



## Mit Nevezünk Hatásossági Vizsgálatnak?

A klinikai vizsgálatok tervezhetők a hatékonyság („efficacy”) (egy beavatkozás ideális körülmények között kifejti-e hatását) vagy a hatásosság („effectiveness”) (egy beavatkozás a valóságban kifejti-e hatását) vizsgálatára. A hatásossági vizsgálatokat gyakran pragmatikus vizsgálatoknak nevezik. A hatékonysági vizsgálatokat magyarázó vizsgálatoknak nevezik. <sup>[1-9]</sup>

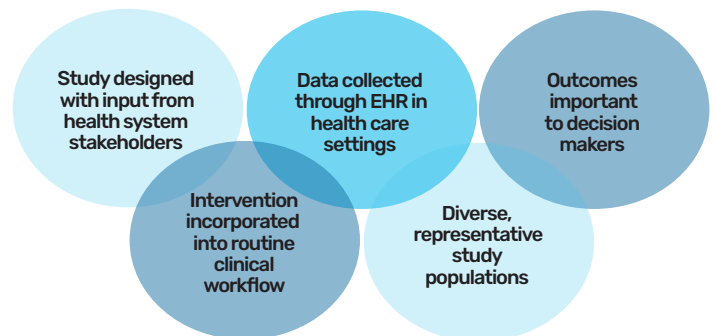
### Melyek a hatásossági vizsgálatok jellemzői?

Amikor egy hatékonysági vizsgálatban megállapítják, hogy egy kezelés hatásos, azt általában placebóval vagy figyelem-kontrollcsoporttal hasonlítják össze. Az eredmények segítik a klinikai döntéshozatalt, de a mindennapi gyakorlatban különbség van a hatékonysági vizsgálat ideális körülményei és az egészségügyi gyakorlatban jelen lévő összetett körülmények között (pl. az ellátásra jelentkező betegek széles skálája, földrajzi és társadalmi különbségek, valamint a költségek és gazdasági tényezők stb.) <sup>[1; 6; 9]</sup>. A hatásossági vizsgálatok ezt az ismerethiányt próbálják pótolni az egészségügyi szolgáltatók, a betegek és más érdekelt felek (családok, egészségbiztosítók, kormányzati szervek, érdekvédelmi csoportok) számára. Ezekbe a vizsgálatokba általában azokat az egészségügyi szolgáltatókat vonják be, akik napi szinten ellájtják a betegeket <sup>[7; 8]</sup>. A pragmatikus (hatásossági) vizsgálatok eredményei általában jobban általánosíthatók az egészségügyi intézményekben ellátott betegek sokféleségére. A hatásossági vizsgálatok ezért a hatékonysági vizsgálatokkal egy kontinuumban vannak <sup>[5; 9]</sup>.

### Hogyan tervezik meg a hatásossági vizsgálatot?

A hatásossági vizsgálatok általában két olyan beavatkozást hasonlítanak össze, amelyek hatékonysága bizonyított. Egy beavatkozást a standard ellátással is összehasonlíthatnak. A résztvevőket általában véletlenszerűen osztják be egy adott kezelési csoportba. A kutatóknak meg kell határozniuk az érdeklődésre számot tartó vizsgált populációt és azt, hol találják meg őket (egészségügyi

intézményekben vagy a közösségben). Egy új vizsgálat megtervezése előtt fontos áttekinteni a más helyszínen végzett hasonló vizsgálatok eredményeit és következtetéseit, valamint az érintetteket (betegek, családok, klinikusok) be kell vonni a vizsgálat tervezésével és végrehajtásával kapcsolatos döntéshozatalba. Ez a kutatási kérdéseket pontosítja <sup>[1; 3; 5]</sup>.



Ha egy adott klinikai állapotra vonatkozó hatékonysági vizsgálatokat és az azt követő hatásossági vizsgálatot befejezték, az egészségügyi szolgáltatók, a betegek és a családtagok, valamint más érdekelt felek beépíthetik a rendelkezésre álló bizonyítékokat, s így a kezelési döntések optimalizálhatók. Néha több vizsgálat is bizonyítja az egyértelmű kezelési utat, de előfordulhatnak vegyes eredmények is. Csak további klinikai kutatások és a klinikai ellátás tényleges világában szerzett tapasztalatok vezethetnek végül a legjobb klinikai gyakorlatok tisztázásához.

Fordította dr. Dumele Andreea

## Referenciák

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, Wajee 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.