



Eficacia y efectividad: una distinción útil para la práctica y la investigación clínicas

J. L. Conde

Sección de Nefrología. Hospital Virgen de la Salud. Complejo Hospitalario de Toledo.

EFICACIA Y EFECTIVIDAD: DOS CONCEPTOS ÚTILMENTE DIFERENTES

La creciente y a menudo inapropiada utilización de términos y conceptos de uso habitual en la literatura del mundo de la gestión y la epidemiología, justifica que en las líneas que siguen se intente clarificar el contenido conceptual a que aluden dos términos distintos tan aparentemente próximos como son *eficacia* y *efectividad*.

Cuanto antes, se habrá de convenir que para hacer tal ejercicio se asume la traducción de los términos ingleses *efficacy* y *effectiveness* utilizados en los ámbitos de investigación epidemiológica. Ello es obligado, porque el significado lingüísticamente ortodoxo de dichos términos en español y en inglés no técnico, no se corresponde con el que les atribuyen los epidemiológicos.

Por lo que al inglés se refiere, los términos *efficacy*-*efficacious* y *effectiveness*-*effective* son prácticamente sinónimos de acuerdo con el Oxford Advanced Learner's Dictionary¹ y aluden a la cualidad de «producir el efecto deseado».

En español *eficacia* es «virtud, actividad, fuerza y poder para obrar»² que como se ve no se refiere a la consecución de efectos deseados. *Efectivo*, es en su primera acepción³ «lo real y verdadero en oposición a lo quimérico, dudoso o nominal».

En investigación epidemiológica, se entiende por *eficacia*, *aquella virtud o cualidad de una intervención que la hace capaz de producir el efecto deseado cuando se aplica en condiciones ideales*⁴.

Frente a este significado se situaría el de *efectividad* que alude a la *capacidad de una intervención de producir el efecto deseado en condiciones reales o habituales*⁴. Tal como más arriba se mencionó, puede apreciarse un cierto parentesco entre este sig-

nificado y el que corresponde ortodoxamente al término español «efectivo».

La diferenciación propuesta no deja de ser una convención aceptada y entendida por el mundo de la epidemiología y de la investigación de servicios y tecnologías de la salud; muchos menos por otros profesionales y público general. De hecho uno y otro término son usados indistintamente aún en mucha literatura médica actual.

Sin embargo, su existencia y aplicación resulta de utilidad práctica y operativa. Configura un marco conceptual que facilita el abordaje sistemático y la comprensión mutua en un área tan vasta y compleja como la de la investigación de resultados de la actividad médico-sanitaria.

EFICACIA

La medida de *eficacia* de una intervención diagnóstica, preventiva o terapéutica implica el análisis del resultado obtenido, cuando ésta se aplica en condiciones ideales. Ello supone cumplir dos criterios mayores:

— Excelencia en su ejecución técnica. Implica la perfecta capacitación técnica del profesional que la utiliza, su aplicación bajo protocolo estricto, y sobre todo la garantía de que el paciente la está recibiendo *realmente* (i. e. toma de una medicación). De hecho algunos investigadores establecen aquí el punto crucial de diferencia entre *eficacia* y *efectividad*⁵, al decir que en el primer caso la intervención se aplica y en el segundo se ofrece.

— Utilización en grupos de pacientes con criterios estrictos de inclusión y exclusión, habitualmente relativos a edad, sexo, etnia y ausencia de elementos interferentes o confundidores como comorbilidades o uso simultáneo de otras intervenciones.

Bajo esas condiciones, suele suceder que el análisis de la *eficacia* se asocia al método científico de carácter deductivo o experimental, concretamente a los ensayos clínicos controlados y aleatorizados (ECCAs), aunque conceptualmente tal asociación no sea obligada y necesaria, ya que en teoría se podría aplicar

Correspondencia: José Luis Conde Olasagasti
Servicio de Nefrología
Hospital Virgen de la Salud
Avda. de Barber, 30
45004 Toledo
E-mail: jemde@cht.insalud.es

una intervención en condiciones ideales sin que ello tuviera que ser necesariamente un experimento.

EFFECTIVIDAD

La medida de efectividad de una intervención pretende conocer el resultado alcanzado por la misma en condiciones habituales de uso. Las condiciones ideales mencionadas en el caso del análisis de eficacia, no están garantizadas. Aunque tal medida puede realizarse mediante un experimento, los estudios de efectividad por su propia naturaleza están relacionados con el método inductivo u observacional. De hecho si el estudio pretende ser un experimento, las condiciones en que éste se realice habrán de ser lo más parecidas posible a las que se dan en el ejercicio de la práctica médica habitual. Algunos autores⁶ refiriéndose al ámbito de los ensayos clínicos denominan *explanatory trials* a los primeros (ensayos de eficacia) y *pragmatic trials* a los segundos (ensayos de efectividad).

Al situarnos en la «vida real» no es seguro que quienes estén aplicando la intervención hayan seleccionado estrictamente a sus pacientes. Mucho más incierta aún es la garantía de uso en condiciones de excelencia técnica (capacitación, seguimiento de protocolo, toma disciplinada de medicación). No es por tanto probable que la intervención o tecnología esté siendo usada en las condiciones bajo las cuales pudo haber demostrado su eficacia. En esas mismas debilidades radica sin embargo su virtud: *ofrece la imagen del resultado en la realidad*. No es quimera, utopía o nominalismo (recuérdese aquí el significado lingüísticamente ortodoxo del Diccionario de la Real Academia Española).

Así pues la tipología de estudios dirigidos a conocer resultados puede imaginarse como un continuo, en el que la medida del efecto de una intervención sanitaria puede hacerse en un extremo (eficacia) a través de la realización de un experimento muy riguroso, y en el otro (efectividad), analizando los resultados que acaecen espontáneamente recogidos de modo rutinario en registros epidemiológicos generales o específicos.

Entre uno y otro extremo estarían los estudios observacionales analíticos (cohortes con concurrentes, casos y controles) mas cerca del ECCA, y los estudios observacionales descriptivos (mas cerca de los registros epidemiológicos).

Investigadores y usuarios de la información proporcionada por los estudios, diseñarán o utilizarán una u otra clase de ellos en función de la pregunta de interés que se pretenda contestar o aplicar para decisiones clínicas o gestoras.

FINALIDAD DE LOS ESTUDIOS Y APLICABILIDAD DE SUS RESULTADOS

Con carácter general los estudios clínicos y clínico-epidemiológico pueden caracterizarse y clasificarse de acuerdo con su finalidad en tres grandes categorías:

a) Análisis de factibilidad (viabilidad)

En este caso se suele pretender conocer la seguridad y eficacia técnica (funcionalidad) de una intervención. Suele ser suficiente la medida de resultado intermedio, el corto plazo y un diseño sencillo de carácter prospectivo tal como un ensayo o serie no controlados, en condiciones de eficacia, con pacientes muy seleccionados (p. ej. los estudios sobre prótesis y dispositivos exigidos para marca CE).

b) Establecimiento de relaciones causa-efecto y medida de la magnitud de éste.

Cuestión más compleja es tratar de establecer relaciones de causalidad entre una intervención y su efecto y medir la magnitud de éste. Si se intenta elucidar las interferencias atribuibles a una incorrecta aplicación de la técnica, a la presencia de comorbilidades o uso simultáneo de otras intervenciones se deberá realizar un estudio de eficacia. El paradigma es el ECCA cuyo poder explicativo estará en relación con la robustez del diseño y el tamaño muestral. Si el experimento está bien diseñado y ejecutado tendrá validez interna y debería producir los mismo resultados tantas veces se repita en las mismas condiciones. No obstante su resultado puede no ser generalizable si las condiciones de aplicación de la intervención y/o los pacientes que la reciben son diferentes a las/los del ECCA.

c) Análisis de funcionamiento y resultados en práctica clínica habitual

Con independencia del resultado obtenido en los ECCAs, tiene gran interés conocer cual es el efecto de una intervención analizada mediante estudios observacionales en los que las características de los pacientes, y los niveles de adhesión al tratamiento o excelencia técnica son los que corresponden a la práctica clínica habitual.

Si además se pretende explorar causalidad y dimensión de efecto, habrán de ser controlados, o sea la observación deberá incluir a pacientes no tratados (o tratados con la intervención alternativa).

Del resultado de la observación no podrá establecerse con seguridad el grado de relación causal entre la intervención y su efecto en términos fisiopatológicos. Un insuficiente control de la tensión arterial y/o escaso efecto en morbi-mortalidad cardiovascular no deberá atribuirse a ineficacia de medicación antihipertensiva pudiendo deberse a falta de cumplimiento del tratamiento o a prácticas no saludables⁷. *Sin embargo el efecto observado nos muestra la medida del efecto en la vida real.*

Más allá de objetivos de carácter «científico», el conocimiento de lo que realmente sucede en la práctica clínica tiene un interés sanitario y social importantísimo. En este sentido los registros epidemiológicos o cohortes simples de casos que recojan resultados alcanzados (*outcomes*) en pacientes sometidos a diferentes alternativas terapéuticas, medidos estos en unidades sencillas (mortalidad, aparición de complicaciones, capacidad funcional) se configuran como fuentes de información para análisis de efectividad extraordinariamente útiles en intervenciones de alta prevalencia en las que además el resultado a largo plazo sea particularmente relevante, tales como prótesis de cadera⁸, cirugía coronaria⁹ o terapia sustitutiva en insuficiencia renal terminal¹⁰.

LAS ESCALAS DE CALIDAD DE EVIDENCIA CIENTÍFICA: EL PELIGRO DE LA EVIDENCIOLATRÍA

En los últimos años estamos viviendo una saludable obsesión en fundamentar la práctica médica en la mejor evidencia científica¹¹. Ello ha conducido al profuso uso y frecuente abuso de las llamadas *tablas o escalas de niveles de calidad de la evidencia científica*¹²⁻¹⁴, que deifican a los ECCAs. Tales abusos, ajenos a la voluntad de los autores de las mencionadas tablas, están en relación con el olvido de la trascendencia de los conceptos de eficacia y efectividad en la práctica clínica y su organización y planificación.

La fortaleza *científica* de una evidencia tiene que ver con el rigor metodológico con que se estudió la relación causa-efecto de una intervención. Es por ello que los estudios de nivel más alto en ese tipo de escalas son los ECCAs de muestra amplia. Ello sin embargo, no quiere decir que el traslado mecánico a la práctica de esa intervención, vaya a producir los mismos efectos. El resultado dependerá del grado de semejanza de los pacientes (edad, comorbilidad) e intervención (dosis, medicaciones asociadas, adherencia, controles) reales con los/las del ensayo. La práctica diaria nos muestra como intervenciones «basadas en evidencias nivel I»¹⁵, producen efectos terapéuticos pobres (cuando no directa yatrogenia), por aplicarse a

pacientes distintos y/o en condiciones diferentes a las del ensayo en que la «evidencia» se fundamenta.

Por otra parte, estudios recientes^{16,17} muestran que frente a lo sostenido por algunos fundamentalistas del movimiento de la Medicina Basada en la Evidencia (MBE)¹⁸ la estimación del efecto de intervenciones en salud obtenida a través de estudios observacionales comparativos (controlados), puede ser tan válida como la que proporcionan ECCAs. Los estudios mencionados demuestran una alta consistencia entre resultados de ECCAs y estudios observacionales controlados para un amplio panel de intervenciones. La tesis de sus autores (y el sentido clínico juicioso, no siempre común), apunta a que la fortaleza de los estudios comparativos observacionales se fundamenta en una adecuada elección de pacientes e intervenciones control que convierta los pacientes y tecnologías analizadas en elementos realmente comparables. Sesgos o carencias en este campo pueden explicar la discrepancia, y de ello hay algún ejemplo reciente¹⁹ (quimioterapia intensiva más trasplante de *stem cells*, frente a quimioterapia convencional), entre un aparente «éxito» de ciertas intervenciones en el ámbito observacional que posteriormente no es confirmado en un ensayo bien diseñado.

En otro orden de cosas, a veces sucede que se desea conocer el efecto de una intervención en un plazo tal que el ensayo clínico no es posible, y de hecho no existe para intervenciones muy establecidas. En estas circunstancias, un buen registro (exhaustivo, prospectivo, relevante) de casos y resultados puede proporcionar la mejor información sobre efectividad. De hecho algunas experiencias prueban que iniciativas de creación y mantenimiento de ciertos registros como la llevada a cabo en Suecia en los últimos años²⁰ han proporcionado el mejor conocimiento disponible sobre la efectividad de algunas intervenciones o tecnologías, especialmente en el largo plazo.

Así pues la información proporcionada por los estudios observacionales puede ser concordante, discordante o simplemente sustitutiva de la ofrecida por los ECCAs. El que aceptemos unos u otros a la hora de la toma de decisiones dependerá más de la naturaleza de la pregunta planteada de la mayor o menor elegancia metodológica de los estudios posibles. La mejor evidencia disponible para decidir la generalización (o reconsideración) de una intervención puede no ser un ECCA realizado en condiciones de eficacia (y durante espacios de tiempo limitados), siendo en este caso recomendable iniciar (o continuar) su uso bajo protocolo, supervisión y registro observacional a fin de verificar el grado de efectividad de la tecnología en cuestión. La dificultad o inviabilidad de ECCAs no debe hacernos renunciar a la observación y el método inductivo (que también es científico).

BIBLIOGRAFÍA

1. AP Cowie Oxford Advanced Learner's Dictionary Oxford University Press.
2. Real Academia Española Diccionario de la Lengua Española. Madrid: Espasa Calpe. p. 792. 1992.
3. Real Academia Española Diccionario de la Lengua Española. Madrid: Espasa Calpe. p. 791. 1992.
4. Salt JM: A Dictionary of epidemiology. Oxford University New York. 1988.
5. Fletcher RH, Fletcher SW, Wagner EH: Clinical Epidemiology: the essentials, 3rd edn. Baltimore, MD: Williams & Wilkins, 1996.
6. Jadad A: Randomised Controlled Trials. BMJ Books. London, 1998.
7. Whisnant JP: Effectiveness versus efficacy of treatment of hypertension for stroke prevention. *Neurology* 46: 301-307, 1996.
8. Fitzpatrick R, Shortall E, Sculpher M, Murray D, Morris R, Lodge M, Dawson J, Carr A, Britton A, Briggs A: Primary total hip replacement surgery: a systematic review of outcomes and modelling of cost-effectiveness associated with different prostheses. *Health Technology Assessment*, Vol. 2; M No. 20, 1998.
9. Marrugat J, Sala J: Registros de morbi-mortalidad en cardiología: metodología. *Rev Es. Cardiol* 50: 48-57, 1997.
10. U.S. Renal Data System, USRDS 2001 Annual Data Report: Atlas of end-stage renal disease in the United States, National Institutes of Health, National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases, Bethesda, MD, 2001.
11. Sackett DL: Rules of evidence and clinical recommendations on the use of antithrombotic agents. *Chest* 1989; 95 (Supl.): 2-3.
12. US Preventive Task Force. Guide to clinical preventive services; an assessment of the effectiveness of 169 interventions. Baltimore: Williams and Wilkins, 1998.
13. Bertram DA, Flynn K, Alligood E: Endovascular placed grafts for intrarenal abdominal aortic aneurysm: a systematic review of published studies of effectiveness. Boston, Health services research & development service, veteran affairs medical center. Technology Assessment Program Report n° 9, 1998.
14. Jovell AJ, Navarro-Rubio MD: Evaluación de la evidencia científica. *Med Cli (Barc)* 105: 740-43, 1995.
15. Pitt B, Zannad F, Remme WJ, Cody R, Castaigne A, Pérez A, Palensky J, Wittes J: The randomized aldactone evaluation study investigato the effect of spironolactone on morbidity and mortality in patients with severe heart failure. *N Engl J Med* 341: 709-717, 1999.
16. Britton A, McPherson K, McKee M, Sanderson C, Black N, Bain C: Choosing between randomised and non-randomised studies: a systematic review. *Health Technol Assess* 2(13): I-IV, 1-124, 1998.
17. Kjell Benson, BA, Hartz AJ, Md, Ph D: A comparison of observational studies and randomised controlled trials. *N Engl J Med* 342: 1878-86, 2000.
18. Sackett DL, Richardson WS, Rosenberg W, Haynes RB: Evidence-based medicine: how to practice and teach EBM. New York: Churchill Livingstone, 1997.
19. Stadtmauer EA, O'Neill A, Goldstein L, Crilley PA, Mangan KF, Ingle JN, Brodsky I, Martino S, Lazarus HM, Erban JK, Sickles C, Glick JH: The philadelphia bone marrows transplant group conventional-dose chemotherapy compared with high-dose chemotherapy plus autologous hematopoietic stem-cell transplantation for metastatic breast cancer *N Engl J Med* vol 342, n° 15, 2000.

N	O	T	I	C	I	A	S
E	F	R	O	L	O	G	I
A	 <p style="text-align: center;"> LA BIBLIOTECA NACIONAL DE CIENCIAS DE LA SALUD CERTIFICA Que la Revista "Nefrología", ha sido admitida por el Comité Técnico para su inclusión en el Índice Bibliográfico Español en Ciencias de la Salud (IBECS). LA SUBDIRECTORA GENERAL DE PLANEACIÓN Y COORDINACIÓN DOCENTE: Fdo. Neely García-López Domínguez EL DIRECTOR DE LA BIBLIOTECA NACIONAL DE CIENCIAS DE LA SALUD: Fdo. José María Cabo </p> <p style="text-align: center;">  Instituto de Salud Carlos III </p>						