



FACT SHEETS

# What is an Effectiveness Study? 有効性研究とは何か？

2022 痛みの知識を実践に生かす

GLOBAL YEAR

臨床試験は、効力 Efficacy(介入が、理想的な条件下で効果をもたらすかどうか)または有効性 Effectiveness(介入が、現実の世界で効果をもたらすかどうか)を検証するために設計される。有効性の研究は、実用性試験と呼ばれることがよくある。効力の研究は説明的試験と呼ばれる。[1 – 9]

## 有効性研究の特徴は何か？

説明的試験である治療が有効であると判断された場合、通常、プラセボ治療群または考慮すべき対照治療群と比較される。試験の結果は臨床的意思決定を導くのに役立つが、日常の診療では、効力試験の理想的な条件と診療状況の間に存在する複雑さ(例えば、ケアのために提示する多種多様な患者、地理的および地域社会の違い、費用および経済的要因など)が異なる[1; 6; 9]。有効性研究は、医療者、患者、およびその他の利害関係者(家族、支払者、政府機関、擁護団体)における、知見のこのような解離を埋めるために行われる。これらの試験には通常、日常的に患者の診察をする医療者が関与する[7; 8]。実用性試験の結果は、多くの場合、医療現場で一般的な様々な患者に一般化できる。したがって、有効性研究は、効力研究と一連の関連をもって行われる[5; 9]。

## 有効性研究はどのようにデザインされているか？

有効性研究は通常、効力を確立した 2 つの介入の比較を含む。また、介入を標準的なケアと比較することもできる。通常、参加者は特定の治療群に無作為に割り当てられる。研究者は、関心のある研究対象集団とそれらが存在する場所(医療施設または地域社会)を特定する必要がある。新しい研究を設計する前に、他機関で実施された同様の研究の結果と結論を確認し、研究のデザインとその実施に関する意思決定における利害関係者(患者、家族、診療医)を含めることが重要である。これにより、研究の課題が洗練される[1; 3; 5]。

特定の臨床的な病態について多数の効力試験とその後の有効性試験が完了すると、医療者、患者と家族、およびその他の利害関係者は、治療の意思決定が最適な結果につながるように利用可能なエビデンスを組み込むことができる。複数の研究から明確な治療方針が示されることもあるが、研究結果が様々に異なることもある。臨床ケアにかんする現実世界での追加の臨床研究と経験だけが、最終的には最良の臨床の実践をより明確にすることができる。

<https://rethinkingclinicaltrials.org>

## REFERENCES

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.

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.

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.

## Translation

Mizuho Sumitani, MD

Department of Pain and Palliative Medicine, The University of Tokyo Hospital, Tokyo, Japan

Masahiko Sumitani, MD, PhD

Department of Pain and Palliative Medicine, The University of Tokyo Hospital, Tokyo, Japan

Department of Pain and Palliative Medical Sciences, Faculty of Medicine, The University of Tokyo, Tokyo, Japan