



Che cos'è uno studio di efficienza?

Scott Powers, Timothy Murithi Mwi, and Ulrike Bingel

Gli studi clinici possono essere progettati per testare l'efficacia, cioè se un intervento produce un certo effetto in condizioni ideali, o l'efficienza, cioè se produce un effetto nel mondo reale. Gli studi di efficienza sono spesso indicati come studi pragmatici. Gli studi di efficacia sono chiamati invece studi esplicativi (1-9).

Quali sono le caratteristiche di uno studio di efficienza?

Quando, in uno studio esplicativo, si è determinato che un trattamento è efficace di solito è stato confrontato con un placebo o con un gruppo di controllo. I risultati aiutano a guidare il processo decisionale clinico, ma nella pratica quotidiana c'è una differenza tra le condizioni ideali dello studio di efficacia e le complessità presenti nella pratica sanitaria (p. es., ampia varietà di pazienti che si presentano, differenze geografiche e di comunità, costi e fattori economici, e altro) (1; 6; 9). Gli studi sull'efficienza tentano di colmare questa lacuna nella conoscenza di operatori sanitari, pazienti e di altre parti interessate (famiglie, contribuenti, enti governativi, associazioni di consumatori e pazienti). Questi studi di solito coinvolgono gli operatori sanitari che assistono quotidianamente i pazienti (7; 8). I risultati di uno studio pragmatico spesso sono più generalizzabili ai diversi tipi di paziente tipicamente osservati nelle strutture sanitarie. Gli studi sull'efficienza rappresentano quindi un continuum rispetto agli studi di efficacia (5; 9).

Come viene progettato uno studio di efficienza?

Gli studi di efficienza di solito comportano il confronto di due interventi che hanno efficacia conosciuta. Possono anche mettere a confronto un tipo di intervento con l'assistenza standard. In genere, i partecipanti vengono assegnati in modo casuale a un determinato gruppo di trattamento. I ricercatori dovranno identificare la popolazione di interesse per lo studio e la sua collocazione (nelle strutture sanitarie o in comunità). Prima di progettare un nuovo studio è importante rivedere i risultati e le conclusioni di studi simili condotti in altri contesti, nonché includere le parti interessate (pazienti, famiglie, medici) nel processo decisionale sulla progettazione e l'esecuzione dello studio. Questo processo permette di affinare i quesiti della ricerca (1; 3; 5).

Quando, per una particolare condizione clinica, è stata completata una serie di studi di efficacia e di successivi studi di efficienza, gli operatori sanitari, i pazienti, le famiglie e altre parti interessate possono integrare le evidenze disponibili in modo che le decisioni terapeutiche possano condurre a risultati ottimali. A volte più studi dimostrano un chiaro percorso di trattamento, ma possono esserci anche risultati contrastanti. Solo la ricerca clinica aggiuntiva e l'esperienza del mondo reale possono fornire, infine, maggior chiarezza su quali siano le migliori pratiche cliniche.

Linkografia

<https://rethinkingclinicaltrials.org>

Bibliografia

- 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.
- 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.
- 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.
- 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.
- 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.
- 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.
- 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.
- 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.
- 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.

Traduzione a cura di:

Lorenza Saini, Associazione Italiana per lo Studio del Dolore

Daniele Battelli, EDPM, MD Specialist in Anesthesia, Intensive Care and Pain Medicine, Ospedale di Stato della Repubblica di San Marino

