

## Real-World Evidence: The Role of Medical Journals in Generating Knowledge Beyond Clinical Trials

### Evidência do Mundo Real: O Papel das Revistas Científicas Médicas na Produção de Conhecimento Além dos Ensaio Clínicos

José Mariz<sup>1,2,3</sup> 

A investigação clínica tem sido tradicionalmente dominada pelos ensaios clínicos aleatorizados e controlados (ECA), considerados o *gold standard* para a avaliação da eficácia e segurança dos medicamentos e intervenções terapêuticas. Contudo, esta perspetiva, embora metodologicamente robusta, encerra uma limitação fundamental: os ECA são desenhados em condições idealizadas, com critérios de inclusão e exclusão rigorosos que dificultam a generalização dos seus resultados à diversidade da prática clínica quotidiana.<sup>1</sup> É neste contexto que emerge, com crescente relevância, o conceito de evidência do mundo real (*real-world evidence*, RWE), o qual é, por sua vez, a consequência da evidência clínica gerada a partir de dados do mundo real (*real-world data*, RWD) provenientes da prestação de cuidados de saúde em contexto de rotina.<sup>1</sup>

A Food and Drug Administration norte-americana (FDA) define RWD como os dados relativos ao estado de saúde do doente e/ou à prestação de cuidados de saúde, recolhidos de forma rotineira a partir de fontes diversas como registos eletrónicos de saúde (RES), dados de faturação e atividade administrativa, registos de doenças e produtos, dados gerados pelos próprios doentes em ambiente domiciliário, bem como dados provenientes de dispositivos móveis.<sup>1</sup> A análise destes dados gera RWE, definida como a evidência clínica relativa ao uso e aos potenciais benefícios ou riscos de um produto médico derivada da análise de RWD.<sup>1</sup> No contexto europeu, a Agência Europeia do Medicamento (EMA) define RWD como os dados sobre o estado de saúde dos doentes ou sobre a prestação de cuidados de saúde, recolhidos de rotina a partir de diversas fontes externas aos ensaios clínicos tradicionais, e RWE como a informação derivada da análise desses dados.<sup>2</sup> É importante clarificar que a RWE não se propõe substituir os ECA, mas sim complementá-los. Os ECA medem a eficácia de uma intervenção em condições controladas; a RWE avalia a sua efetividade no contexto real, sendo por isso centrada no doente e não no investigador.<sup>1</sup> A dicotomia entre RWD e dados de ECA é, em

larga medida, artificial: certos ensaios pragmáticos integram condições do mundo real através de critérios de elegibilidade mais inclusivos e monitorização de resultados através de infraestruturas de saúde existentes, aproximando-se de estudos de efetividade.<sup>2</sup> Reconhece-se crescentemente que estas duas formas de produção de evidência fornecem um conjunto de informação mutuamente complementar, preenchendo as lacunas do conhecimento sobre qualquer intervenção.<sup>1</sup>

A RWD acumula-se a partir de fontes múltiplas e heterogéneas. Os RES constituem provavelmente a fonte mais significativa, permitindo sínteses rápidas e sistemáticas sobre eficácia, segurança, qualidade de vida, resultados reportados pelos doentes e história natural da doença.<sup>1</sup> Em termos de desenho de estudo, a RWE pode ser gerada através de estudos de coorte (retrospectivos ou prospetivos), estudos transversais, estudos caso-controlo, análises de registos, estudos de bases de dados de RES e de faturação, e ensaios clínicos pragmáticos.<sup>1,2</sup>

Não me encontro em posição de enunciar estes princípios como a invenção da roda. O meu papel de Editor-chefe, bem como de investigador clínico e médico com grande carga assistencial, torna como emergente a reflexão sobre o papel que as revistas científicas médicas, e em especial as associadas a sociedades científicas, podem e devem desempenhar na produção de RWE. A Revista Portuguesa de Medicina Interna (RPMI), órgão oficial da Sociedade Portuguesa de Medicina Interna, constitui um exemplo paradigmático desta oportunidade. A sua tipologia editorial já inclui formatos como casos clínicos, séries de casos, comunicações breves, pontos de vista, revisões e originais, que se enquadram perfeitamente nas metodologias reconhecidas de produção de RWE. Estudos de coorte retrospectivos com dados de RES, análises de registos hospitalares, séries de casos com seguimento clínico e estudos transversais sobre padrões de utilização de medicamentos são contribuições valiosas para o corpo de evidência científica gerada fora dos ECA, com relevância direta para a prática clínica nacional.

A importância desta dimensão é ainda amplificada pelo facto de a medicina interna, pela sua natureza generalista e transversal, lidar quotidianamente com a complexidade e a comorbilidade típicas dos doentes reais, que é precisamente

<sup>1</sup>Editor-Chefe

<sup>2</sup>Serviço de Urgência e Unidade de Cuidados Intermédios, ULS Braga, Braga, Portugal

<sup>3</sup>Escola de Medicina da Universidade do Minho, Braga, Portugal

<https://doi.org/10.24950/rspmi.2881>

o contexto em que a RWE mais se diferencia dos ECA e mais complementa o seu contributo. Os dados sobre farmacovigilância, padrões de utilização de fármacos, efetividade comparativa de tratamentos em populações envelhecidas ou com múltiplas patologias, e resultados reportados pelos doentes, são exemplos de áreas em que a produção de RWE em contexto português é de elevado valor científico e clínico.

A produção de RWE a partir de dados portugueses é relevante por múltiplas razões. Em primeiro lugar, permite caracterizar a realidade epidemiológica, os padrões de cuidados e os resultados em saúde da população portuguesa, que pode diferir significativamente de populações estudadas em ECA realizados noutros contextos geográficos e socioeconómicos. A transposição acrítica de evidência produzida em populações selecionadas para a realidade do Serviço Nacional de Saúde é uma limitação reconhecida da medicina baseada na evidência.

Acresce que a investigação publicada em revistas como a RPMI constitui um repositório de dados portugueses que pode ser mobilizado para comparações internacionais, análises de variação de prática clínica e estudos de efetividade comparativa à escala global. Por exemplo, A EUPATI (European Patients' Academy on Therapeutic Innovation) sublinha que a RWE tem demonstrado valor para a aprovação e o reembolso de medicamentos, e para a monitorização da segurança de produtos já em comercialização, papéis que dependem, em última análise, da qualidade e representatividade dos dados de RWD disponíveis em cada sistema de saúde.<sup>2</sup>

Mas não podemos ignorar os desafios inerentes à produção de RWE. A ausência de aleatorização e os riscos de viés de seleção, de informação e de confundimento são limitações reconhecidas que requerem rigor metodológico acrescido no desenho, condução e análise dos estudos.<sup>1</sup> A qualidade dos dados, a proteção da privacidade e a confidencialidade, a duplicação de registos e a utilização de dados para fins diferentes dos originais constituem desafios adicionais.<sup>1,2</sup> O Regulamento Geral de Proteção de Dados (RGPD) da União Europeia enquadra legalmente estas preocupações no espaço europeu, colocando obrigações claras aos investigadores e instituições que gerem dados de saúde.<sup>2</sup>

A garantia de transparência em cada etapa do estudo é essencial para assegurar a fiabilidade e a confiança na RWE. O conselho editorial da RPMI tem como pilar de avaliação da submissão de um artigo a garantia que foram cumpridos os preceitos Éticos e de Proteção de Dados segundo as orientações das principais organizações internacionais.

A RPMI, enquanto plataforma científica da Sociedade Portuguesa de Medicina Interna, está em posição privilegiada para estimular e publicar estudos de RWE que documentem a realidade clínica portuguesa, contribuam para a melhoria dos cuidados prestados aos doentes e permitam a comparação com outras populações a nível mundial. A crescente consciencialização e aceitação da RWE entre todos os intervenientes (médicos, indústria farmacêutica, fontes de financiamento, reguladores e doentes) e o desenvolvimento de quadros regulatórios e iniciativas de transparência a nível internacional constituem um momento de oportunidade que as revistas médicas associadas a sociedades científicas não podem deixar passar.<sup>1,2</sup>

E claro que tem de incluir a Medicina Interna. Volto a repetir, não inventei a roda, mas alguém tem de ter a coragem de a fazer rodar. A Medicina Interna é a especialidade mais rica em doentes complexos e “inclassificáveis”. Se não formos nós a contar essa história, quem o fará? ■

### Ethical Disclosures

Conflicts of Interest: The authors have no conflicts of interest to declare.

Financial Support: This work has not received any contribution grant or scholarship.

Provenance and Peer Review: Commissioned; without external peer review.

### Responsabilidades Éticas

Conflitos de Interesse: Os autores declaram a inexistência de conflitos de interesse.

Apoio Financeiro: Este trabalho não recebeu qualquer subsídio, bolsa ou financiamento.

Proveniência e Revisão por Pares: Solicitado; sem revisão externa por pares.

© 2026 Sociedade Portuguesa de Medicina Interna. This is an open-access article under the CC BY-NC 4.0. Re-use permitted under CC BY-NC 4.0. No commercial re-use.

© 2026 Sociedade Portuguesa de Medicina Interna. Este é um artigo de acesso aberto sob a licença CC BY-NC 4.0. Reutilização permitida de acordo com CC BY-NC 4.0. Nenhuma reutilização comercial.

Received / Recebido: 05/06/2026

Accepted / Aceite: 05/06/2026

Published Online / Publicado Online: 23/06/2026

Published / Publicado: 23/06/2026

### REFERÊNCIAS

1. Dang A. Real-world evidence: a primer. *Pharmaceutical Medicine*. 2023;37(1):25–36. doi: 10.1007/s40290-022-00456-6
2. European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI). Real-World Data (RWD) & Real-World Evidence (RWE). EUPATI Toolbox. Disponível em: <https://toolbox.eupati.eu/resources/patient-toolbox/real-world-data-rwd-real-world-evidence-rwe/>.