



¿Que es un estudio de efectividad?

Los ensayos clínicos pueden ser diseñados para probar la **eficacia** (cuando una intervención ofrece un efecto bajo condiciones ideales) o de **efectividad** (cuando una intervención ofrece un efecto bajo condiciones reales,, en el mundo real). Los estudios de efectividad son estudios mucho más pragmáticos, mientras que los de eficacia son denominados como aclaratorios o explicativos. [1-9]

1. ¿Cuáles son las características de un estudio de efectividad?

Cuando se determina que un tratamiento es eficaz en un ensayo explicativo, generalmente se compara con un placebo o con un grupo de control de atención. Los resultados ayudan a guiar la toma de decisiones clínicas, pero en la práctica diaria, existe una diferencia entre las condiciones ideales del ensayo de eficacia y las complejidades presentes en la práctica de atención médica (p. ej., gran variedad de pacientes que se presentan para recibir atención, diferencias geográficas y comunitarias, costos y factores económicos, y más) [1,6,9]. Los estudios de efectividad intentan llenar este vacío en el conocimiento de los proveedores de atención médica, los pacientes y otras partes interesadas (familias, pagadores, agencias gubernamentales, grupos de defensa). Estos ensayos generalmente involucrarán a los proveedores de atención médica que normalmente atienden a los pacientes a diario [7,8]. Los resultados de un ensayo pragmático a menudo son más generalizables a la variedad de pacientes que normalmente se ven en los entornos de atención médica. Por lo tanto, los estudios de efectividad están en un continuo con los estudios de eficacia [5,9].

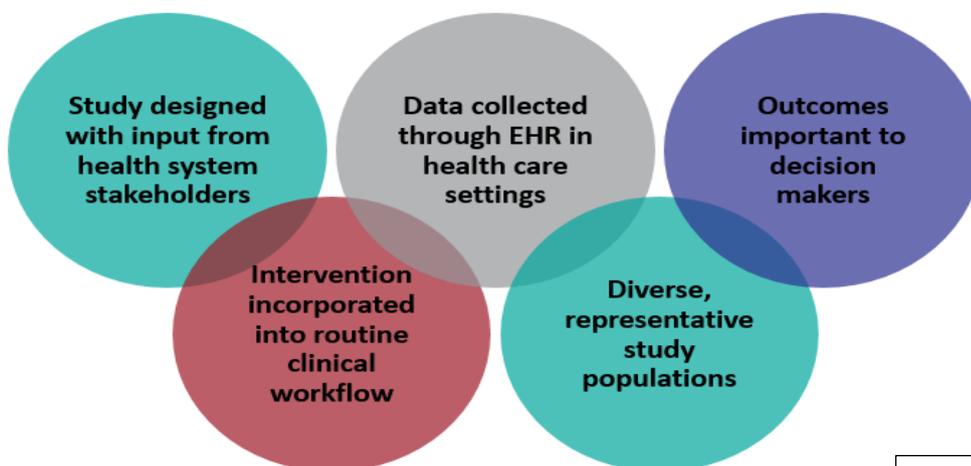
2. ¿Cómo se diseña un estudio de efectividad?

Los estudios de eficacia suelen implicar la comparación de dos intervenciones que han demostrado su eficacia. También pueden comparar una intervención con la atención estándar. Por lo general, los participantes se asignan aleatoriamente a un grupo de tratamiento determinado. Los investigadores deberán identificar la población de estudio de interés y dónde se encontrarán (en los establecimientos de salud o en la comunidad). Antes de diseñar un nuevo estudio, es importante revisar los hallazgos y conclusiones de estudios similares realizados en otros sitios, así como incluir a las partes interesadas (pacientes, familias, médicos) en la toma de decisiones sobre el diseño y la ejecución del estudio. Esto refina la(s) pregunta(s) de investigación [1,3,5].

Cuando se han completado una serie de ensayos de eficacia y ensayos de efectividad posteriores para una condición clínica particular, los proveedores de atención médica, los pacientes y las familias y otras partes interesadas pueden incorporar la evidencia disponible para que las decisiones de tratamiento puedan conducir a resultados óptimos. A veces, varios estudios demuestran una vía de tratamiento clara, pero también puede



haber resultados mixtos. Solo la investigación clínica adicional y la experiencia en el mundo real de la atención clínica pueden conducir eventualmente a una mayor claridad sobre las mejores prácticas clínicas.



<https://rethinkingclinicaltrials.org>

Bibliografía

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. Hedding 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.

Traducción

Manuel Jolín M.D., Alex Barroso PhD.

Hospital Regional Universitario de Málaga. Spain.