

Determinación del valor de los resultados de los ensayos clínicos

Introducción

No todos los ensayos clínicos son iguales. Para determinar la importancia de los resultados de los ensayos clínicos, es de utilidad plantear una serie de preguntas.

¿En qué medida es adecuado el diseño del ensayo?

No hay un solo diseño correcto para un ensayo clínico. Se trata más bien de una cuestión relacionada con la idoneidad del diseño según las circunstancias. Aunque los ensayos de grandes dimensiones son en general más fiables que los ensayos de dimensiones reducidas, esto se debe interpretar con sentido común. Por ejemplo, en el caso de un ensayo sobre una enzimopatía hereditaria rara, no es posible incluir a 5000 pacientes, lo que sí ocurre con frecuencia en los ensayos con fármacos para el infarto de miocardio. De forma similar, un periodo de seguimiento de unas cuantas semanas es adecuado para un ensayo sobre la neumonía, pero sería inadecuado para un anticonceptivo oral. Aunque los grupos de referencia de placebo son muy útiles para la interpretación de los resultados, son sin duda poco éticos en determinadas situaciones (por ejemplo, enfermedades potencialmente mortales para las que hay tratamientos eficaces). Aunque los ensayos comparativos son el mejor método para evaluar la eficacia, los ensayos abiertos de dimensiones y duración mayores proporcionan más información sobre la seguridad de un fármaco en la práctica.

El diseño de cada ensayo se debe abordar mediante esta pregunta: «¿cuál es el mejor método según las circunstancias?».

¿Se corresponde la población de pacientes estudiada con la población de interés?

La información de un ensayo realizado con adultos de edades comprendidas entre los 18 y los 65 años puede tener una relevancia limitada para los pacientes muy ancianos y es sin duda inadecuada para determinar el tratamiento correcto en el caso de los lactantes. De forma similar, las personas con una enfermedad grave o muy avanzada pueden responder de forma muy distinta en comparación con las personas con una enfermedad de menor gravedad o en una fase más temprana.

¿Cuál es la relevancia de los criterios de valoración?

Algunas enfermedades y síntomas se pueden investigar con más facilidad que otros en un ensayo clínico. Si un fármaco nuevo contra el cáncer aumenta la mediana de supervivencia un año, sin duda se trata de una medición relevante. Un analgésico nuevo para tratar a los mismos pacientes es mucho más difícil de evaluar dado que no hay «unidades de dolor estándar». De nuevo, la única opción es preguntarse si el método es adecuado para las circunstancias.

¿Son los efectos del fármaco beneficiosos desde el punto de

vista clínico?

En general, cuanto mayor es el efecto del fármaco, mejor es la respuesta. Todos los medicamentos implican un coste en relación con el desembolso y los efectos secundarios. El objetivo es lograr el mayor beneficio posible a cambio de estos costes. No obstante, cabe recordar que un resultado modesto en general puede suponer una mejoría considerable para algunos pacientes y no implicar ningún cambio para otros pacientes. Si la investigación adicional permite la identificación del subgrupo que puede responder especialmente bien, es posible que el nuevo fármaco tenga mucho que ofrecer a esta población de destino.

¿Cómo se adaptan los resultados del ensayo clínico al patrón de conocimientos previos?

Es bastante inusual que un ensayo clínico sea la única información disponible en un campo determinado de la medicina. Cuando esto ocurre, suele representar el primer uso de un enfoque totalmente novedoso y la única opción es tomar nota de los resultados con interés y esperar que los ensayos posteriores sustenten los datos. Con mucha más frecuencia, hay ensayos previos realizados con el mismo fármaco o uno de la misma clase para la misma enfermedad o para enfermedades relacionadas. Los nuevos resultados de los ensayos clínicos se pueden analizar desde la perspectiva del conjunto de conocimientos anteriores. Los resultados que concuerdan con los datos conocidos son más fáciles de aceptar que los que contradicen directamente los resultados anteriores. Sin embargo, es importante no tener ideas preconcebidas.