



Comunicación breve

Magnitud del efecto

Effect size

Erik Cobo*

Departamento de Estadística e Investigación Operativa, Universitat Politècnica de Catalunya/BarcelonaTech, Barcelona, España



En esta píldora veremos cómo medir el efecto de una intervención.

¿Qué efecto calculamos?

Diferencia de la evolución entre los grupos

La pregunta de interés es: ¿cuánto mejor terminan los sujetos tratados que los sujetos de control? Si hemos diseñado y ejecutado bien el ensayo clínico, la única diferencia entre los grupos en comparación es el tratamiento asignado. Entonces, el tamaño del efecto es la magnitud de la diferencia en los resultados, en la evolución.

El documento «*explanation and elaboration*» de Consort 2010, pone el ejemplo de la [tabla 1](#) para explicar el tamaño del efecto —que pide en el ítem 17¹—. Los pacientes en estudio tenían dolor patelofemoral por la *rodilla del corredor*. Las 2 intervenciones en comparación eran el tratamiento tradicional («*referencia*»), bien definido en el protocolo, y lo mismo más un *ejercicio*, asimismo bien definido en el protocolo. En la [tabla 1](#) se muestran las 3 variables respuesta, todas en una escala de 0 a 100: (1) función articular; (2) dolor en reposo; y (3) dolor en actividad. En las 2 de dolor, menos puntos indica menos dolor; y en la función articular, más puntos, mejor función. La variable principal, en la que habían basado el cálculo del tamaño muestral para tener la potencia deseada, era el dolor en reposo.

Veamos qué cálculos estadísticos podemos presentar. Para los pacientes, los clínicos y los investigadores, la pregunta que más interés genera es ¿con cuánta ventaja terminan los pacientes tratados? A los 12 meses, en la variable principal, los tratados tuvieron una media de 1,43 puntos, por 2,61 los controles: 1,18 puntos menos de dolor. Así, si el estudio estuviera libre de sesgo, podremos afirmar que el ejercicio (añadido a las intervenciones ya incluidas en el grupo de referencia) disminuyó el dolor promedio en 1,18 puntos. Por supuesto, 1,18 es una estimación puntual de la diferencia sin ajustar, un posible valor del efecto obtenido en esta asignación al azar. En una próxima nota explicaremos cómo contemplar otras posibles asignaciones con el intervalo de confianza.

¿«En qué grupo terminan mejor» o «en qué grupo mejoran más»?

Hay más formas de estimar este efecto. Para muchos investigadores, la auténtica pregunta es: «¿en qué grupo mejoran más?». Por tanto, se trata de tener en cuenta el punto de partida. Es decir, «sea cual sea la situación de partida de una paciente, ¿cuánto más mejorará si la tratamos?». Este es el estimador «ajustado» mostrado en la columna de la derecha de la tabla: tendrá 1,29 puntos menos de dolor en reposo.

Tabla 1

Incluye resultados descriptivos al inicio y al final del seguimiento, resumidos para cada grupo (ejercicio y referencia) con media y desviación típica (DT). La medida del tamaño del efecto es la diferencia entre estas medias teniendo en cuenta variables pronósticas o «ajustada» (por su valor inicial, la edad y la duración previa de los síntomas). Su medida de la incertidumbre es el intervalo de confianza del 95% (IC_{95%}). En las filas, presenta los resultados de 3 variables respuesta («outcome»): la principal es el dolor en reposo; y 2 secundarias, la función índice y el dolor en actividad, todas ellas entre 0 y 100.

Variable	Ejercicio		Referencia		Efecto Diferencia «ajustada» y su IC _{95%} a los 12 meses
	Inicial	Final (12 m)	Inicial	Final (12 m)	
	Media (DT)	Media (DT)	Media (DT)	Media (DT)	
Función articular	64,4 (13,9)	83,2 (14,8)	65,9 (15,2)	79,8 (17,5)	+4,52 −0,73 a +9,76
Dolor en reposo	4,14 (2,3)	1,43 (2,2)	4,03 (2,3)	2,61 (2,9)	−1,29 −2,16 a −0,42
Dolor en actividad	6,32 (2,2)	2,57 (2,9)	5,97 (2,3)	3,54 (3,38)	−1,19 −2,22 a −0,16

Fuente: ejemplo de resultados adaptado de la tabla 6 del documento CONSORT 2010 *Explanation and Elaboration: updated guidelines for reporting parallel group randomized trial*¹.

* Autor para correspondencia.
Correo electrónico: erik.cobo@upc.edu.

Según la teoría estadística, si la asignación al azar ha sido correcta, ambas muestras vienen de la misma población, por lo que ambos grupos tienen al inicio el mismo valor poblacional para todas estas variables. Entonces, en un estudio aleatorizado, los 2 estimadores tienen el mismo valor esperado: «el tamaño del efecto de la intervención». Los 2 son lícitos, siempre que la elección del indicador la hayamos realizado a ciegas, sin escoger ese resultado que más apoya nuestros deseos. Esa actitud, escoger el resultado que más nos favorece, es conocido como «sesgo del informe selectivo» (*selective outcome reporting*)².

Protocolo

Una forma de garantizar que no hemos podido cometer el sesgo del informe selectivo consiste en seguir fielmente el análisis especificado en un protocolo previamente publicado³. Esto permite, además, predeterminar el tamaño del estudio para garantizar que tiene la potencia deseada —para alcanzar un resultado positivo si la intervención tenía el efecto especificado en una llamada hipótesis alternativa—. La postura más razonable consiste en presentar en el protocolo el análisis que conducirá, presumiblemente, a un resultado más preciso⁴, menos afectado por la incertidumbre originada por la asignación al azar.

Financiación

PID2019-104830RB-I00 DOI (AEI): 10.13039 / 501,100,011,033: STATISTICAL METHODOLOGIES FOR CLINICAL AND OMICS DATA AND

THEIR APPLICATIONS IN HEALTH SCIENCES (SAMANTHA) del Ministerio de Ciencia e Innovación.

Responsabilidades éticas

No implica pacientes y no requiere permiso ético.

Bibliografía

1. Moher D, Hopewell S, Schulz KF, Montori V, Gøtzsche PC, Devereaux PJ, Elbourne D, Egger M, Altman DG. For the CONSORT group. CONSORT 2010 explanation and elaboration: updated guidelines for reporting parallel group randomized trial. *Trials*. 2010;11:32. [20334632](#).
2. Liberati A, Altman DG, Tetzlaff J, Mulrow C, Gøtzsche PC, Ioannidis JP, Clarke M, Devereaux PJ, Kleijnen J, Moher D. The PRISMA statement for reporting systematic reviews and meta-analyses of studies that evaluate health care interventions: explanation and elaboration. *PLoS Med*. 2009;6(7), e1000100. [19621070](#).
3. Chan AW, Tetzlaff JM, Gøtzsche PC, Altman DG, Mann H, Berlin J, Dickersin K, Hróbjartsson A, Schulz KF, Parulekar WR, Krleža-Jerić K, Laupacis A, Moher D. SPIRIT 2013 explanation and elaboration: guidance for protocols of clinical trials. *BMJ*. 2013;346, e7586. [23303884](#).
4. Senn S. The analysis of change, chapter 7. In: Ed Wiley and sons, editor. *Statistical Issues in Drug Development*. 2nd ed. New York; 2008.