

# Interpretarea critică a rezultatelor studiilor clinice

## Introducere

Rezultatele unui studiu clinic includ toate datele, măsurătorile și analizele statistice generate pe parcursul studiului clinic respectiv. Acestea includ o descriere a populației studiate, datele de referință, măsurătorile care reflectă efectul tratamentului asupra participanților și efectele adverse suferite de participanții la studiu. Rezultatele și analizele studiilor clinice sunt publicate pe diferite canale, în special prin intermediul conferințelor științifice și al jurnalelor medicale.

Cititorii trebuie să efectueze o lectură critică a rezultatelor studiilor clinice, în special pentru a evalua soliditatea dovezilor prezentate și pentru a identifica orice posibile surse de eroare din publicație. Cititorii trebuie să ia în considerare informațiile relevante provenite din cele mai bune surse disponibile. Un cititor poate efectua căutări în literatura științifică pentru a identifica articolele relevante folosind instrumentele disponibile – de exemplu, PubMed. Cititorul poate lua în considerare, de asemenea, texte publicate de organizații cu bună reputație (cum ar fi EMA, FDA sau organizații-umbrelă, naționale sau internaționale, ale pacienților).

Acest articol prezintă întrebările pe care un cititor critic le poate pune atunci când analizează rezultatele unui studiu clinic.

# Studiul este de încredere?

- Determinați dacă **obiectivele** sunt clare, iar ipoteza este exprimată precis.
- Este posibilă **generalizarea** rezultatelor studiului în rândul populației largi? Cititorul trebuie să ia în considerare populația căreia îi pot fi aplicate rezultatele studiului. Trebuie descrise caracteristicile eșantionului de populație recrutat.
- Toate **tratamentele utilizate în cadrul studiului sunt descrise detaliat**, iar tratamentul experimental este relevant pentru întrebarea cititorului?
- Care sunt **beneficiile și riscurile** probabile pe care terapia le implică pentru pacient?
- Luați în considerare orice **conflicte de interese** care ar putea afecta autenticitatea și obiectivitatea cercetării.

# Metodologia studiului este adecvată pentru evaluarea ipotezei declarate?

- **Tratamentul de referință** este un comparator adecvat care corespunde practicii curente? Acesta este un placebo, o terapie disponibilă, cea mai bună îngrijire paliativă sau un grup de control istoric?
- **Populația studiului trebuie definită în mod clar.** Trebuie să fie clar dacă a fost studiată o întreagă populație sau un subset al acesteia și dacă este posibil să fie existat o eroare sistematică de selecție. Luați în considerare relevanța și motivele oricăror pacienți care și-au întrerupt participarea la studiu.
- Determinați dacă **grupul de control** a fost constituit corect și dacă toate criteriile de excludere au fost valide.

- **Punctele finale** ale studiului au fost bine definite și semnificative?
- **Puterea statistică** a studiului a fost adecvată pentru punctul final principal?
- Studiul a avut o **durată suficient de lungă pentru ca rezultatele să poată fi măsurate** și să captureze suficiente evenimente?

## Rezultatele sunt convingătoare?

- Rezultatele trebuie prezentate clar și obiectiv, cu un **nivel suficient de detaliu** – de exemplu, rezultatele pot fi clasificate după stadiul bolii, vârstă, sex și/sau orice posibil factor de confuzie.
- Determinați cât de convingătoare sunt rezultatele, dacă **datele statistice sunt adecvate** și dacă există eventuale explicații alternative pentru rezultate.
- Identificați **rata de pierdere a subiecților** pe durata studiului și cum au fost tratați **pacienții care nu au reacționat la tratament** – de exemplu, dacă s-a considerat că tratamentul acestora a eșuat sau dacă au fost incluși separat în analiză.
- Căutați orice **erori sistematice**. Determinați dacă cercetătorii au controlat sau au redus acest risc.

## Secțiunea de discuții este convingătoare?

- Discuția trebuie să includă **toate rezultatele** studiului, nu doar cele care au susținut ipoteza inițială.
- Discuția trebuie să încerce să determine dacă obiectivele inițiale au fost atinse și dacă **întrebările de cercetare au primit răspuns**.
- Determinați dacă autorii au **exclus posibilele erori sistematice** și au recunoscut eventualele limitări ale studiului.

- Determinați dacă au fost făcute generalizări prin aplicarea incorectă a rezultatelor studiului.
- Determinați dacă acesta corespunde **literaturii științifice existente** (cautați întotdeauna alte publicații pe același subiect).

## **Efectul demonstrat este semnificativ din punct de vedere clinic?**

- Evaluați critic relevanța clinică a efectelor indicate: **acestea au un efect semnificativ asupra sănătății unui pacient?** De exemplu, un efect semnificativ din punct de vedere statistic poate avea o amplitudine atât de scăzută, încât nu este relevant pentru pacienți. Cu cât dimensiunea studiului este mai mare, cu atât pot fi detectate efecte cu amplitudine mai mică. Un efect semnificativ din punct de vedere statistic, însă fără relevanță clinică, poate fi cauzat de dimensiunea sau puterea statistică prea mare a studiului clinic.
- Pe de altă parte, absența dovezilor nu implică neapărat absența oricărui efect. Atunci când nu se determină nicio diferență semnificativă din punct de vedere statistic, acest lucru nu înseamnă că tratamentele comparate sunt echivalente. Aceasta deoarece testele statistice nu măsoară dovezile care vin în sprijinul ipotezei, ci caută să evalueze dovezile care susțin nevaliditatea ipotezei (dovezile care susțin ipoteza nulă). Cu alte cuvinte, testele statistice încearcă să valideze ipoteza nulă. Chiar dacă eficacitatea tratamentelor diferă, este posibil ca un test statistic să nu fie semnificativ din cauza unui aspect întâmplător (eroare de tipul II) sau deoarece nu sunt disponibile suficiente informații (dimensiune mică a studiului, putere statistică insuficientă).

# Concluziile sunt valide?

- Concluziile autorului trebuie să fie susținute de **datele disponibile**. Asigurați-vă că aceste concluzii sunt relevante pentru scopurile și obiectivele declarate ale studiului.

A2-4.35.2-v1.1