

# Reflexiones sobre la investigación de resultados en salud

X. Badia Llach<sup>a</sup> y L. Lizán Tudela<sup>b</sup>

## LECTURA RÁPIDA

▼ La investigación de resultados en salud (IRS) constituye una fuente importante en el conocimiento de la eficacia y efectividad de los tratamientos e intervenciones sanitarias, en el contexto de la práctica clínica habitual.

▼ Además de las variables clínicas, la IRS utiliza otras, como medidas de relevancia clínica, la medida de la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS), las preferencias, la satisfacción o el coste-efectividad.

▼ La ausencia de una evaluación sistemática de la efectividad de los tratamientos e intervenciones sanitarias tiene importantes repercusiones.

## Introducción

La investigación de resultados en salud (IRS) constituye una fuente importante en el conocimiento de la eficacia (ensayos clínicos) y efectividad (estudios observacionales) de los tratamientos e intervenciones sanitarias, que mediante estudios naturales evalúan el beneficio en resultados importantes para los pacientes en el contexto de la práctica clínica habitual<sup>1,2</sup>. De forma tradicional, la investigación médica se ha basado principalmente en la medida de variables clínicas, centradas en los síntomas y pruebas de laboratorio, como medida de resultado de las intervenciones médicas. Junto con estas medidas, la IRS utiliza otras, como medidas de relevancia clínica (disminución de exacerbaciones, disminución de la morbilidad), la medida de la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS), las preferencias, la satisfacción o el coste-efectividad<sup>3,4</sup>. Los resultados de los estudios de la IRS nos ayudan a conocer mejor las enfermedades y su tratamiento clínico y deben incorporarse en el proceso evaluativo de la efectividad de los servicios sanitarios con el objetivo de mejorar la salud de la población<sup>5-8</sup>.

La ausencia de una evaluación sistemática de la efectividad de los tratamientos e intervenciones sanitarias tiene importantes repercusiones, tanto desde el punto de vista de los objetivos clínicos relevantes como

en lo que concierne a la CVRS, la satisfacción y las preferencias del paciente, así como al financiador de los servicios sanitarios. La inversión de ingentes recursos en nuevos tratamientos está siempre justificada cuando se traduce en un beneficio real en condiciones de práctica clínica habitual pero seguramente es cuestionable cuando, con independencia de la magnitud de la eficacia descrita en un contexto de ensayo clínico aleatorio y controlado con placebo, el beneficio es nulo o marginal en condiciones habituales de uso en comparación con otras alternativas existentes<sup>9</sup>. La realidad actual es, en la mayoría de los casos, la ausencia de información sistemática y de calidad que nos permita conocer si estamos ante la primera o la segunda situación. El notable aumento de la cultura sanitaria en la población y la fácil accesibilidad a la información médica y terapéutica a través de la red está condicionando cambios muy profundos en la tradicional relación de agencia entre el profesional sanitario y el paciente y su entorno. Éstos, ejerciendo un derecho incuestionable, exigen cada vez mayor información sobre las ventajas e inconvenientes de las intervenciones médicas y no tan sólo sobre los aspectos clínicos relacionados con la morbilidad y la mortalidad sino también en relación con las implicaciones sobre su calidad de vida, su capacidad de relación o el disfrute de su vida personal, social y profesional, y el coste de los tratamientos e intervenciones sanitarias. Sin embargo, da la impresión de que la investigación médica está principalmente encaminada a resolver dudas y comprobar hipótesis que preocupan sobremanera a la comunidad científica, pero no al grueso de la población. Lo importante es el paciente y no la enfermedad, y existen múltiples ejemplos en la bibliografía que demuestran que para las personas lo importante es cómo van a vivir su vida y no sólo la cantidad de vida<sup>10,11</sup>.

<sup>a</sup>Doctor en Medicina, Máster en Salud Pública y Economía de la Salud. Unidad de IRS. Departament d'Epidemiología i Salut Pública. HSC i SP. Health Outcomes Research Europe.

<sup>b</sup>Unidad Docente de Medicina de Familia y Comunitaria. Castellón. España.

Correspondencia:  
Xavier Badia Llach.  
Unidad de IRS. Departament d'Epidemiología i Salut Pública. HSC i SP. Casa de Convalecencia.  
Sant Antoni Maria Claret, 171.  
08041 Barcelona. España.  
Correo electrónico: xbadia@cochrane.es

## La medicina basada en la evidencia y la IRS

Los resultados de los estudios de IRS constituyen medicina basada en la evidencia (MBE). La información de la IRS requiere algo más que la simple recogida de datos de los resultados de la asistencia sanitaria en una historia clínica. Debe ser un sistema que proporciona información de resultados. Por tanto, la recogida de la información debe ser cuidadosa y completa mediante cuadernos de recogida de datos estandarizados, preferiblemente con apoyos informáticos, para que los resultados, la gravedad y el ajuste por riesgo de la afección puedan combinarse de forma adecuada en el análisis<sup>12-14</sup>. Es indudable que la medicina se ve arrastrada por modas y tendencias, y la MBE ha supuesto un revulsivo inequívoco y positivo en la forma de conceptualizar la práctica médica en la actualidad, aunque el movimiento ha sido más académico que clínico y se ha centrado demasiado en el ensayo clínico como "única" herramienta metodológica: la gradación de la evidencia enaltece los estudios experimentales en detrimento de los observacionales. Los métodos experimentales (ensayos clínicos controlados [ECC]) son el patrón oro para la evaluación clínica de los tratamientos e intervenciones sanitarias, y los métodos observacionales (estudios de cohorte, y de casos y controles) han tenido poco o ningún valor<sup>15</sup>. Esto ha creado confusión en los médicos, que han igualado la MBE al ECC. Sin embargo, la MBE abarca desde la descripción de un caso clínico hasta el ensayo clínico más perfectamente diseñado. Además, la MBE igualada al ECC ignora las limitaciones ampliamente conocidas de estos últimos, especialmente las que se refieren a su validez externa y que tienen mucho que ver con la práctica clínica habitual<sup>16,17</sup>. Además, por ejemplo, en la Unión Europea los criterios para la autorización de medicamentos son la calidad, la eficacia y la seguridad. Los desarrollos de los nuevos tratamientos van dirigidos únicamente a superar estas barreras y no se exigen estudios comparativos con fármacos ya existentes en las mismas indicaciones, ni el uso de variables clínicamente relevantes (cantidad y calidad de vida), ni se requieren estudios postautorización que permitirían conocer

el impacto del nuevo tratamiento usado en condiciones de práctica clínica. La ausencia de esta información es patente en muchos ejemplos, como en el caso de la cerivastatina<sup>18</sup>.

No se puede ni se debe dejar arrastrar a una dualidad contrapuesta entre ECC y máxima calidad de la investigación, y estudios observacionales y mínima calidad. La calidad tiene que ver con la validez del estudio, y cada diseño ocupa el espacio donde está indicado y ofrece los mejores resultados y conclusiones, en la mayoría de casos complementarias. Como los ECC, los estudios naturalísticos en condiciones de práctica clínica habitual (aleatorios u observacionales) deben ser rigurosos y cumplir con los requisitos éticos<sup>8,15,19</sup>. El diseño debe incluir la definición de la cohorte con respecto al grupo control, el tratamiento estudiado, la especificación de la evaluación inicial, el resultado y la capacidad de ajustar las posibles desigualdades en relación con el resultado<sup>20</sup>. Los resultados están en función de múltiples factores que pueden ser clasificados como factores de riesgo (estado clínico inicial del paciente, características sociodemográficas y psicosociales) y características del tratamiento (tratamiento y escenario de aplicación). El objetivo del análisis es aislar la relación entre el resultado de interés y el tratamiento aplicado controlando por los factores que pueden influir sobre el resultado (ajuste por riesgo). Algunos autores comparan los resultados de ensayos clínicos y estudios observacionales, sin encontrarse diferencias significativas entre ambos<sup>16,17</sup>. Esto va en contra de la creencia que afirma que los estudios observacionales sobreestiman el efecto de los tratamientos y no detectan los factores de confusión.

## La IRS y el papel de la atención primaria

Sobra decir que el papel de la IRS en atención primaria basada en estudios naturalísticos bien diseñados es fundamental, dado que es el lugar idóneo para realizar este tipo de investigaciones. La investigación en atención primaria se realiza en el mundo real fuera del mundo experimental controlado y seleccionado<sup>21</sup>. Esta realidad, que dista mucho del entorno ideal creado en los ECC, debe empujar a investigar en las

### LECTURA RÁPIDA

▼ El notable aumento de la cultura sanitaria en la población y la fácil accesibilidad a la información médica y terapéutica hace que cada vez se exija mayor información sobre las ventajas e inconvenientes de las intervenciones médicas.

▼ Los resultados de los estudios de IRS constituyen medicina basada en la evidencia (MBE).

▼ Equiparar MBE y ensayo clínico controlado ignora las limitaciones ampliamente conocidas de estos últimos, especialmente las que se refieren a su validez externa y que tienen mucho que ver con la práctica clínica habitual.

▼ En los desarrollos de los nuevos tratamientos no se exigen estudios comparativos con fármacos ya existentes, ni el uso de variables clínicamente relevantes, ni se requieren estudios postautorización en condiciones de práctica clínica.



## LECTURA RÁPIDA

▼ No se puede ni se debe dejar arrastrar a una dualidad contrapuesta entre ECC y máxima calidad de la investigación, y estudios observacionales y mínima calidad.

■ □ En el papel de la IRS en atención primaria basada en estudios naturalísticos bien diseñados es fundamental, dado que es el lugar idóneo para realizar este tipo de investigaciones.

▼ Recientemente se han elaborado y consensuado unas directrices sobre estudios postautorización de tipo observacional.

▼ La finalidad de la IRS es proporcionar la información de resultados que permita evaluar si determinados servicios sanitarios consiguen mantener o aumentar la salud de los individuos

condiciones dadas. Los resultados de los ECC difícilmente se pueden aplicar tomando sus resultados como pruebas o evidencias si no tenemos en cuenta la complejidad de la atención primaria. En un entorno en el que se propugna el modelo biopsicosocial como guía para poder entender al paciente en su globalidad, de forma integral, deberíamos centrarnos en una investigación dirigida a tener en cuenta esa complejidad<sup>22</sup>.

Hasta ahora, en España los estudios observacionales sólo requerían ser comunicados a la Agencia Española del Medicamento y no se exigía que fuesen presentados y evaluados por el Comité Ético de Investigación Clínica (CEIC). Sin embargo, recientemente se han elaborado y consensuado unas directrices sobre estudios postautorización de tipo observacional que exigen la aprobación del estudio por parte de, al menos, un CEIC para que se pueda realizar<sup>23</sup>. Esto no hace más que reconocer que el estudio observacional es fuente adicional de la evidencia científica. Sin embargo, los CEIC, poco acostumbrados a evaluar estudios naturalísticos, deberán incorporar personal preparado para ello y dar respuesta a la nueva demanda. Así, es necesario un cambio de mentalidad en los componentes de estos comités para que se dé el valor, en su justa medida, a los estudios naturalísticos y no se siga sacralizando a los ECC como reveladores de la «verdad absoluta». Que cada vez se incorporen más profesionales de la atención primaria puede ser una buena aproximación a este cambio de concepción que se propugna.

La finalidad de la IRS es proporcionar la información de resultados que permita evaluar si determinados servicios sanitarios consiguen mantener o aumentar la salud de los individuos a partir de múltiples fuentes de información relevante para la toma de decisiones clínicas, y principalmente de los dos resultados finales de mayor interés para los individuos: la calidad y la cantidad de vida. Por ello, todos los agentes implicados en los cuidados sanitarios deben estar presentes en el proceso: autoridades sanitarias, proveedores de servicios, profesionales sanitarios y pacientes; y la atención primaria de salud es el marco principal de desarrollo de los estudios de IRS.

## Bibliografía

- American Medical Association. Principles of Outcomes Research. Outcomes Research Resource Guide, 1996/97. New York: American Medical Association, 1997.
- Badia X, Del Llano J. La investigación de resultados en salud. *Med Clin (Barc)* 2000;114: 1-7.
- Badia X, Salamero M, Alonso J. La medida de la salud. Guía de escalas de medición en español. Barcelona: Edimac, 1999.
- Badia X, Rovira J. Introducción a la evaluación económica de medicamentos y otras tecnologías sanitarias. Madrid: Luzán 5 de Ediciones, 1995.
- Bailit H, Federico J, McGivney W, for AETA health plans. Use of outcomes studies by a managed care organization: valuing measured treatment effects. *Med Care* 1995;33: 216-25.
- Clancy CM, Eisenberg JM. Outcomes Research: measuring the end results of health care. *Science* 1998;282:245-6.
- Freund D, Lave J, Clancy C, Hawker G, Hasselblad V, Keller R, et al. Patient outcomes research teams: contribution to outcomes and effectiveness research. *Annu Rev Public Health* 1999;20:337-59.
- Horwitz RI, Viscoli CM, Clemens JD, Sardock RT. Developing improved methods for evaluating therapeutic effectiveness. *Am J Med* 1990;89:630-8.
- Black N. Why we need observational studies to evaluate the effectiveness of health care. *BMJ* 1996;312:1215-8.
- Hallan S, Asberg A, Indredavik B, Wideroe TE. Quality of life after cerebrovascular stroke: a systematic study of patients' preferences for different functional outcomes. *J Intern Med* 1999;246:309-14.
- Pearlman RA, Uhlman RF. Quality of life in chronic diseases: perception of elderly patients. *J Gerontol* 1988;43:25-30.
- Chassin MR, Kosecoff J, Park RE, Winslow CM, Kahn KL. Does appropriate use explain geographic variations in the use of health services? A study of three procedures. *J Am Med Assoc* 1987;258:2533-7.
- D'Agostino RB, Kwan H. Measuring effectiveness. What to expect without a randomized control group. *Med Care* 1995;33:AS95-105.
- Sacristán JA, Soto J, Galende I. Evaluación de la efectividad mediante asignación aleatoria utilizando bases de datos: ¿evidencia basada en la medicina? *Med Clin (Barc)* 1998; 111:623-7.
- Soto J, Sacristán A, Galende I. Estudios naturalísticos para valorar la efectividad de los medicamentos tras su comercialización: ¿por qué, cuándo y cómo? *Aten Primaria* 1998;22: 182-5.
- Concato J, Shah N, Horwitz RI. Randomized, controlled trials, observational studies, and the hierarchy of research designs. *N Engl J Med* 2000;342:1887-92.

17. Benson K, Hartz AJ. A comparison of observational studies and randomized, controlled trials. *N Engl J Med* 2000;342:1878-86.
18. Capellà D, Bosch M. Estatinas: ¿beneficio o riesgo? *Med Clin (Barc)* 2002;118:335-6.
19. Roland M, Torgerson DJ. Understanding controlled trials: what are pragmatic trials? *BMJ* 1998;316:285.
20. Gum PA, Thamilarasan M, Watanabe J, Blackstone EH, Lauer MS. Aspirin use and all-cause mortality among patients being evaluated for known or suspected coronary artery disease. *JAMA* 2001;286:1187-94.
21. Grandes G. ¿Por qué tan pocos ensayos clínicos en atención primaria? *Aten Primaria* 2002;29:97-100.
22. Roper W, Winkenwerder W, Hackbarth G, Rakauer H. Effectiveness in health care: an initiative to evaluate and improve medical practice. *N Engl J Med* 1988;319:1197-202.
23. Agencia Española del Medicamento. Disponible en: <http://www.msc.es/agemed/princip.htm>.