



EDITORIAL

Efectividad vs. eficacia: ¿es tiempo de cambiar nuestra forma de pensar?

Effectiveness vs. efficacy: Is it time to change the way we think?

El ensayo aleatorizado es considerado una de las herramientas más poderosas que poseen los investigadores clínicos, la cual les permite evaluar la efectividad de terapias nuevas (o ya establecidas), en las que se toman en cuenta los efectos de factores de confusión y los sesgos de selección. Los ensayos aleatorizados, especialmente los megaensayos, han transformado la práctica de la medicina. Sin embargo, la reputación de los mismos ha sufrido en los últimos años, debido a una preocupación razonable acerca de la complejidad, costo y tiempo requeridos para reclutar participantes, además de que tienen implícita una representatividad inadecuada. ¿De qué sirven los ensayos si los resultados no son aplicables a pacientes del mundo real y si, debido al costo excesivo, pueden ser utilizados sólo para contestar una pequeña fracción de nuestras preguntas clínicas importantes?

Concepto de efectividad vs. eficacia

Un tratamiento *efectivo* provee resultados positivos en una condición de atención habitual o de rutina que pude o no ser controlada para propósitos de investigación, pero si es controlada en el sentido de las actividades específicas que se llevan a cabo para incrementar la probabilidad de resultados positivos. Los estudios de efectividad involucran a clínicos y pacientes del mundo real, los que tienen diagnósticos o necesidades múltiples. En contraste, un tratamiento *eficaz* provee resultados positivos en un ensayo de investigación experimental controlado. Un estudio que nos muestra que un enfoque de tratamiento es “eficaz”, significa que el estudio arrojó buenos resultados, los cuales fueron identificados en un ensayo experimental controlado, a menudo en condiciones muy restringidas. Transpolares prácticas *eficaces* a escenarios de práctica rutinaria para producir resultados

efectivos, es uno de los problemas más difíciles de la práctica basada en la evidencia.

Algunos investigadores han planteado puntos importantes acerca del papel de los estudios de eficacia y efectividad, en el contexto de revisión de grandes estudios recientes. Inicialmente sugirieron que, si la eficacia y efectividad de los ensayos dan lugar a conclusiones diferentes, tenemos que confiar en los estudios de eficacia. También señalan que los resultados de los ensayos de eficacia, si son positivos, éstos pueden ser válidos para un limitado subgrupo de pacientes (p. ej. aquellos que cumplen con los criterios de ingreso, a menudo restrictivos, utilizados en los ensayos de eficacia o aquellos que están siendo tratados bajo “condiciones de investigación”, en la que se proporciona un tratamiento vigoroso). Por lo que casi todo mundo está de acuerdo en que los ensayos de efectividad son necesarios e incluso se sugiere que, los ensayos de efectividad nos permiten poder disponer del producto antes que el fabricante lo coloque en el mercado. Entonces, ¿los ensayos de efectividad son de utilidad o no?

Nuestra opinión es coincidente con esta afirmación, pero no totalmente. Los diseños particulares se formulan para contestar preguntas específicas, por lo que diferentes preguntas engendran diferentes diseños y diferentes diseños nos darán diferentes respuestas.

Los estudios de eficacia (fase II - III) se han diseñando con la máxima validez interna para responder preguntas como: ¿cuál es la eficacia, seguridad y tolerabilidad del tratamiento “x” comparado al placebo? (p. ej. para aislar los efectos clínicos de la molécula o dispositivo sólo en el paciente -tal como se expresa por los efectos secundarios- y en la enfermedad -tal como se expresa por efecto terapéutico o de empeoramiento-).

Específicamente, estos estudios incorporan una diversidad más grande de pacientes, emplean una gama

más amplia de resultados “clínicamente relevantes” y proveen tratamiento bajo condiciones habituales vs. condiciones de “investigación” (que pueden o no incrementar la tasa de retención, corriendo el riesgo de una infradosificación). Cuando un ensayo de eficacia revela un efecto positivo, la magnitud del mismo puede ser diferente en la práctica, dependiendo de *quien* está siendo tratado (p. ej. qué pacientes) y *como* está siendo tratado (co-intervención).

Podríamos decir que ambos “tipos” de ensayos son útiles. Cada uno contribuye a nuestra compresión de la realidad. Ningún diseño provee un camino único a la verdad. Más bien, la primera pregunta es: ¿el tratamiento potencial realmente sirve para pacientes no tan complicados y a qué costo o riesgo (p. ej. efecto adverso) para el paciente? Si el beneficio supera los efectos negativos (como se evalúa en los ensayos de eficacia), entonces ¿dónde, cómo y para quién se recomienda el tratamiento? Estas últimas preguntas son abordadas parcialmente por los llamados ensayos de “efectividad”. Los diseños pueden mantener constante o permitir variabilidad en la naturaleza y los tipos de pacientes (p. ej. co-morbilidades, medicamentos concomitantes, etc.), los procedimientos de tratamiento (p. ej. frecuencia de las visitas, ajuste de dosis, etc.), donde el tratamiento se utiliza en una secuencia de tratamientos (p. ej. niveles de resistencia al tratamiento, etc.).

Debemos recordar que los estudios de eficacia pueden evaluar su efecto bajo condiciones específicas. Si los estudios de efectividad difieren en los resultados, entonces, lógicamente podríamos pensar en este caso que el tratamiento nunca va a funcionar. Sin embargo, es probable que funcione sólo bajo condiciones seleccionadas que fueron definidas para subgrupos específicos de pacientes, métodos de terapéutica, o en donde se utiliza el tratamiento en una secuencia de maniobras.

Los estudios aleatorizados han experimentado críticas recientes, en parte porque implican una complejidad excesiva, altos costos y el tiempo necesario llega a ser excesivo para reclutar a los participantes, además de que la representatividad es inadecuada. ¿Qué tan bueno puede ser un ensayo si los resultados no son aplicables en los pacientes del mundo real y si debido al costo excesivo, estos pueden ser usados para responder sólo una pequeña fracción de las preguntas clínicas importantes? Una posible solución es buscar las respuestas en los estudios observacionales en bases de datos registrados en sistemas de salud, que incorporan a una proporción significativa de la población. En los pasados años las sociedades profesionales, las agencias gubernamentales, corporaciones privadas y grupos de investigación independiente han establecido bases de datos de alta calidad

que colectan los datos en forma estandarizada de pacientes, que provienen de una variedad de condiciones. Hay evidencia reciente de que esta aproximación es capaz de generar resultados relevantes, como lo constatan trabajos realizados en países del norte de Europa, en el que usando un diseño inteligente recuperan la información ya existente en bases de datos; identificando a los potenciales candidatos, incluyen a miles de pacientes en poco tiempo, obtienen un seguimiento adecuado con mínimo esfuerzo y de esta forma, se genera un reporte con estos hallazgos.

Este proceso de registro representa una alternativa novedosa, es una tecnología que transforma los estándares existentes, procedimientos y estructuras de costos. ¿Va a ser considerado seriamente como una manera de resolver las limitaciones reconocidas del actual diseño de los ensayos clínicos? Hoy ya no podemos darnos el lujo de llevar a cabo los ensayos de eficacia aleatorizados, que cuestan decenas a cientos de millones de dólares. En la actualidad, tenemos o deberíamos generar registros y otras plataformas digitales de gran alcance. Hoy puede ser posible diseñar y llevar a cabo megaensayos con lo que tenemos: datos más grandes y presupuestos más pequeños. Sin embargo, también debemos reconocer y aceptar los desafíos a los que nos enfrentaremos con los diversos grupos de investigadores y los interesados, los cuales debemos superar para poder llegar a este punto.

En conclusión, podemos decir que cada tipo de ensayo (eficacia/efectividad), provee contribuciones esenciales para tratar de manejar de una mejor manera a nuestros pacientes, y en el contexto de nuestra realidad, deberíamos empezar a cambiar nuestra manera de pensar.

Dr. med Francisco Javier Bosques-Padilla

Servicio de Gastroenterología,

Hospital Universitario “Dr. José Eleuterio González”,
Universidad Autónoma de Nuevo León, Monterrey, N.L.,
México

Dr. Luis Carlos Corral-Guerrero

Servicio de Gastroenterología, Hospital Universitario
“Dr. José Eleuterio González”, Universidad Autónoma de
Nuevo León, Monterrey, N.L., México

Correspondencia: Dr. med. Francisco Javier Bosques Padilla. Servicio de Gastroenterología, Hospital Universitario “Dr. José Eleuterio González”, Universidad Autónoma de Nuevo León. Av. Francisco I. Madero y Gonzalitos s/n, Colonia Mitras Centro, Monterrey, N.L., México. C.P. 64460. Teléfono y Fax: +52 (81) 8333 3664.

Correo electrónico: fbosques58@hotmail.com