



ČO JE EFEKTÍVNOSŤ ŠTÚDIE?

Preložila: MUDr. Darina Hasarová

Klinické štúdie môžu byť navrhnuté tak, aby otestovali účinnosť (či intervencia prináša efekt za ideálnych podmienok), alebo efektívnosť (či intervencia má účinok v reálnom svete). Efektívnosť štúdie sa často označuje ako pragmatická skúška. Štúdie účinnosti sa nazývajú aj ako hodnotiace štúdie. (1 –9)

Vlastnosti efektívnej štúdie

Keď je liečba označená ako účinná v hodnotiacej štúdii, zvyčajne sa porovnávala s placebom alebo s kontrolnou skupinou. Výsledky pomáhajú usmerňovať klinické rozhodovanie, ale v každodennej praxi je rozdiel medzi ideálnymi podmienkami skúšky účinnosti a zložitou zdravotnej starostlivosťou v dennej praxi (napr. široká škála pacientov, ktorí sú v starostlivosťi, geografické a sociálne rozdiely, náklady a ekonomické faktory a ďalšie) [1; 6; 9].

Štúdie efektívnosti sa pokúšajú vyplniť túto medzeru vo vedomostiach pre poskytovateľov zdravotnej starostlivosťi, pacientov a ďalšie zainteresované strany (rodiny, platitelia, vládne agentúry, podporné skupiny). Tieto štúdie zvyčajne zahŕňajú poskytovateľov zdravotnej starostlivosťi, ktorí sa venujú pacientom denne. [7; 8]. Výsledky z pragmatických štúdií sú často viac zovšeobecniteľné na rôznych pacientov, ktorí sa zvyčajne vyskytujú v zdravotníckych zariadeniach. Štúdia efektívnosti je preto v úzkom prepojení s účinnosťou. [5; 9]



Ako navrhnuť štúdiu efektívnosti

Štúdie účinnosti zvyčajne zahŕňajú porovnanie dvoch postupov, ktoré preukázali účinnosť. Môžu tiež porovnať intervenciu so štandardnou starostlivosťou. Účastníci sú zvyčajne náhodne priradení k danej liečebnej skupine. Výskumníci budú musieť identifikovať vhodnú študijnú populáciu a kde sa uskutoční (zdravotnícke zariadenie alebo komunity). Pred navrhnutím novej štúdie, je dôležité preskúmať nálezy a závery podobných štúdií vykonaných v iných lokalitách včítane zainteresovaných strán (pacientov, rodiny, lekárov) pri rozhodovaní o návrhu štúdie a realizácii štúdie. Toto upresňuje výskumná otázku (otázky) [1; 3; 5].

Návrh štúdie so zaradením
do zdravotného systému

Výstupy, dôležité
pre rozhodujúce biomarkery

Zbieranie údajov prostredníctvom EHR
v zdravotnej starostlivosti

Postupy, zaradené do rutínnej
klinickej praxe

Rôznorodosť reprezentačnej
študijnej populácie

Keď je určitý počet konkrétnych skúšok účinnosti a následnej účinnosti pre konkrétnu klinickú štúdiu ukončený pre konkrétnu chorobu, poskytovatelia zdravotnej starostlivosti, pacienti a rodiny a ostatné zainteresované strany môžu poskytnúť dostupné dôkazy tak, že rozhodnutia o liečbe môžu viesť k optimálnym výsledkom. Niekedy viaceré štúdie demonštrujú jednoznačné liečebné postupy, ale môžu byť pritom aj zmiešané výsledky. Len dodatočný klinický výskum a skúsenosti v reálnom svete klinickej starostlivosti môže nakoniec viesť k väčšej jasnosti o najlepších klinických postupoch.



Literatúra:

1. Ernst E, Pittler MH. Efficacy or effectiveness? *J Intern Med.* 2006 Nov;260(5):488-90. doi: 10.1111/j.1365-2796.2006.01707.x. PMID: 17040256.
2. Gartlehner G, Hansen RA, Nissman D, Lohr KN, Carey TS. Criteria for Distinguishing Effectiveness from Efficacy Trials in Systematic Reviews. Technical Review 12 (Prepared by the RTI-International–University of North Carolina Evidence-based Practice Center under Contract No. 290-02-0016.) AHRQ Publication No. 06-0046 Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality. April 2006.
3. Heddini A, Sundh J, Ekström M, Janson C. Effectiveness trials: critical data to help understand how respiratory medicines really work? *Eur Clin Respir J.* 2019 Jan 29;6(1):1565804. doi: 10.1080/20018525.2019.1565804. PMID: 30728925; PMCID: PMC6352944.
4. Loudon K, Treweek S, Sullivan F, Donnan P, Thorpe KE, Zwarenstein M. The PRECIS-2 tool: designing trials that are fit for purpose. *BMJ.* 2015 May 8;350:h2147. doi: 10.1136/bmj.h2147. PMID: 25956159.
5. Roche N, Reddel HK, Agusti A, Bateman ED, Krishnan JA, Martin RJ, Papi A, Postma D, Thomas M, Brusselle G, Israel E, Rand C, Chisholm A, Price D; Respiratory Effectiveness Group. Integrating real-life studies in the global therapeutic research framework. *Lancet Respir Med.* 2013 Dec;1(10):e29-30. doi: 10.1016/S2213-2600(13)70199-1. Epub 2013 Dec 2. PMID: 24461762.
6. Rosqvist, J., & Thomas, J. C. (Ed.), & Truax, P. (2011). Effectiveness versus efficacy studies. In J. C. Thomas & M. Hersen (Eds.), *Understanding research in clinical and counseling psychology* (pp. 319–354). Routledge/Taylor & Francis Group.
7. Schneeweiss S, Seeger JD, Jackson JW, Smith SR. Methods for comparative effectiveness research/ patient-centered outcomes research: from efficacy to effectiveness. *J Clin Epidemiol.* 2013 Aug;66(8 Suppl):S1-4. doi: 10.1016/j.jclinepi.2013.05.012. PMID: 23849143.
8. Singal AG, Higgins PD, Waljee AK. A primer on effectiveness and efficacy trials. *Clin Transl Gastroenterol.* 2014 Jan 2;5(1):e45. doi: 10.1038/ctg.2013.13. PMID: 24384867; PMCID: PMC3912314.
9. Wasan AD. Efficacy vs effectiveness and explanatory vs pragmatic: where is the balance point in pain medicine research? *Pain Med.* 2014 Apr;15(4):539-40. doi: 10.1111/pme.12420. PMID: 24716587.

AUTHORS

SScott Powers

Timothy Murithi Mwi

Urlike Bingel