



---

Real-World Data: Assessing  
Electronic Health Records and  
Medical Claims Data to Support  
Regulatory Decision-Making  
for Drug and Biological  
Products  
Guidance for Industry

U.S. Department of Health and Human Services  
Food and Drug Administration  
Center for Drug Evaluation and Research (CDER)  
Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)  
Oncology Center of Excellence (OCE)

July 2024  
Real-World Data/Real-World Evidence (RWD/RWE)

---

## **Evaluación de Registros Electrónicos de Salud y Datos de Reclamos Médicos para Decisiones Regulatorias sobre Productos Farmacéuticos y Biológicos: Guía de la FDA 2024**

### **María Isabel Íñigo Petralanda**

Abogada, Bioeticista. Coordinadora del Comité de Ética en Investigación CEI UCA, Chair del Capítulo IA, Gobernanza de Datos y Salud Digital Instituto de Bioética UCA [miip@uca.edu.ar](mailto:miip@uca.edu.ar)

### **Ana Amaya**

Periodista. Integradora de Información y Conocimiento con evidencia. Fundadora, Editora y Directora del Medio Periodístico Telemedicina Salud en Línea [aamaya@saludenlinea.com.ar](mailto:aamaya@saludenlinea.com.ar)

---

## **Resumen**

La Ley de Curas del Siglo XXI, firmada en 2016, busca acelerar el desarrollo de productos médicos e introducir innovaciones de manera más eficiente para los pacientes. En respuesta a esta ley, la FDA ha emitido una nueva guía en 2024 que actualiza y expande la guía de 2013 sobre el uso de registros electrónicos de salud (EHR) y datos de reclamos médicos para apoyar decisiones regulatorias en productos farmacéuticos y biológicos. Este documento destaca los cambios clave y las nuevas consideraciones introducidas en la guía de 2024.



## **Introducción**

El desarrollo y la aprobación de productos farmacéuticos y biológicos dependen de datos sólidos y confiables. La Ley de Curas del Siglo XXI introdujo la sección 505F a la FD&C Act, permitiendo el uso de evidencia del mundo real (RWE) derivada de datos del mundo real (RWD) para apoyar la aprobación de nuevas indicaciones para medicamentos ya aprobados o para cumplir con los requisitos de estudios post-aprobación. La guía de 2024 de la FDA proporciona un marco actualizado para la industria y el personal de la FDA sobre cómo llevar a cabo y reportar estudios utilizando EHR y datos de reclamos médicos.

## **Programa de Real World Data (RWD) de la FDA**

La FDA ha implementado un programa para evaluar el uso potencial de RWD en decisiones regulatorias. Este programa se alinea con el mandato de la sección 505F de la FD&C Act, que requiere la emisión de guías sobre el uso de RWE en la toma de decisiones regulatorias. El programa cubre estudios clínicos que utilizan RWD, como información de la práctica clínica rutinaria, para derivar RWE.

## **Antecedentes**

La guía de 2013 de la FDA se enfocaba en el uso de datos electrónicos de atención médica para estudios de seguridad farmacológica. La nueva guía de 2024 amplía ciertos aspectos de la guía de 2013, proporcionando recomendaciones adicionales para evaluar la relevancia y fiabilidad de EHR y datos de reclamos médicos en estudios clínicos generales.

## **Consideraciones Generales**

Para todos los estudios que utilicen EHR o datos de reclamos médicos, los patrocinadores deben enviar protocolos y planes de análisis estadístico a la FDA antes de realizar el estudio. La FDA recomienda solicitar comentarios o reuniones con la división de revisión correspondiente para discutir el estudio. Todos los elementos del diseño, análisis, realización y reporte del estudio deben predefinirse y describirse detalladamente en el protocolo y el informe final.

## **Fuentes de Datos**

Los protocolos deben identificar todas las fuentes de datos propuestas para el estudio y evaluar su adecuación para responder las preguntas del estudio. La FDA no respalda una fuente de datos sobre otra. Las posibles limitaciones de las fuentes de datos, como la precisión de los datos de reclamos médicos y EHR, deben considerarse y documentarse.

## **Elementos del Diseño del Estudio**



La guía de 2024 proporciona una discusión detallada sobre los elementos del diseño del estudio, incluyendo la definición de períodos de tiempo, la selección de la población del estudio, la determinación y validación de la exposición y los resultados, y la identificación de covariables. Estos elementos deben validarse para garantizar la fiabilidad y relevancia de los datos.

## Calidad de los Datos

La nueva guía introduce consideraciones detalladas sobre la calidad de los datos durante su acumulación, curación y transformación en el conjunto final de datos del estudio. Esto incluye la caracterización de los datos, la documentación del plan de aseguramiento/calidad (QA/QC) y la gestión de datos.

## Innovaciones en la Guía de 2024

Las principales actualizaciones de la guía de 2024 incluyen:

1. **Ampliación del Alcance y Aplicación:** La guía ahora abarca una gama más amplia de estudios clínicos, no solo estudios de seguridad farmacológica.
2. **Consideraciones Generales Mejoradas:** Requiere la presentación de protocolos y planes de análisis estadístico antes de los estudios.
3. **Selección de Fuentes de Datos:** Enfatiza la importancia de elegir fuentes de datos adecuadas para las preguntas del estudio.
4. **Calidad de los Datos:** Detalla las prácticas de aseguramiento y control de calidad durante todo el proceso de manejo de datos.
5. **Elementos del Diseño del Estudio:** Proporciona guías más detalladas para el diseño y validación de estudios clínicos.

## Conclusión

La guía de 2024 de la FDA sobre el uso de EHR y datos de reclamos médicos para decisiones regulatorias representa un paso significativo hacia la integración de datos del mundo real en la evaluación de productos farmacéuticos y biológicos. Las mejoras y expansiones en esta guía reflejan el compromiso de la FDA con la fiabilidad y relevancia de los datos, así como con la rigurosidad en el diseño y análisis de estudios clínicos.

## Fuentes

<https://www.fda.gov/about-fda/fda-en-espanol>

## Contacto para información

### María Isabel Íñigo Petralanda

Abogada, Bioeticista. Coordinadora del Comité de Ética en Investigación CEI UCA, Chair del Capítulo IA, Gobernanza de Datos y Salud Digital Instituto de Bioética UCA  
miip@uca.edu.ar

### Ana Amaya

Periodista. Integradora de Información y Conocimiento con evidencia. Fundadora, Editora y Directora del Medio Periodístico Telemedicina Salud en Línea  
aamaya@saludonlinea.com.ar