

Determinação do valor dos resultados dos ensaios clínicos

Introdução

Nem todos os ensaios clínicos são iguais. Para determinar a importância dos resultados dos ensaios clínicos, vale a pena formular algumas perguntas chave:

Em que medida o desenho do ensaio é adequado?

Não existe um único desenho correto para um ensaio clínico. Trata-se mais de uma questão relacionada com a idoneidade do desenho de acordo com as circunstâncias. Embora os ensaios de grandes dimensões sejam em geral mais fiáveis do que os ensaios de dimensões reduzidas, isto deve ser interpretado com senso comum. Por exemplo, no caso de um ensaio sobre uma deficiência enzimática hereditária rara, nunca será possível incluir 5000 doentes, o que ocorre frequentemente nos ensaios com medicamentos para o enfarte do miocárdio. Da mesma forma, um período de acompanhamento de várias semanas é adequado para um ensaio sobre pneumonia, mas seria inadequado para uma pílula contraceptiva. Embora os grupos de controlo com placebo sejam muito úteis para a interpretação dos resultados, são sem dúvida pouco éticos em determinadas situações (por exemplo, em doenças potencialmente fatais para as quais existem tratamentos eficazes). Embora os ensaios comparativos sejam o melhor método para avaliar a eficácia, os ensaios abertos de maior dimensão e duração proporcionam mais informação sobre a segurança de um medicamento na prática real.

O desenho de cada ensaio deve ser abordado através da pergunta: “Qual é o melhor método de acordo com as circunstâncias?”.

A população de doentes estudada corresponde à população de interesse?

A informação de um ensaio realizado em adultos de idades compreendidas entre os 18 e os 65 anos pode ter uma relevância limitada para os doentes muito idosos e será, quase sem dúvida, inadequada para determinar o tratamento correto para os lactantes. Da mesma forma, as pessoas com uma doença grave ou em estado muito avançado podem responder de forma muito diferente comparativamente às pessoas com uma doença de menor gravidade ou numa fase mais inicial.

Qual é a relevância dos parâmetros de avaliação?

Algumas doenças e sintomas podem ser investigadas mais facilmente do que outros num ensaio clínico. Se um novo medicamento contra o cancro aumenta a mediana de sobrevivência num ano, sem dúvida que se trata de um medicamento relevante. Um novo analgésico para tratar os mesmos doentes é muito mais difícil de avaliar uma vez que não existem “unidades de dor padrão”. Mais uma vez, a única opção é questionar se a abordagem é adequado às circunstâncias.

Os efeitos do medicamento são benéficos do ponto de vista

clínico?

Em geral, quanto maior for o efeito do medicamento, melhor é a resposta. Todos os medicamentos implicam um custo em termos de despesa e de efeitos secundários. O objetivo é conseguir o maior benefício possível a partir destes custos. No entanto, vale a pena lembrar que um resultado modesto em geral pode supor uma melhoria considerável para alguns doentes e nenhuma alteração para outros doentes. Se a investigação adicional permitir a identificação do subgrupo que pode responder especialmente bem, é possível que o novo medicamento tenha muito a oferecer a esta população alvo.

Como os resultados do ensaio clínico se adaptam ao padrão de conhecimentos prévios?

É bastante incomum que um ensaio clínico seja a única informação disponível numa determinada área da medicina. Quando tal acontece, normalmente representa a primeira utilização de uma abordagem totalmente inovadora e a única opção é anotar os resultados com interesse e esperar que os ensaios posteriores sustentem os dados. Com muita maior frequência, existem ensaios prévios realizados com o mesmo medicamento ou da mesma classe para a mesma doença ou para doenças relacionadas. Os resultados dos novos ensaios clínicos podem então ser analisados na perspetiva do conjunto dos conhecimentos anteriores. Os resultados que concordarem com os dados conhecidos são mais fáceis de aceitar do que os que contradizem diretamente os resultados anteriores. No entanto, é importante manter uma mente aberta.