



Eficácia e Efetividade de Ensaios Clínicos Randomizados: quais as diferenças entre eles?

Prof. Dr. Wagner Rodrigues Martins¹ 

A quantidade de publicações de Ensaios Clínicos Aleatorizados (ECA) apresenta um crescimento exponencial desde os anos 1980 em diversas áreas do saber. Ensaios Clínicos Aleatorizados constituem o padrão de excelência entre todos os métodos intervencionistas pela sua capacidade de estabelecer relação de causa-efeito e pela sua maior capacidade de controlar variáveis de confusão. Com o movimento imposto pelo conceito de Prática Baseada em Evidências, a partir da Declaração de Sicília, nos anos 2000, e o advento das buscas eletrônicas nos Estados Unidos, em 1966, o consumo de ECA por profissionais de saúde também segue crescendo. No Brasil, em um ano, uma base de dados, por exemplo, pode

ser acessada para busca de ECA mais de 500.000 vezes.

Considerando o grande consumo desse tipo de estudo, dois conceitos ligados a ele precisam estar claros. Trata-se dos conceitos de eficácia e efetividade. Com frequência observamos certa dificuldade para se definir se o ECA é de eficácia ou de efetividade, e muitos pesquisadores utilizam os termos como sinônimos. A eficácia indica a utilidade ou o benefício de um procedimento de intervenção quando aplicado em condições bem controladas; para ser eficaz, o procedimento deve ser capaz de produzir o efeito desejado em situações ideais de uso. Um ECA explanatório, portanto, conduzido adequadamente, é considerado o método mais apropriado para gerar informações que permitam determinar eficácia. A eficácia é

1.Doutor em Ciências da Saúde. Docente do Programa de Pós-graduação em Ciências da Reabilitação - PPGCR, Campus Ceilândia, Universidade de Brasília. E-mail para correspondência: wagnermartins@unb.br

necessária, mas não suficiente, pois quando as intervenções são fornecidas para a população existe ainda a necessidade de se avaliar a efetividade. Assim a medida de efetividade é outra abordagem utilizada na verificação da qualidade de uma intervenção. A diferença é que nos estudos de efetividade não são observadas as tratativas de condições ideais, mas sim de condições normais de uso. Assim, a utilidade ou benefício da intervenção é estabelecido quando usado pela população. A efetividade é testada em ECA pragmáticos, nessas condições benefício, ou seja, a efetividade pode estar reduzida, pois no dia a dia das pessoas os produtos e serviços utilizados variam em sua forma de utilização. Assim, é preciso estar atento, pois os dois conceitos servem para objetivos distintos promovendo, em última análise, dados diferentes. Esse assunto pode ser aprofundado destacando diferenças elementares entre cada um. No entanto, para o momento, chamo a atenção para

três diferenças importantes: a primeira é em relação à pergunta experimental do ECA: “a intervenção deve funcionar em circunstâncias ideais ou na prática do mundo real”? A segunda observação é em relação aos participantes; estudos de eficácia tem chances maiores de obterem uma amostra mais homogênea, na medida em que muitas vezes são adotados critérios de elegibilidade rígidos e bem detalhados, enquanto nos estudos de efetividade os critérios de elegibilidade são menos limitados, resultando, provavelmente, em uma amostra mais heterogênea, e portanto, com melhor aplicação para circunstâncias práticas. A terceira observação é em relação à validade do estudo, estudos de eficácia tem alta validade interna, mas em grande parte das vezes baixa validade externa. Já os estudos de efetividade tem alta validade externa, enquanto mantiverem validade interna adequada. Como disse antes, esse assunto pode ser muito mais aprofundado. Que você se sinta estimulado a fazer isso. Assim sendo, vai

ajudar profissionais e acadêmicos a diminuir a confusão que ainda existe quanto aos significados de eficácia e efetividade. Espero que esse texto tenha te ajudado a perceber, mesmo que superficialmente, que existe muito mais por trás dos conceitos de eficácia e efetividade.

Efficacy and Effectiveness of Randomized Clinical Trials: What are the differences between them?

The number of publications of Randomized Clinical Trials (ACE) has grown exponentially since the 1980s in several areas of the saber. Previous Randomized Clinical Trials the standard of excellence among all interventionist methods for their ability to establish a cause-effect relationship and their greater ability to control confounding variables. With the movement imposed by the concept of Evidence-Based Practice, from the Declaration of Sicily, in the 2000s, and the advent of electronic

searches in the United States in 1966, the consumption of ECA by health professionals is also growing. In Brazil, in one year, a database, for example, can be accessed to search for ECA 500,000 times more.

Considering the large consumption of this type of study, two concepts related to it need to be clear. These are the concepts of efficacy and effectiveness. We often observe a certain difficulty in defining whether the ECA is of effectiveness or effectiveness, and many use the terms interchangeably. Effectiveness indicates the usefulness or benefit of an intervention procedure when applied under well-controlled conditions; to be effective, the procedure must be able to produce the desired effect in case of use. An explanatory ECA, therefore, conducted considered, is considered the most appropriate method to generate information that obtains results. Effectiveness is necessary, but not necessary, because when sources are provided to the population, there is still a

need to assess effectiveness. Thus, the measure of effectiveness is another approach applied in verifying the quality of an intervention. The difference is that in effectiveness studies, they are not seen as dealing with ideal conditions, but normal conditions of use. Thus, the utility or benefit of the intervention is established when used by the population. Effectiveness is tested in pragmatic ECA, in these conditions, the benefit, that is, effectiveness can be reduced, because in people's daily lives the products and services used vary in their form of use.

Thus, it is necessary to be attentive, as the two concepts serve different purposes, promoting, in the final analysis, different data. This subject can be deepened by highlighting differences between each element. However, for the moment, without going into too much depth and losing the focus of alerting the reader of this editorial, I call attention to 3 important differences. The first is in relation to the ECA's experimental question: "should the intervention work

under ideal circumstances or in real-world practice"? The second observation is in relation to the participants; Efficacy studies are more likely to obtain a more homogeneous sample, as rigid and well detailed eligibility criteria are often adopted. In the effectiveness studies, the eligibility criteria are less invited, probably, in a more heterogeneous sample, and therefore better application for certain practices. The third observation concerns the validity of the study; efficacy studies with high internal validity, but in most cases low external validity. The effectiveness studies with high external validity, while remaining in internal validity.

As I said before, this subject can be much more in-depth. May you be encouraged to do so. Therefore, it will help professionals and academics to reduce the confusion that still exists regarding the meanings of efficacy and effectiveness. I hope that this text has helped you to realize, even if superficially,

that there is much more behind the concepts of efficacy and effectiveness.

Eficacia y efectividad de los ensayos clínicos aleatorizados: ¿Cuáles son las diferencias entre ellos?

El número de publicaciones de Ensayos Clínicos Aleatorizados (ECA) ha crecido exponencialmente desde la década de 1980 en varias áreas del saber. Los ensayos clínicos aleatorizados previos son el estándar de excelencia entre todos los métodos intervencionistas por su capacidad para establecer una relación causa-efecto y su mayor capacidad para controlar las variables de confusión. Con el movimiento impuesto por el concepto de Práctica Basada en Evidencia, desde la Declaración de Sicilia, en la década de 2000, y el advenimiento de las búsquedas electrónicas en los Estados Unidos en 1966, el consumo de ECA por parte de los profesionales de la salud también está creciendo. En Brasil, en un año, se puede acceder a una base de datos, por ejemplo, para buscar ECA 500.000 veces más.

Considerando el gran consumo de este tipo de estudios, hay que tener claros dos conceptos relacionados con él. Estos son los

conceptos de eficacia y efectividad. A menudo observamos una cierta dificultad para definir si el ECA es efectivo o efectivo, y muchos usan los términos indistintamente. La eficacia indica la utilidad o el beneficio de un procedimiento de intervención cuando se aplica en condiciones bien controladas; para que sea eficaz, el procedimiento debe poder producir el efecto deseado en caso de uso. Un ECA explicativo, por tanto, realizado considerado, se considera el método más adecuado para generar información que obtenga resultados. La eficacia es necesaria, pero no necesaria, porque cuando se proporcionan fuentes a la población, todavía es necesario evaluar la eficacia. Por tanto, la medida de la eficacia es otro enfoque que se aplica para verificar la calidad de una intervención. La diferencia es que en los estudios de eficacia, no se considera que se trate de condiciones ideales, sino de condiciones normales de uso. Así, la utilidad o beneficio de la intervención se establece cuando es utilizada por la población. La efectividad se prueba en ECA pragmático, en estas condiciones, el beneficio, es decir, la efectividad se puede reducir, porque en la da

diaria de las personas los productos y servicios utilizados varían en su forma de uso.

Por tanto, hay que estar atentos, ya que los dos conceptos sirven a finalidades diferentes, promoviendo, en última instancia, datos distintos. Este tema se puede profundizar resaltando las diferencias entre cada elemento. Sin embargo, por el momento, sin profundizar demasiado y perder el foco de alertar al lector de este editorial, llamo la atención sobre 3 diferencias importantes. La primera está relacionada con la pregunta experimental de la ECA: "¿Debería funcionar la intervención en circunstancias ideales o en la práctica del mundo real"? La segunda observación está relacionada con los participantes; Es más probable que los estudios de eficacia obtengan una muestra más homogénea, ya que a menudo se adoptan criterios de elegibilidad rígidos y bien detallados. En los estudios de efectividad, los criterios de elegibilidad están menos invitados, probablemente, en una muestra más heterogénea, y por lo tanto mejor aplicación para determinadas prácticas. La tercera observación se refiere a la validez del estudio; estudios de eficacia con alta validez interna,

pero en la mayoría de los casos de baja validez externa. Los estudios de efectividad con alta validez externa, permaneciendo en validez interna.

Como dije antes, este tema puede ser mucho más profundo. Que se le anime a hacerlo. Por tanto, ayudará a los profesionales y académicos a reducir la confusión que aún existe sobre los significados de eficacia y efectividad. Espero que este texto les haya ayudado a darse cuenta, aunque sea superficialmente, de que hay mucho más detrás de los conceptos de eficacia y efectividad.

Como citar esse editorial / How to cite this editorial:

Martins, W. R. Eficácia e Efetividade de Ensaio Clínicos Randomizados: quais as diferenças entre eles? *Arq. Bras. Ed. Fis., Tocantinópolis, v. 3, n. 1, Jan./Jul., p. 09 - 14, 2020.*