



## **O que é um Estudo de Efetividade?**

Os ensaios clínicos podem ser projetados para testar a **eficácia** (*se uma intervenção produz um efeito em condições ideais*) ou a **efetividade** (*se uma intervenção produz um efeito no mundo real*). Os estudos de efetividade são muitas vezes referidos como ensaios pragmáticos. Os estudos de eficácia são chamados de ensaios explicativos/expositivos [1 - 9].

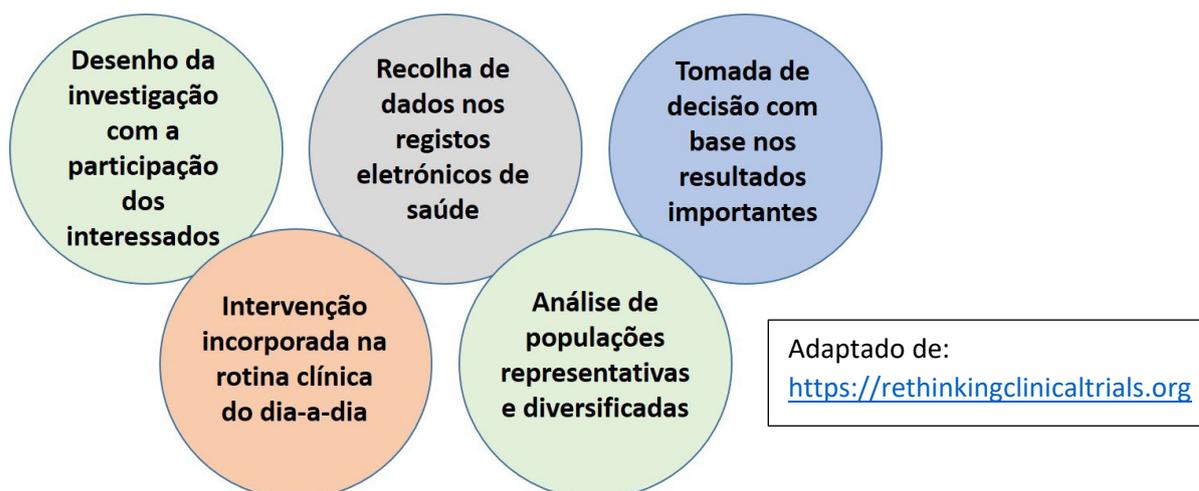
### **1. Quais são as características de um estudo de efetividade?**

Quando um tratamento é determinado como eficaz em um estudo explicativo, geralmente é comparado a um placebo ou grupo de controlo sem intervenção. Os resultados ajudam a orientar a tomada de decisão clínica, mas na prática rotineira há uma diferença entre as condições ideais do ensaio de eficácia e as complexidades presentes na prática clínica (por exemplo: grande diversidade de pacientes, diferenças geográficas e comunitárias, custos e fatores económicos, entre outros) [1; 6; 9]. Os estudos de efetividade tentam preencher essa lacuna de conhecimento para os prestadores de serviços de saúde, pacientes e demais interessados (famílias, cidadãos, agências governamentais e grupos de interesse). Estes ensaios geralmente envolvem os profissionais de saúde que, em condições normais, atendem os pacientes no dia-a-dia [7; 8]. Os resultados de um estudo pragmático geralmente são mais generalizáveis para a variedade de pacientes normalmente atendidos em serviços de saúde. Os estudos de efetividade estão, portanto, em sequência com os estudos de eficácia [5; 9].

### **2. Como é desenhado um estudo de efetividade?**



Os estudos de efetividade geralmente envolvem a comparação de duas intervenções que estabeleceram a eficácia. Podem também comparar uma intervenção com um tratamento padrão. Normalmente, os participantes são atribuídos aleatoriamente a um determinado grupo de tratamento. Os investigadores precisarão identificar a população de interesse do estudo e onde ela será estudada (nos estabelecimentos de saúde ou na comunidade). Antes de projetar um novo estudo, é importante rever os achados e as conclusões de estudos semelhantes realizados em outros locais, bem como incluir as partes interessadas (pacientes, familiares, médicos) na tomada de decisão sobre o desenho do estudo e a execução do mesmo. Isso aperfeiçoa a(s) questão(ões) de pesquisa [1; 3; 5].



Quando vários ensaios de eficácia e posteriormente ensaios de efetividade forem concluídos para uma condição clínica específica, os profissionais de saúde, pacientes e familiares e outras partes interessadas podem incorporar as evidências disponíveis para que as decisões de tratamento possam levar a resultados otimizados. Às vezes, um conjunto de estudos demonstram um caminho de tratamento claro, mas também pode haver resultados discordantes. Somente investigações clínicas subsequentes e experiência no mundo real do atendimento clínico podem levar a maior clareza sobre as melhores práticas clínicas.

#### **Versão Portuguesa:**

#### **APED – Associação Portuguesa para o Estudo da Dor**

Daniel Pozza, Departamento de Biomedicina – Unidade de Biologia Experimental, Faculdade de Medicina Universidade do Porto; Faculdade de Ciências da Nutrição e Alimentação da Universidade do Porto; i3S - Instituto de Investigação e Inovação em Saúde da Universidade do Porto



## REFERÊNCIAS

1. Ernst E, Pittler MH. Efficacy or effectiveness? *J Intern Med*. 2006 Nov;260(5):488-90. doi: 10.1111/j.1365-2796.2006.01707.x. PMID: 17040256.
2. Gartlehner G, Hansen RA, Nissman D, Lohr KN, Carey TS. Criteria for Distinguishing Effectiveness from Efficacy Trials in Systematic Reviews. Technical Review 12 (Prepared by the RTI-International–University of North Carolina Evidence-based Practice Center under Contract No. 290-02-0016.) AHRQ Publication No. 06-0046. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality. April 2006.
3. Heddini A, Sundh J, Ekström M, Janson C. Effectiveness trials: critical data to help understand how respiratory medicines really work? *Eur Clin Respir J*. 2019 Jan 29;6(1):1565804. doi: 10.1080/20018525.2019.1565804. PMID: 30728925; PMCID: PMC6352944.
4. Loudon K, Treweek S, Sullivan F, Donnan P, Thorpe KE, Zwarenstein M. The PRECIS-2 tool: designing trials that are fit for purpose. *BMJ*. 2015 May 8;350:h2147. doi: 10.1136/bmj.h2147. PMID: 25956159.
5. Roche N, Reddel HK, Agusti A, Bateman ED, Krishnan JA, Martin RJ, Papi A, Postma D, Thomas M, Brusselle G, Israel E, Rand C, Chisholm A, Price D; Respiratory Effectiveness Group. Integrating real-life studies in the global therapeutic research framework. *Lancet Respir Med*. 2013 Dec;1(10):e29-30. doi: 10.1016/S2213-2600(13)70199-1. Epub 2013 Dec 2. PMID: 24461762.
6. Rosqvist, J., & Thomas, J. C. (Ed.), & Truax, P. (2011). Effectiveness versus efficacy studies. In J. C. Thomas & M. Hersen (Eds.), *Understanding research in clinical and counseling psychology* (pp. 319–354). Routledge/Taylor & Francis Group.
7. Schneeweiss S, Seeger JD, Jackson JW, Smith SR. Methods for comparative effectiveness research/patient-centered outcomes research: from efficacy to effectiveness. *J Clin Epidemiol*. 2013 Aug;66(8 Suppl):S1-4. doi: 10.1016/j.jclinepi.2013.05.012. PMID: 23849143.
8. Singal AG, Higgins PD, Waljee AK. A primer on effectiveness and efficacy trials. *Clin Transl Gastroenterol*. 2014 Jan 2;5(1):e45. doi: 10.1038/ctg.2013.13. PMID: 24384867; PMCID: PMC3912314.
9. Wasan AD. Efficacy vs effectiveness and explanatory vs pragmatic: where is the balance point in pain medicine research? *Pain Med*. 2014 Apr;15(4):539-40. doi: 10.1111/pme.12420. PMID: 24716587.