

# Estimarea rezultatelor clinice

# valorii studiilor

## Introducere

Nu toate studiile clinice sunt egale. Pentru a decide ce valoare trebuie acordată rezultatelor studiilor clinice, este necesar să punem câteva întrebări esențiale:

## Cât de bine a fost proiectat studiul?

Nu există un singur model corect pentru studiile clinice; întrebarea este dacă structura utilizată a fost adecvată pentru circumstanțele respective. Deși studiile de mare anvergură sunt, în general, mai fiabile decât cele mai restrânse, rezultatele trebuie interpretate pentru fiecare caz în parte. De exemplu, un studiu privind o deficiență enzimatică genetică rară nu va putea asigura participarea a 5000 de pacienți, așa cum se întâmplă frecvent în cazul medicamentelor de prevenire a infarctului. De asemenea, o perioadă de monitorizare de câteva săptămâni este perfect adecvată pentru un studiu privind pneumonia, însă nu ar fi adecvată pentru o pilulă contraceptivă. Deși grupurile de control care primesc placebo sunt foarte utile pentru interpretarea rezultatelor, utilizarea acestora este în mod clar imorală în anumite situații (de exemplu în cazul bolilor mortale pentru care există deja tratamente). Deși studiile comparative sunt cea mai bună metodă de evaluare a eficacității, studiile clinice deschise (cu tratament dezvăluit) de mare anvergură și de lungă durată pot oferi mai multe informații privind siguranța medicamentelor în condiții

reale de utilizare.

Structura fiecărui studiu trebuie abordată prin prisma următoarei întrebări: „Este acesta cel mai bun mod de lucru în circumstanțele date?”.

## **Populația de pacienți studiată corespunde celei care mă interesează?**

Informațiile dintr-un studiu desfășurat asupra adulților cu vârsta între 18 și 65 de ani pot avea o relevanță limitată pentru pacienții cu vârste înaintate și vor fi, cu siguranță, inadecvate pentru tratamentul bebelușilor. De asemenea, persoanele cu boli grave sau în stadii foarte avansate pot reacționa diferit față de persoanele cu boli mai ușoare sau în stadii incipiente.

## **Cât de relevante sunt obiectivele finale?**

Unele boli și simptome pot fi studiate mai ușor în cadrul unor studii clinice. Dacă un nou medicament pentru cancer sporește rata mediană de supraviețuire cu un an, nu pot exista dubii privind relevanța acestei măsurători. Un nou calmant utilizat pentru a trata aceiași pacienți poate fi mult mai dificil de evaluat, deoarece nu există unități standard de măsură pentru durere clar definite. Tot ce putem face este să ne întrebăm dacă abordarea aleasă este adecvată în circumstanțele date.

## **Efectele medicamentului au valoare clinică?**

În general, cu cât efectele unui medicament sunt mai

pronunțate, cu atât este mai bine. Toate medicamentele implică, însă, costuri – atât financiare, cât și cele aferente efectelor secundare. Obiectivul este de a găsi cel mai mare beneficiu posibil pentru costurile respective. Este necesar să ne amintim, însă, că este posibil ca un rezultat modest la nivel general poate implica îmbunătățiri importante pentru anumiți pacienți și lipsa oricăror schimbări pentru alții. Dacă cercetările ulterioare pot permite identificarea subgrupului care prezintă probabilitatea de a reacționa foarte bine la medicamentul respectiv, atunci acesta ar putea fi utilizat cu succes în rândul populației țintă respective.

## **Cum se încadrează rezultatele studiilor clinice în tiparul cunoștințelor obținute anterior?**

Este foarte neobișnuit ca un studiu clinic să reprezinte singura sursă de informații disponibile dintr-un anumit domeniu al medicinei. Atunci când se întâmplă acest lucru, este vorba, de obicei, despre prima utilizare a unei abordări noi și radicale a tratamentului; în aceste situații, este preferabil să reținem rezultatele și să așteptăm pentru a vedea dacă acestea sunt susținute și de studiile ulterioare. Mult mai frecvent, însă, există deja studii anterioare, efectuate cu același medicament sau medicamente din aceeași clasă asupra aceleiași boli sau asupra unor boli înrudite. În acest caz, rezultatele unui nou studiu clinic pot fi analizate în lumina cunoștințelor obținute anterior. Descoperirile care corespund informațiilor deja cunoscute sunt, în general, mai ușor de acceptat decât cele care contrazic în mod clar rezultatele anterioare. Este, însă, important să judecăm obiectiv.