

Editorial

La significancia clínica de los términos eficacia, efectividad y eficiencia en la investigación clínica

El epidemiólogo pionero Archie Cochrane definió tres conceptos relacionados a la evaluación de intervenciones en estudios de investigación: Eficacia se refiere a la magnitud en la cual una intervención es benéfica o causa daño bajo circunstancias ideales (esto funciona o no funciona?); Efectividad se refiere a la evaluación de si una intervención hace más bien que daño cuando el clínico la administra a sus pacientes bajo condiciones usuales (es decir, es hacerse la siguiente pregunta: ¿Esto funciona en la práctica?). Otro término comúnmente utilizado es el de Eficiencia, el cual mide el efecto de una intervención en relación a los recursos que esto consume (¿vale la pena utilizarlo? Esto es, en relación a la evaluación de riesgo-beneficio o costo-beneficio).^{1,2}

Cuando un estudio se realiza tratando de emular las condiciones de la práctica clínica diaria, estaríamos hablando de efectividad. En estos estudios se incluyen pacientes que los clínicos ven diariamente en su consulta, con rango amplio de características, de tal manera que el estudio está diseñado para cubrir las necesidades de diferentes pacientes en la práctica clínica diaria. Estos estudios a diferencia de los estudios de eficacia que generalmente se llevan en condiciones controladas de laboratorio o en pacientes ideales que difícilmente reflejan el espectro tan amplio de pacientes que ven en la práctica clínica diaria. Los estudios de efectividad tratan de ayudar a pacientes y clínicos a tomar decisiones clínicas.^{2,3}

En contraste la mayoría de los estudios que prueban una droga o cualquier intervención, están diseñados para realizarse bajo condiciones ideales, estos estudios son llamados de Eficacia. Estos estudios tienen la característica de estar bien diseñados en poblaciones bien definidas y con intervenciones altamente específicas. Incluyen numeroso personal en el estudio para asegurar una mejor adherencia al protocolo, mejorar el cumplimiento con la intervención y documentar adecuadamente el seguimiento. Los

resultados usualmente responden directamente a la intervención y este resultado no es más que un sustituto (en la mayoría de las veces) del resultado que sería de mayor interés para el paciente (por ejemplo medir niveles de tensión arterial, en lugar de accidentes vasculares cerebrales o accidentes coronarios). Por lo que se establece que los estudios de eficacia tienen por objetivo principal el adquirir mayor conocimiento acerca de la intervención.^{4,5}

De hecho, cuando una intervención es un producto farmacéutico, los estudios de eficacia preceden a los estudios de efectividad, debido a que una droga no puede ser utilizada en la práctica hasta que ha sido probada su eficacia y que estos estudios cumplan con las reglamentaciones sanitarias establecidas (incluidos los aspectos éticos). Pero aun así que se haya probado su eficacia, los estudios de efectividad son todavía necesarios para ver si la intervención que funcionó en condiciones ideales lo hace en las condiciones usuales (pacientes de la práctica clínica diaria con amplio rango de características). Los estudios de eficacia, donde no se demuestra ningún beneficio no está indicada la realización de un estudio de efectividad.

Eficacia: Estos estudios clínicos típicamente seleccionan pacientes ideales que son cuidadosamente seleccionados, están en alto riesgo de resultados adversos de la enfermedad, no tienen otras enfermedades serias y tienen una probabilidad muy alta de responder al tratamiento de interés. Este tratamiento también será administrado por médicos que son más probables que sigan un protocolo cuidadoso ya establecido, generalmente la comparación será con placebo (funciona o no funciona) y no la mejor alternativa actual (como en los estudios de efectividad) y todos los participantes en el estudio recibirán una atención especial del equipo médico que está llevando a cabo el estudio, que reemplazan o sustituyen a los médicos que trabajan en escenarios clínicos usuales. Estos estudios como se comentó anteriormente son muy

útiles: si la intervención no funciona bajo tales condiciones ideales, esto seguramente no funcionará en condiciones usuales por lo que tiene sentido la secuencia de estudios de eficacia-efectividad-eficiencia

Efectividad: Aun así, si una intervención funciona muy bien en condiciones ideales (es eficaz), puede no hacerlo en condiciones ideales (no es efectiva), ya que la efectividad en condiciones usuales (comunidad) depende no solamente de la eficacia de la intervención, sino también de la certeza diagnóstica, cumplimiento del clínico, adherencia de la paciente y la cobertura de los servicios de salud.⁶

Un diagnóstico erróneo puede resultar en que la persona errónea reciba el tratamiento o que no se dé el tratamiento. Los clínicos frecuentemente fallan en la prescripción o administración del tratamiento adecuado. Los pacientes típicamente toman menos de la mitad de los tratamientos prescritos. Generalmente se requieren estudios de alta tecnología que no están disponibles en los escenarios clínicos usuales o son de alto costo o bien nuevas intervenciones no están disponibles en todas las comunidades en los países en desarrollo o en la mayoría de las comunidades del resto del mundo.²

Varias claves ayudan a identificar los estudios de efectividad. Los criterios de inclusión de los estudios de efectividad generalmente son extensos que no permiten predecir qué tipo de pacientes llegarán a la consulta o en busca de atención médica. Los protocolos de intervención para evaluar efectividad, son flexibles, no supervisados tan estrictamente y menos formales. El resultado primario es un evento clínicamente significativo de interés para el paciente, como prevención de una ataque cardiaco o un accidente cerebro-vascular, o bien la prevención de un nacimiento pretérmino en embarazos de alto riesgo o el embarazo y nacimiento en una paciente infértil.

Otra clave para identificar estudios de efectividad es el análisis de los pacientes en el grupo al cual ellos fueron asignados, independientemente si continuaron o no con la intervención o se perdieron durante el seguimiento. Esto es lo que comúnmente se le llama análisis con intención de tratar, lo cual emula la práctica clínica en la cual los pacientes tiene la libertad de elegir aun después de que la decisión de un tratamiento parezca haber finalizado. Este principio es muy sensible, ya que muchas autoridades regulatorias requieren una análisis pro intención de

tratar en los estudios de eficacia, por lo que este criterio ha sido de menos ayuda para identificar diseños de efectividad.³

Una práctica clínica excelente necesita más estudios de efectividad, pero ellos son desafiantes. Los principales elementos del diseño no son problemáticos ya que las definiciones adecuadas de la población, de la intervención y de los resultados son bien conocidas por los clínicos.

Se necesitan mas estudio de efectividad para discriminar entre intervenciones útiles de las inútiles en la práctica clínica cotidiana y así mismo de estudios de eficiencia que nos digan el precio de esas intervenciones que son útiles (costo-beneficio o riesgo-beneficio). Afortunadamente muchos gobiernos alrededor del mundo están al tanto de la necesidad de más y mejor investigación en los servicio de salud y están invirtiendo en el entrenamiento y desarrollo de investigación [no lo que se observa en México, particularmente aquí en Sinaloa, donde la investigación en salud (y los apoyos para la misma) es muy incipiente y escasa]. Uno generalmente espera que los gobiernos continúen escuchando nuestro clamor de mayor apoyo a la investigación y tengan paciencia, ya que consideramos que estamos en la dirección correcta.

Dr. Fred Morgan Ortiz

Referencias

- 1.- Sackett DL, Gent M.. Controversies in counting and attributing events in clinical trials. *N Engl J Med* 1979; 301: 1410-1412.
- 2.- Haynes B. Can it work? Does it work? Is it worth it? *BMJ* 1999;319:652-3.
- 3.- Collins J. Which randomized controlled trials are relevant to clinical practice? *Obstet Gynecol* 2005;106:216-217.
- 4.- Grimes D, Schulz KF. Surrogate end points in clinical research: hazardous to your health. *Obstet Gynecol* 2005; 105:1114 - 8.
- 5.- Schwartz D, Lellouch J. Explanatory and pragmatic attitudes in therapeutical trials. *J Chron Dis* 1967;20:637-48.
- 6.- Warren KS, Mahmoud AAF, Bennett K, Tugwell P, Sackett D, Haynes B. Relative risks, benefits, and costs of intervention. In: Warren KS, Mahmoud AAF, eds. *Tropical and geographic medicine*. 2nd ed. New York: McGraw-Hill, 1990: 205-228.