar variables relevantes y**

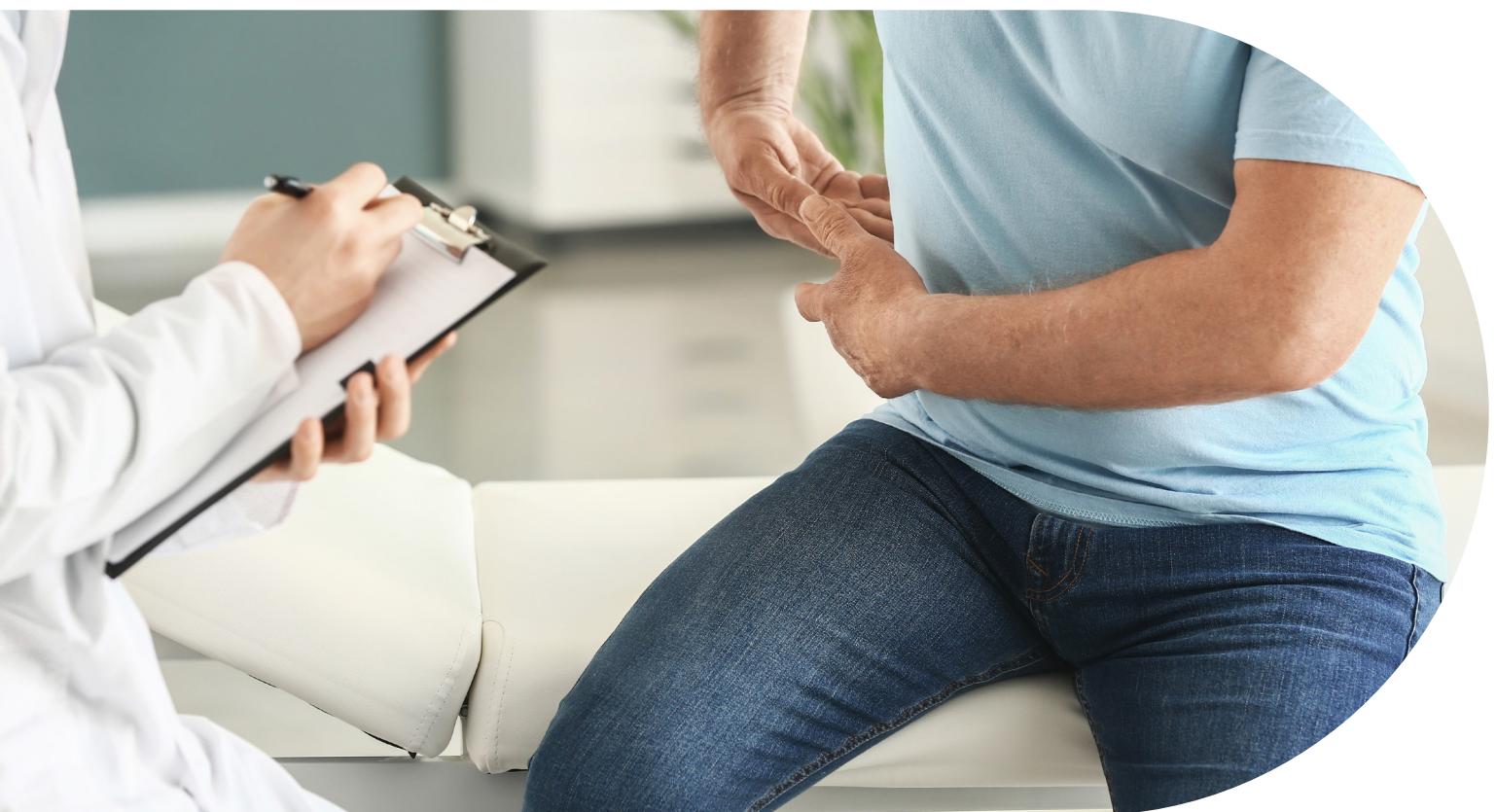


definir metodologías desde las fases iniciales del desarrollo. El objetivo es generar evidencia útil para la toma de decisiones, alineando las necesidades o incertidumbres a las que dar respuesta desde el principio, evitando duplicidades, demoras y estudios que no responden a las preguntas clave de los evaluadores. En España existen **mecanismos informales y cada vez más frecuentes de interacción previa entre la industria y la administración**, especialmente en: a) reuniones previas a la solicitud de financiación con el Ministerio de Sanidad; b) interacciones con la AEMPS en el contexto de autorizaciones condicionales o seguimiento de medicamentos innovadores; o c) presentaciones de valor terapéutico donde se puede incluir evidencia RWE.

No obstante, la integración efectiva de RWE en los procesos de diálogo temprano, de cara a considerarse en la evaluación y acceso de los medicamentos, sigue enfrentando **limitaciones metodológicas, regulatorias y operativas** que pueden limitar su utilidad. La **falta de**

alineación entre los datos generados y los requisitos de evaluación puede derivar en la repetición de estudios, en la necesidad de ajustes metodológicos o en la presentación de información que no responde a las preguntas clave de los evaluadores. Esta situación puede traducirse en una **utilización subóptima de recursos** y en la prolongación de los tiempos de espera para la incorporación de innovaciones al sistema sanitario.

Para abordar esta cuestión, este estudio recoge las voces de **siete expertos del ecosistema sanitario** —evaluadores, representantes de pacientes y miembros de equipos de acceso a mercado de la industria farmacéutica— a través de entrevistas cualitativas. El objetivo ha sido **ofrecer una visión integral sobre el papel del diálogo temprano en la generación y uso estratégico de RWE**, identificar los principales retos y proponer recomendaciones para avanzar hacia un modelo más eficiente, colaborativo y orientado a la toma de decisiones basada en evidencia.



RWE hoy: aplicaciones y valor en la práctica real

Durante años, el uso del *Real World Data* (RWD) estuvo limitado a contextos muy específicos, principalmente ligados a la farmacovigilancia y a los planes de gestión de riesgos. Se utilizaba para **monitorizar la seguridad post-comercialización**, caracterizar patrones de uso y generar señales de alerta, pero no se consideraba una fuente válida para decisiones estratégicas o regulatorias.

La evidencia **se centraba en eficacia y seguridad, sin tener en cuenta el contexto real del paciente** ni la práctica clínica habitual. En este escenario, la industria generaba datos de forma reactiva, sin una planificación alineada con las necesidades del sistema sanitario. **El valor del RWD se restringía a aspectos de seguridad a largo plazo** y su integración en procesos de evaluación era limitada y poco estructurada.

En los últimos años, se ha producido un **cambio de paradigma**. El RWD ha dejado de ser una herramienta secundaria para convertirse en un **elemento estratégico en la toma de decisiones**. Se reconoce que la evidencia debe generarse a lo largo de todo el ciclo de vida del medicamento, desde fases tempranas hasta el seguimiento post-comercialización. Han surgido **iniciativas que permiten recoger datos prospectivos sobre uso de recursos, carga de enfermedad y experiencia del paciente**. Se empieza a hablar de planes de generación de evidencia como instrumento para anticipar incertidumbres y preguntas del evaluador, así como para preparar decisiones de acceso con mayor solidez. Además, **la industria invierte cada vez más en estudios de RWE más robustos**, aunque aún persiste una falta de coordinación con los decisores públicos.

Este proceso de transición también ha puesto de relieve la necesidad de definir claramente qué evidencia se necesita, cuándo y cómo debe generarse, y quién debe liderar ese proceso.

Actualmente, el **RWD se utiliza en múltiples fases y con distintos objetivos** y, tal y como indican los entrevistados, tiene la capacidad de **cambiar la forma de hacer medicina y organizar los servicios sanitarios**. Su valor se ha ampliado más allá de la seguridad post-comercialización, y se reconoce su utilidad para:

- Caracterizar la carga de enfermedad.
- Estimar la población objetivo del tratamiento o intervención en cuestión.
- Definir criterios de inclusión/exclusión.
- Justificar decisiones de acceso y posicionamiento estratégico ante situaciones con un cierto grado de incertidumbre.
- Calcular impacto presupuestario y definir techos de gasto más realistas.
- Identificar el grado de infradiagnóstico de una patología concreta y ajustar las estimaciones epidemiológicas.
- Contextualizar los resultados de ensayos clínicos frente a la práctica real, asegurando supuestos de eficacia, vigilando el uso racional y detectando riesgos.



Retos en el uso del RWE en el diálogo temprano en España

Aunque el uso del RWE aporta un valor indiscutible en la toma de decisiones sanitarias, su implementación en los procesos de diálogo temprano no está exenta de complejidades. El análisis de las entrevistas realizadas a profesionales del ámbito del acceso pone de manifiesto una serie de **retos que dificultan su aplicación estratégica**. Estos desafíos se estructuran en **cinco bloques temáticos claramente diferenciados: metodológicos, operativos, regulatorios**, relacionados con la **confianza en la evidencia**, y vinculados a la **disponibilidad de recursos** y capacidades técnicas.

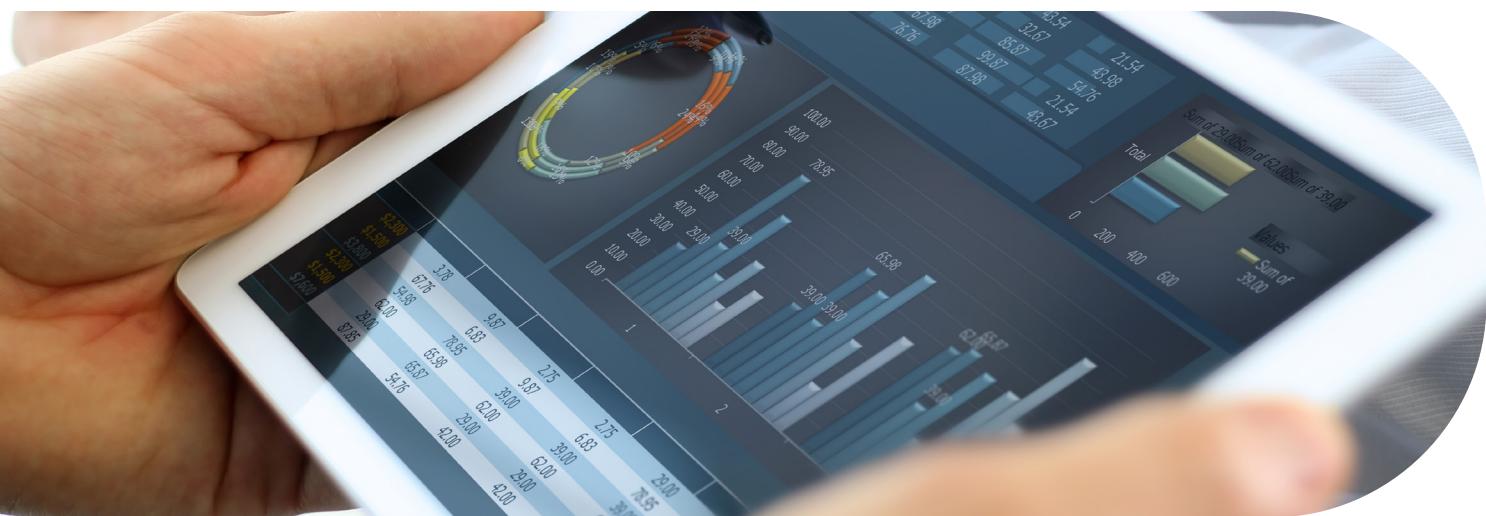
Barreras metodológicas y de calidad de los datos

Uno de los principales obstáculos es la **falta de robustez metodológica en los estudios basados en datos de práctica clínica habitual**. Se identifican tres problemas básicos: la **contemporaneidad de los datos, el sesgo de selección y la calidad de la información**. Como se señala en una entrevista, “*por más que hagas emparejamientos, siempre queda un sesgo de selección; los contextos no son los mismos y muchas veces los registros están concentrados en un centro determinado que ha hecho una labor excelente, pero eso no es extrapolable ni al país ni a todos los ámbitos del país*”.

Esta falta de rigor percibida se traduce en una **baja aceptabilidad por parte de los evaluadores**, especialmente cuando se pretende utilizar RWE como comparador externo en ensayos de un único brazo.

También se identifican **problemas de representatividad en los registros de pacientes**, que suelen estar concentrados en centros de alta especialización. Para mitigar este aspecto, **se ha puesto en marcha una iniciativa a nivel nacional llamada IMPACTA HTA**, que busca promover la inclusión de la perspectiva del paciente en los procesos de evaluación en España; aunque también se encuentra actualmente en fases tempranas de desarrollo.

La codificación clínica representa otra gran barrera en el uso del RWE actualmente. La heterogeneidad en los sistemas de codificación (CIE-9, CIE-10, SNOMED CT, entre otros) y la **falta de estandarización** entre comunidades autónomas dificultan la integración y comparación de datos. Además, la **codificación incompleta o inexacta** de diagnósticos, procedimientos y resultados clínicos reduce la calidad y fiabilidad de la información disponible, generando sesgos en los análisis y limitando la validez externa de los estudios. Estas carencias impactan directamente en la capacidad para generar evidencia robusta y reproducible.



Limitaciones operativas y administrativas

Los entrevistados coinciden en señalar que los estudios observacionales presentan **tiempos de ejecución excesivamente largos**. “*Un estudio observacional retrospectivo, por muy rápido que sea, se convierte en año y medio siendo optimistas*”. Adicionalmente, los **costes elevados de estudios** prospectivos se añaden como dificultad operativa.

La protección de datos personales es otro punto crítico. La normativa europea sobre **Reglamento General de Protección de Datos (RGPD)** establece requisitos estrictos para el tratamiento de información clínica, lo que obliga a **anonimizar los datos y a justificar su uso con fines de investigación**. Esta exigencia, aunque necesaria para proteger la privacidad, puede **dificultar el acceso a información relevante** y limitar la representatividad de los estudios. “*Hoy en día estamos preparados para que la inteligencia artificial contribuya a la armonización de procesos. Sin embargo, aún no lo estamos en lo que respecta a la soberanía del dato. Mientras no cambiemos esta mentalidad, será difícil avanzar con la generación de RWE.*”

La interoperabilidad entre sistemas de información también representa un reto. La **fragmentación de los registros clínicos y la ausencia de plataformas compartidas** dificultan la explotación de los datos y la generación de evidencia útil. La iniciativa del **Espacio Europeo de Datos de Salud** busca abordar este problema, pero su implementación aún está en fases iniciales.

Incertidumbre en el marco regulatorio y de acceso

En el ámbito regulatorio, el uso de RWE aún se encuentra en proceso de consolidación. Aunque organismos como la FDA y la EMA han publicado **marcos de referencia y guías técnicas**, la aceptación de estos datos en decisiones de autorización, financiación o extensión de indicaciones sigue siendo limitada y variable entre países.

La FDA, por ejemplo, reconoce en su “**Framework for Real-World Evidence**” que la utilidad de la RWE depende de su **capacidad para responder preguntas regulatorias específicas de manera confiable y reproducible**.¹ Sin embargo, también advierte que no todos los diseños observacionales son adecuados para todas las decisiones, y que se requiere una evaluación caso por caso.

En Europa, la situación es igualmente compleja. Aunque la EMA ha avanzado en la definición de criterios para estudios basados en registros², la **implementación práctica de estos principios varía entre los estados miembros**. La OCDE, en su informe sobre acuerdos de acceso gestionado, señala que **la falta de armonización en el uso de RWE limita su impacto en la toma de decisiones a nivel regional**.³

Desconfianza en la evidencia generada por la industria

Uno de los retos recurrentes en el uso del RWE en el diálogo temprano es la **necesidad de reforzar la confianza en los datos generados por la industria**. En varios testimonios se señala que, cuando la evidencia no está respaldada por fuentes públicas o estudios independientes, puede surgir cierta cautela en su interpretación. Esta cautela se intensifica cuando existen **discrepancias entre los datos presentados en el dossier y los que figuran en el IPT**, lo que puede generar incertidumbre en el proceso de evaluación.

Asimismo, por un lado, se observa que ciertas metodologías de generación de evidencia, como los **estudios de mercado o los paneles de expertos**, no siempre son percibidos como **suficientemente sólidos para sustentar decisiones de evaluación y acceso**.

Por otro lado, también se cuestiona en ocasiones la utilidad de los **Resultados Reportados por los Pacientes (PRO)**, que pueden no reflejar adecuadamente la realidad del paciente.

Recursos y capacidades insuficientes

Desde la industria, en algunas compañías se ha identificado una **carenza de perfiles especializados en RWE y diálogo temprano a nivel local**, lo que dificulta la integración estratégica de estos datos en los planes de acceso. En palabras de uno de los participantes, *"normalmente en la industria no tenemos una persona específica dedicada a planificar el diálogo temprano y las personas de acceso tenemos que ver cómo dar respuesta a las necesidades que identificamos"*. Esta limitación no solo afecta la planificación de estudios, sino también la interlocución con los evaluadores.

Además de la falta de capacidades técnicas, se señala una **escasa cultura interna para incorporar el RWD en decisiones estratégicas**. En ocasiones, se generan estudios sin una visión clara de su utilidad futura, lo que lleva a **esfuerzos que no responden a las preguntas clave del evaluador**. Esta falta de alineación entre lo que se genera y lo que realmente necesitan los decisores se traduce en un riesgo: **invertir en evidencia que no será considerada relevante en el proceso de evaluación**. *"Si tú generas unos datos que luego el pagador no utiliza o te los cuestiona, te enfrentas a una conversación muy difícil"*, se advierte. En este sentido, se reclama una **mayor claridad institucional sobre qué tipo de evidencia se espera**, cómo debe generarse y quién debe liderar su producción.



Beneficios y oportunidades del diálogo temprano en España

El diálogo temprano se configura como una herramienta estratégica para anticipar necesidades, reducir incertidumbres y mejorar la calidad de las decisiones en el acceso a medicamentos. A partir de las entrevistas realizadas, se identifican múltiples beneficios que este enfoque puede aportar, tanto para la industria como para los evaluadores y el sistema sanitario en su conjunto.

Mejora de la planificación estratégica y anticipación de evidencia

Uno de los beneficios más destacados del diálogo temprano es su **capacidad para anticipar las necesidades de evidencia antes de que se formalice la evaluación del medicamento**. Esta anticipación permite a los desarrolladores preparar estudios más ajustados a las preguntas clave del financiador, evitando esfuerzos infructuosos y mejorando la eficiencia del proceso. Como se señala en una entrevista, *"la experiencia te dice que, con una inversión no tan grande, modulada a lo largo del tiempo y bien planificada, estos datos son imprescindibles para poder gestionar el acceso al producto"*.

Además, el diálogo temprano permite **identificar desde el inicio las áreas de incertidumbre que podrían dificultar la decisión de financiación**. Esto permite estructurar la conversación y definir qué evidencia será necesaria para reducir esa incertidumbre, tanto clínica como económica.

La anticipación también **facilita la preparación de argumentos sólidos para todo el ciclo de vida del medicamento**. "No quiere decir que vayas a tener éxito en tu gestión de la revisión de precios, pero si no tienes argumentos preparados, el impacto será inevitable", se advierte. En este sentido, el diálogo temprano no solo mejora el acceso inicial, sino que también permite gestionar de forma más eficaz las revisiones posteriores.

Contextualización del valor del medicamento

El diálogo temprano ofrece la posibilidad de **situar el valor del medicamento en el contexto real del sistema sanitario español**. Esto incluye la caracterización de la carga de enfermedad, la estimación de la población diana y la identificación de necesidades médicas no cubiertas. *"Contar con información que te ayude a poner en referencia toda la conversación que tú quieres tener es fundamental"*, se destaca en una entrevista.

Esta contextualización permite **construir una narrativa de valor más sólida, basada en datos locales y relevantes para los decisores**. En enfermedades raras, por ejemplo, el diálogo temprano **facilita el uso de registros y datos clínicos** que, aunque limitados, pueden ser suficientes para justificar el posicionamiento terapéutico, y lo mismo ocurre en áreas terapéuticas con alta variabilidad clínica.

Además, el diálogo temprano permite incorporar variables centradas en el paciente, como los **Resultados Reportados por los Pacientes (PRO)**, desde fases iniciales del desarrollo clínico. *"Todo se recoge en fases tempranas, es muchísimo más fácil de argumentar"*, se afirma. Esto contribuye a una evaluación más completa del beneficio terapéutico, incluyendo dimensiones como la calidad de vida y el impacto funcional.

Mitigación de la incertidumbre poblacional

La anticipación que permite el diálogo temprano también tiene un **impacto directo en la reducción de la incertidumbre** respecto a la población y el impacto de la misma en las conversaciones con evaluadores. Si se cuenta con datos epidemiológicos más precisos y actualizados, es posible **ajustar las estimaciones de impacto presupuestario y evitar desviaciones significativas** entre lo previsto y lo observado. “*La disponibilidad de esos datos puede marcar la diferencia*”, se afirma. Existen fuentes de RWE como, por ejemplo, la herramienta ARGOS, desarrollada por el **Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER)**, dependiente del Instituto de Salud Carlos III, que tiene como objetivo principal la recogida, análisis y explotación de datos epidemiológicos sobre enfermedades raras en España. **Discutir el uso de este tipo de evidencia o generar otras complementarias** sería relevante para un mejor alineamiento en la fase de diálogo temprano.

En contextos de infradiagnóstico de la enfermedad, **el diálogo temprano permite identificar los retos de estimación de la población potencialmente tratable** y el grado de incertidumbre percibida por parte del evaluador o pagador. “*Si tú me dices que el impacto presupuestario es para 7 pacientes, pero yo sospecho que pueden ser 50, las cuentas no me van a cuadrar*”, se advierte. Esta anticipación en el alineamiento de los diferentes agentes es clave para **evitar sorpresas en la negociación y para diseñar estrategias de acceso más ajustadas a la realidad clínica**.

Por ello, tener una **previsibilidad de la incertidumbre** percibida sobre la población objetivo es fundamental tanto para el promotor, porque le servirá para valorar la puesta en marcha de estudios adicionales para mitigarla, como para el evaluador/pagador dado que se facilitará la posterior fase de evaluación y negociaciones, dado que se **enfrentarán a un menor grado de incertidumbre de cara a la toma de decisiones**.

Mitigación de la incertidumbre clínica

Desde el punto de vista técnico, el diálogo temprano **facilita la planificación de estudios complementarios que permitan cubrir lagunas de evidencia antes de la decisión de financiación**. Esto incluye estudios observacionales, registros, análisis de uso de recursos sanitarios y modelos de coste-efectividad. “*Si no empiezas a planificar lo que viene después de la autorización de la EMA, llegarás tarde*”, se advierte.

Además, cada vez va a ser más frecuente **desarrollar ensayos como comparadores externos**, es decir, utilizar estudios de tipo observacional, prospectivos en su mayoría, como un brazo de control externo que complementa aquellos ensayos de un solo brazo. No obstante, la dificultad será la aceptación de esta metodología según el tipo de análisis realizado. Según uno de los entrevistados “*Hay escepticismo en confirmar en estas técnicas, pero son robustas*”.

Además, este enfoque permite estructurar acuerdos de precio dinámico, vinculados a la generación progresiva de evidencia. “*Vamos a poner este precio dinámico y en cuanto acabes de generar esa evidencia, saltamos al siguiente escalón de precio*”, se propone. Esta flexibilidad beneficia tanto al pagador como al desarrollador, al permitir ajustar el precio en función del valor demostrado.

Mejora de la calidad del debate y la toma de decisiones

El diálogo temprano contribuye a **generar evidencia más representativa y útil para pagadores**, así como a estructurar las conversaciones entre industria y administración, evitando negociaciones reactivas y poco fundamentadas. “*Permite mantener la conversación en el contexto en el que debe ser mantenida para las dos partes, no solo para una*”, se afirma. Esta estructuración **mejora la calidad del debate y facilita la toma de decisiones más informadas y transparentes**.



Además, el diálogo temprano favorece la trazabilidad de las decisiones, al consensuar previamente los criterios y variables relevantes. *"Si se pacta por adelantado lo que vamos a analizar, luego no podemos ponerlo en duda porque falta una variable que ha salido a última hora"*, se advierte. Esta previsibilidad reduce la incertidumbre y mejora la legitimidad del proceso.

También se destaca que el diálogo temprano permite **alinear expectativas entre los distintos actores implicados, incluyendo clínicos, pacientes y evaluadores**. *"Estamos orientando el trabajo que hacemos para ser útiles también a los demás"*, se señala. Esta alineación facilita la construcción de consensos y mejora la receptividad de la evidencia generada.

Impulso a la colaboración público-privada

El diálogo temprano abre la puerta a una colaboración más estructurada entre industria, administración, clínicos y pacientes. *"La industria puede catalizar muy bien estos debates e incluso liderarlos, siempre que haya*

reglas claras del juego", se afirma. Esta colaboración permite definir conjuntamente las preguntas relevantes y los diseños de estudio adecuados. Además, se destaca que este enfoque puede **contribuir a normalizar el uso compartido de datos y a fomentar la interoperabilidad entre sistemas**.

La colaboración público-privada también permite aprovechar mejor las capacidades de cada parte. *"La administración tiene la necesidad de conocer todo esto para poder tener buenas conversaciones y que las recomendaciones de uso se ajusten al lugar donde tienen más valor"*, se señala. En este sentido, el diálogo temprano se presenta como una **herramienta para construir un marco de entendimiento común que facilite decisiones más eficientes y sostenibles**.

El RWE del futuro: visión compartida y próximos pasos

La evolución del uso de datos de práctica clínica en el diálogo temprano ha generado un consenso claro entre los distintos perfiles entrevistados: **el RWE debe consolidarse como una herramienta estratégica**, no solo para reforzar decisiones de acceso, sino para anticiparlas y enriquecerlas desde fases muy tempranas del ciclo de vida del medicamento. Esta visión de futuro se articula en torno a **tres ejes fundamentales: la planificación anticipada, la colaboración estructurada y la generación de evidencia útil y representativa**.

Uno de los aprendizajes más reiterados es la necesidad de definir de forma temprana **qué preguntas se quieren responder con el RWE**, cómo se va a generar esa evidencia y cuándo debería estar disponible. Como se ha señalado, “*la disponibilidad de esos datos puede marcar la diferencia, no solo al inicio, sino a lo largo del tiempo*”. Esta **planificación debe estar alineada con los objetivos de acceso**, permitiendo que la evidencia se incorpore en el momento adecuado y con el formato más útil para los evaluadores.

En este sentido, de cara al futuro se requiere una **mayor claridad metodológica y una estructura común** que permita consensuar los planes de generación de evidencia entre la industria, los evaluadores y los clínicos. La falta de reglas del juego compartidas genera incertidumbre, retrasa procesos y limita el impacto del RWE en las decisiones estratégicas.

La representatividad de los datos, su trazabilidad y la robustez metodológica son elementos clave para que el RWE sea aceptado y valorado. Se insiste en que “*la industria puede catalizar muy bien estos debates, pero hace falta que todos estemos en la mesa*”. En este marco, se propone avanzar hacia **modelos de colaboración público-privada** que permitan explotar de forma ética y eficiente las fuentes de datos disponibles, especialmente las historias clínicas electrónicas, que hoy se perciben como una “*mina de oro infrautilizada*”.



Además, se destaca la **necesidad de incorporar nuevos perfiles y capacidades**, tanto en la industria como en la administración. Se reclama la **figura de un responsable local de RWE en la industria con visión estratégica**, capaz de identificar necesidades, diseñar estudios útiles y coordinar los recursos disponibles. “*Necesitamos a alguien que entienda la situación y nos ayude a definir las líneas*”, se señalaba en una de las entrevistas. Esta figura debería actuar como **nexo entre los equipos médicos, de acceso y de generación de evidencia**, asegurando que los estudios respondan a preguntas relevantes y se integren en los procesos de decisión.

Aunque la RWE puede aplicarse en múltiples contextos, hay áreas terapéuticas donde su impacto será especialmente relevante en el futuro:

- **Enfermedades raras:** por la escasez de datos en ensayos clínicos, la necesidad de registros prospectivos y la importancia de estimar con precisión la prevalencia y el uso de recursos.
- **Oncología personalizada:** donde la fragmentación por biomarcadores y mutaciones requiere evidencia sobre subgrupos específicos, trayectorias clínicas y efectividad en condiciones reales.
- **Salud mental y cronicidad:** por la variabilidad clínica, la necesidad de seguimiento longitudinal y la importancia de incorporar la experiencia del paciente en la evaluación de resultados.
- **Terapias avanzadas:** como las génicas y celulares, donde el impacto presupuestario y la incertidumbre clínica requieren modelos de acceso basados en resultados y evidencia post-comercialización.

Estas áreas comparten una **característica común: alta incertidumbre clínica, económica o poblacional**, lo que convierte a la RWE en una herramienta indispensable para reducir riesgos y mejorar la toma de decisiones.

Además, el impulso del diálogo temprano en RWE requiere y debería ir acompañado por un **liderazgo institucional, estructuras de gobernanza definidas y nuevos perfiles profesionales** capaces de articular la colaboración entre actores. Se necesitan equipos técnicos especializados en diálogo temprano, integrados por representantes de agencias reguladoras, oficinas de evaluación, clínicos y pacientes. Estos equipos deben ser capaces de **identificar incertidumbres, definir planes de evidencia y coordinar con los desarrolladores** desde el inicio del proceso. Según uno de los entrevistados: “*Entiendo que, en cuanto a temas de financiación, el enfoque debe ser bottom-up; es decir, si dispongo del dinero y los recursos, debo ser quien tome la decisión. En cambio, la evaluación debe seguir un enfoque top-down.*”.

También se requiere una mayor participación de las comunidades autónomas, que pueden presionar en los órganos de decisión y contribuir a la construcción de modelos más adaptados a la realidad asistencial. Y, por supuesto, **la industria debe asumir un rol proactivo, generando evidencia útil**, participando en espacios de diálogo y promoviendo entornos de discusión técnica rigurosa.

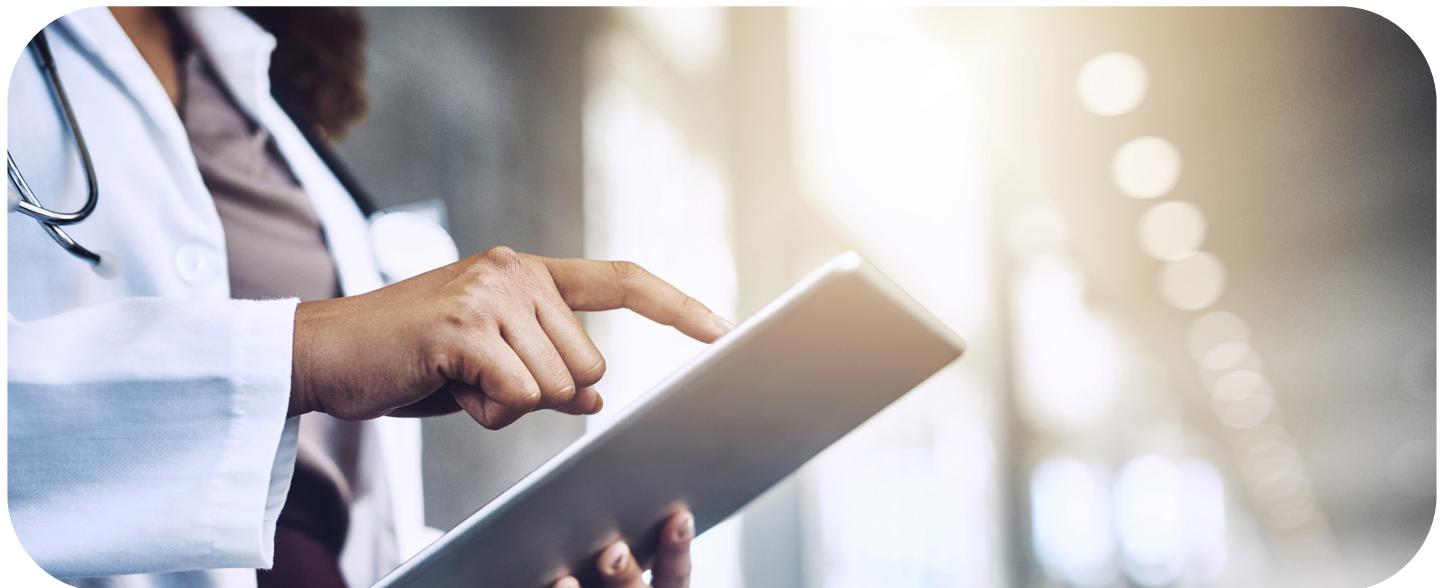


En cuanto a los **próximos pasos**, se identifican varias acciones prioritarias:

- **Definir un marco metodológico común** para el diálogo temprano, que incluya una discusión sobre la generación y uso del RWE con criterios de calidad, representatividad y utilidad.
- Establecer **equipos de diálogo temprano**, con participación de **evaluadores, clínicos, pacientes e industria**, que permitan consensuar planes de evidencia desde el inicio del proceso regulatorio.
- Impulsar la **interoperabilidad de datos clínicos a nivel nacional y europeo**, garantizando **estándares semánticos y técnicos** que faciliten el uso secundario de la información asistencial.
- Fomentar **entornos de debate estructurado, liderados por la industria y otros stakeholders**, que permitan avanzar en la definición de estrategias tempranas y en la identificación de barreras y oportunidades.
- Asignar **recursos específicos para la explotación de datos clínicos**, incluyendo perfiles técnicos especializados en bioestadística, epidemiología y análisis de datos.

Algunas de estas iniciativas están también **apoyadas por las principales entidades a nivel nacional, como la AEMPS, el Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos (GENESIS) y Farmaindustria**. Estas han propuesto en diferentes documentos de posicionamiento establecer un modelo estructurado de diálogo temprano en España, similar al de EMA o NICE. De hecho, desde Farmaindustria se publicó el *Informe de la Plataforma de Medicamentos Innovadores* sobre el valor del RWE en decisiones de financiación. En otras publicaciones de la **Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)** y GENESIS, recomiendan el uso de RWE en la evaluación farmacoeconómica. Por último, la AEMPS ha mencionado el RWE en el contexto de seguimiento de medicamentos autorizados por procedimientos centralizados.^{4,5,6}

La futura implementación del **Joint Clinical Assessment (JCA)** europeo abre una **oportunidad para que España articule un modelo de diálogo temprano entre desarrolladores y autoridades evaluadoras**, aunque el Reglamento (UE) 2021/2282⁷ no lo contempla explícitamente. Sin embargo, sí que se establecen **plazos definidos para la evaluación conjunta**, lo que abre una ventana de oportunidad para que los Estados miembros, como España, articulen mecanismos de



interacción anticipada. El momento en que se presenta la documentación regulatoria a la EMA y al Grupo Coordinador de Evaluación es estratégico para identificar incertidumbres y definir qué evidencia adicional — incluyendo RWE — será necesaria para **facilitar el acceso y la financiación nacional**. En este contexto, herramientas como el denominado **Work Package**, utilizado por la industria para estructurar la evidencia clínica y regulatoria a nivel internacional, pueden servir de **base para anticipar necesidades y orientar decisiones en los sistemas nacionales**.

En España, con tal de impulsar un marco formal de diálogo temprano, podría **promoverse la creación de equipos técnicos integrados por la AEMPS y la oficina de evaluación de tecnologías sanitarias**, que incluyan expertos clínicos y representantes de pacientes, que colaboren con los desarrolladores en la definición de planes de evidencia adaptados al entorno nacional. Esta planificación permitiría **evitar sorpresas en la fase final del JCA, facilitar acuerdos de introducción condicionada y cumplir con los plazos establecidos por la normativa española**, como los 180 días para

la resolución de financiación. El uso de RWE en esta fase sería clave para estimar impacto presupuestario, monitorizar resultados en práctica clínica real y ajustar el modelo de financiación en función del valor demostrado.

En definitiva, **el futuro del RWE en el diálogo temprano pasa por dejar atrás el modelo de oferta**, en el que la industria propone y el sistema reacciona, **y avanzar hacia un modelo de demanda**, en el que el sistema sanitario expresa sus necesidades y la evidencia se genera para responderlas. Como se resumía en una de las entrevistas: “*Tenemos que converger hacia una conversación en la que las dos partes se pongan de acuerdo sobre los mínimos, y eso solo se consigue si todos sabemos lo que queremos*”. Es decir, **debemos orientarlo hacia un modelo más colaborativo**, donde la generación de evidencia se planifique desde fases muy iniciales del desarrollo. **La visión emergente es la de un sistema en el que los desarrolladores, evaluadores, financiadores y pacientes trabajen de forma conjunta para definir qué evidencia se necesita, cómo se va a generar y en qué momento será útil para la toma de decisiones**.



Conclusiones

El recorrido por las entrevistas realizadas en el marco de este *white paper* ha permitido **aflorar la necesidad que surge en el contexto actual de comprender el valor que puede aportar la incorporación de RWE en un diálogo temprano entre los distintos agentes**. Las voces recogidas coinciden en que el valor del RWE no reside únicamente en su capacidad para complementar la evidencia clínica tradicional, sino en su **potencial para anticipar incertidumbres, contextualizar decisiones y facilitar acuerdos más informados** entre industria, administración y clínicos.

Uno de los aprendizajes más relevantes es que **el impacto del RWE depende menos de su disponibilidad técnica y más de su integración en procesos de decisión** que estén alineados desde el inicio. La planificación temprana, la definición compartida de preguntas relevantes y la transparencia metodológica emergen como condiciones indispensables para que los datos generados sean útiles y aceptados por todos los actores implicados. En este sentido, el diálogo temprano se revela como el **espacio natural para consensuar qué evidencia se necesita, cómo se va a generar y con qué propósito se va a utilizar**.

Asimismo, se ha puesto de manifiesto que la utilidad del RWE no puede desligarse de su aplicabilidad local. **La falta de datos nacionales, la fragmentación de fuentes y la escasa interoperabilidad entre sistemas siguen siendo barreras que limitan su impacto real**. La necesidad de generar evidencia contextualizada, especialmente en áreas terapéuticas de alta incertidumbre como las enfermedades raras, obliga a **repensar los modelos de colaboración público-privada** y a reforzar el papel del financiador en la producción de datos epidemiológicos y de uso de recursos.

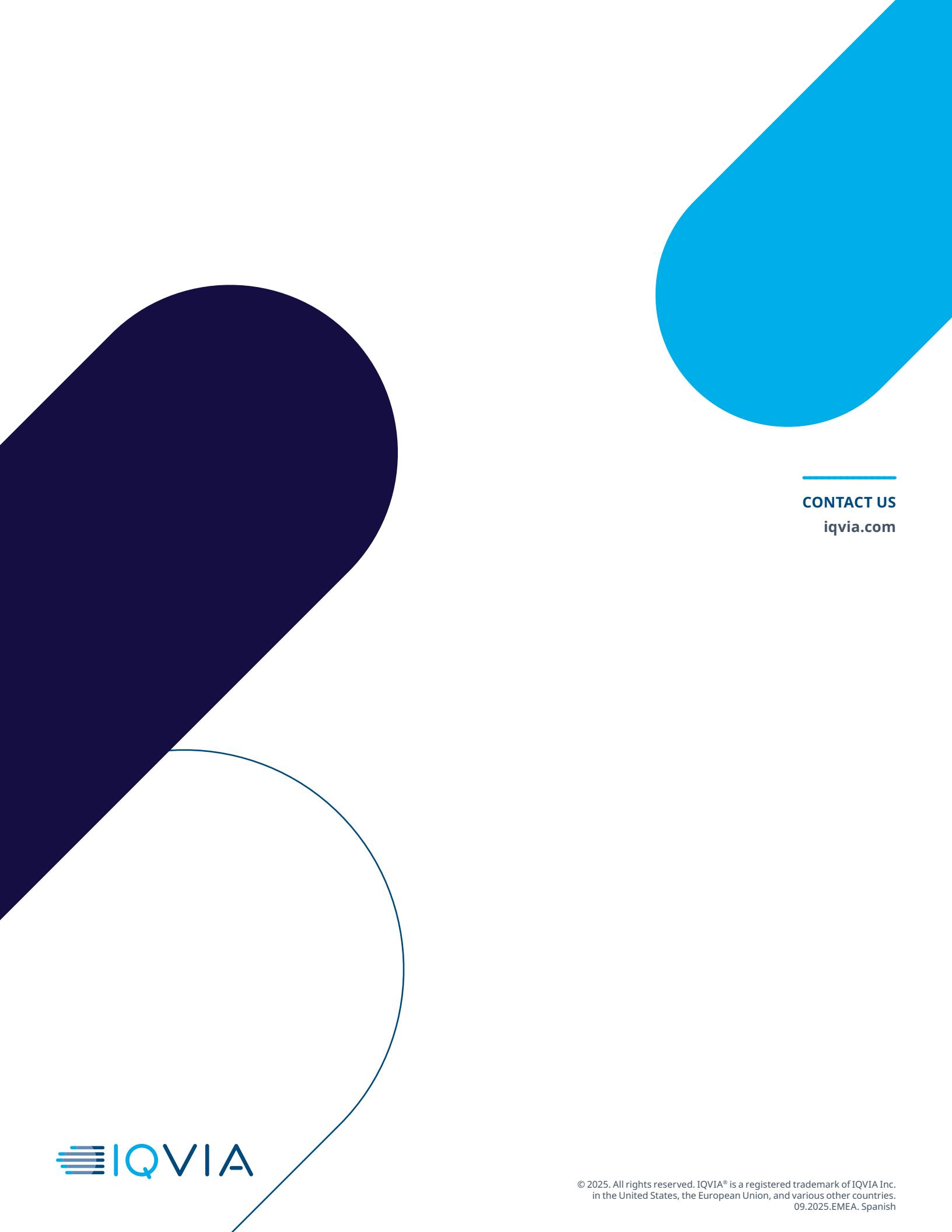
Por otro lado, el análisis de las entrevistas también ha evidenciado que **la industria farmacéutica está asumiendo un rol cada vez más activo en la generación de RWE**, pero que este esfuerzo debe ir acompañado de una mayor coordinación con los decisores. La ausencia de reglas claras, la falta de protocolos compartidos y la desconfianza sobre la procedencia de los datos siguen dificultando su incorporación efectiva en los procesos de evaluación y financiación. En este contexto, se reclama la **creación de equipos mixtos de diálogo temprano que incluyan a evaluadores, clínicos y representantes de pacientes**, capaces de definir conjuntamente los estándares mínimos de calidad y relevancia de la evidencia.

Finalmente, las entrevistas apuntan a una **evolución del RWE hacia modelos más dinámicos**, donde la evidencia no se genera para justificar decisiones ya tomadas, sino para construirlas de forma progresiva. Esta visión exige **nuevas capacidades, nuevos roles y una cultura de evaluación más abierta**, donde el dato no sea un fin en sí mismo, sino una herramienta para mejorar la calidad del proceso y la equidad del acceso.

El reto ahora no es demostrar que el RWE puede aportar valor, sino **garantizar que ese valor se traduzca en decisiones más informadas, más rápidas y sostenibles**. Para ello, será imprescindible avanzar hacia una gobernanza compartida del dato, una planificación estratégica de la evidencia y una interlocución continua entre todos los actores del sistema.

Referencias

1. U.S. Food and Drug Administration. Framework for FDA's Real-World Evidence Program. [Internet]. 2018 [cited 2025 Oct 20]. Available from: <https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence>
2. European Medicines Agency. Guideline on registry-based studies. EMA/426390/2021. [Internet]. 2021 [cited 2025 Oct 20]. Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/guideline-registry-based-studies-scientific-guideline>
3. Wenzl M, Chapman S. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: how they work and possible improvements going forward. OECD Health Working Papers. 2019;115. doi:10.1787/6e5e4c0f-en.
4. Plataforma de Medicamentos Innovadores de Farmaindustria. La aportación de la industria farmacéutica a la sostenibilidad del sistema sanitario. Farmaindustria; 2022. Disponible en: <https://www.farmaindustria.es>
5. Grupo GENESIS-SEFH. Guía de evaluación económica de medicamentos. Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria; 2021. Disponible en: <https://www.sefh.es>
6. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Informe anual 2022. Ministerio de Sanidad; 2023. Disponible en: <https://www.aemps.gob.es>
7. Parlamento Europeo y Consejo de la Unión Europea. Reglamento (UE) 2021/2282 del Parlamento Europeo y del Consejo de 15 de diciembre de 2021 relativo a la evaluación de las tecnologías sanitarias y por el que se modifica la Directiva 2011/24/UE. Diario Oficial de la Unión Europea. 2021;L 458:1–62.



CONTACT US
iqvia.com

