

EVIDENCIA CIENTÍFICA Y ANÁLISIS ECONÓMICO: ¿DOS CONCEPTOS EXCLUYENTES?

Albert J. Jovell

*Responsable del Área de Investigación y Formación. Agencia de Evaluación de Tecnología Médica.
Servicio Catalán de la Salud - Departamento de Sanidad y Seguridad Social. Generalitat de Catalunya*

Esther Jovell

Técnico de Salud. Consorcio Sanitario de Terrasa. Terrasa, Barcelona

RESUMEN

La evolución de los sistemas sanitarios genera la necesidad de basar las decisiones clínicas y/o de gestión en la evidencia científica. La enorme cantidad de información disponible y la calidad desigual de la misma requiere de esquemas metodológicos orientados a la organización y clasificación de la evidencia.

Las revisiones sistemáticas de la evidencia científica permiten integrar conceptos de medida del efecto y el coste de las intervenciones sanitarias, así como tener en cuenta consideraciones específicas respecto a la calidad de los estudios.

ABSTRACT

The evaluation of health care systems requires the need to have medical decision making on scientific evidence. The excess of information alongside its unequal quality can be overcome through the adoption of methods for classifying and synthesizing evidence. The concept of systematic review of the scientific evidence has been proposed to present altogether data on the effect and the cost of health care interventions. The concept incorporates a level of evidence scale to take into account the unequal study quality.

1. INTRODUCCIÓN

La dinámica actual de los sistemas sanitarios modernos ha supuesto un aumento creciente del número de tecnologías disponibles para la atención sanitaria, así como una mayor concienciación sobre los efectos de las mismas en el pronóstico de la enfermedad y en los costes asistenciales. Es por ello que las decisiones que se toman en la práctica profesional tienen que valorar comparativamente los efectos y los costes de las tecnologías disponibles en el abordaje y manejo de una condición clínica específica. Esto supone que los sistemas sanitarios modernos deberían considerar que las recomendaciones para la práctica clínica,

la prevención de la enfermedad, la promoción de la salud, y la gestión de los servicios sanitarios estuvieran avaladas por el conocimiento generado por los resultados de la investigación y la evaluación. El cumplimiento de esta consideración tendría que permitir la transición de un modelo sanitario ideal a uno más racional, en el que las decisiones profesionales estarían basadas en el análisis crítico y en la medida de acontecimientos y resultados que son susceptibles de predicción más que en meros juicios de valor de consecuencias no previsibles^{1,2}. Algunos de los motivos que justifican la necesidad de este proceso de comunicación dialéctica entre cono-

cimiento/evidencia, decisión y acción se describen en la Tabla 1³.

La toma de decisiones clínicas no sólo debe considerar los datos procedentes de la evidencia científica sobre el efecto terapéutico o la precisión diagnóstica de una tecnología, sino también el coste de la misma en comparación con las alternativas competidoras. Es en este contexto en el que los conceptos de eficacia y efectividad deben verse complementados por el de coste de oportunidad. Así, el proceso de toma de decisiones en sanidad debe buscar el equilibrio entre la efectividad, entendida como la mejora pronóstica atribuible al efecto de la tecnología; la equidad, definida como la reduc-

ción de la desigualdad no justificada en el trato recibido; y la eficiencia, valorada en un sentido utilitarista como la capacidad de producir el mayor beneficio a partir de unos recursos dados. Aunque en un sentido extremo, y siguiendo las coordenadas de una teórica frontera de producción de servicios sanitarios, los tres conceptos pueden entrar en conflicto, en principio no tienen por qué excluirse entre sí.

La última puntualización permite realizar una doble consideración. Así, por un lado, es cierto que una teórica demanda de tecnologías caras para el tratamiento de enfermedades prevalentes puede afectar el criterio de equidad, debido a la imposibilidad de satisfacer las necesidades de todos los enfermos. Esta situación obligaría tanto a definir criterios de necesidad de la tecnología, como a valorar el beneficio terapéutico marginal que proporciona el tratamiento caro en comparación con el que se puede obtener mediante la provisión de otras alternativas terapéuticas, teniendo en cuenta el coste de las mismas. El análisis económico puede producir la información necesaria para resolver este teórico conflicto entre efectividad y equidad mediante la valoración del criterio o la razón-coste-efectividad. Por otro lado, la disponibilidad de evidencia científica de calidad sobre la eficacia y la efectividad de las diferentes alternativas diagnósticas y terapéuticas disponibles para el manejo clínico de una enfermedad, así como la accesibilidad a unas buenas bases de datos de costes deberían permitir una disminución de la incertidumbre e ignorancia asociada a muchos de los procesos de toma de decisiones de gestión clínica.

En el contexto mencionado, la efectividad y la eficiencia no sólo no son conceptos excluyentes sino que deberían ser complementa-

rios. En este sentido, una primera concepción errónea del movimiento de la medicina basada en la evidencia ha sido la de ignorar el valor económico, en términos no sólo de costes reales sino, sobre todo, de costes de oportunidad de las tecnologías sanitarias. El teórico conflicto antes expuesto, entre magnitud del efecto de una tecnología y la capacidad de provisión por parte del sistema sanitario, constituye un ejemplo de la necesidad de medir la eficiencia de las decisiones de gestión clínica. La ineludible exigencia de determinar prioridades en sanidad obliga a valorar las tecnologías en un sentido más amplio que el de la mera evaluación de su eficacia.

Una segunda concepción errónea de la medicina basada en la evidencia es la de considerar que el concepto de evidencia sólo es aplicable al estudio de la eficacia de las intervenciones médicas a partir de meta-análisis de estudios experimentales y de ensayos controlados y aleatorizados. Sin embargo, si bien este último tipo de diseños son los de mayor calidad y rigor científico al evaluar el efecto de una tecnología, no se debe ignorar la capacidad de otro tipo de metodologías para proporcionar información sobre la efectividad o efecto de la tecnología en condiciones de práctica clínica habitual no experimentales, así como sobre la eficiencia y la equidad⁴. Un ejemplo de las posibles contradicciones entre eficacia, efectividad, eficiencia y equidad puede encontrarse en la valoración de los resultados del cribaje prenatal del síndrome de Down en Catalunya⁵.

Un abordaje adecuado para limitar esas posibles concepciones erróneas y facilitar un proceso de decisiones clínicas mejor informado y fundamentado sería la ampliación del concepto de revisión sistemática de la evidencia científica, mediante la adopción de más

metodologías y un mayor rigor científico en la realización de los estudios de análisis económico.

2. REVISIONES SISTEMÁTICAS DE LA EVIDENCIA CIENTÍFICA

Las RSEC incluyen un conjunto de conceptos y métodos estructurados que permiten la implementación de un proceso de toma de decisiones clínicas racional basado en los resultados del análisis crítico del conocimiento disponible, las fases en las que se estructura una RSEC se describen en la Tabla 2. Las RSEC constituyen una metodología explícita, estructurada, sistemática y multidisciplinar que responde a un problema de salud específico, ya sea una condición clínica, una tecnología/s o un binomio tecnología-condición clínica. La exhaustividad de una revisión está determinada tanto por la naturaleza del problema de salud que se debe evaluar y la pregunta de evaluación que se intenta responder como por la cantidad y calidad de la evidencia disponible. La fase de búsqueda de la evidencia precisa de una estrategia de documentación específica. Esta estrategia supone la búsqueda de evidencia directa –estudios específicos diseñados para generar datos primarios– e indirecta –análisis de datos secundarios e información recogida con un propósito distinto al de la evaluación–. La estrategia de búsqueda implica el acceso a bases de datos específicas de estudios científicos o de datos secundarios. Cuando no existe evidencia científica disponible o la que existe no resuelve la incertidumbre en torno al problema de salud, se debe facilitar una estrategia de investigación que produzca la evidencia científica o certeza necesaria para garantizar la idoneidad de las decisiones clínicas. La fase de presentación de la evidencia con-

siste en la organización de la información disponible según criterios de tipo cualitativo relacionados con las características del diseño de los estudios disponibles.

La fase de clasificación de la evidencia permite emitir recomendaciones sobre la adopción de tecnologías médicas según el rigor científico del tipo de diseño y la calidad del estudio. Existen en la literatura diferentes clasificaciones de la evidencia científica. Entre las mismas hay que destacar, por ser la primera que se describió, la de la Canadian Task Force on the Periodic Health Examination, adaptada con posterioridad por la US Preventive Task Force^{6,7}. La mayor parte de las escalas descritas coinciden en calificar con el mayor rigor y calidad científica, y por lo tanto credibilidad de sus resultados, a aquellos estudios que son aleatorizados, controlados y prospectivos. En las Tablas 3 y 4 se describe la escala de evidencia científica utilizada en la *Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica* y su utilización en el proceso de toma de decisiones^{8,9}. Esta escala ha sido utilizada en la evaluación de tecnologías sanitarias específicas por diferentes instituciones y aporta, como hecho diferencial respecto a las otras escalas existentes, la inclusión de una serie de criterios de rigurosidad científica que permiten valorar de forma comparativa diferencias de calidad entre estudios de igual diseño.

La fase de síntesis de la evidencia permite aplicar técnicas estadísticas específicas para combinar los resultados de estudios de igual diseño –metaanálisis– o de igual objetivo de evaluación –*cross-design synthesis*–¹⁰. La integración de la evidencia incluye un conjunto de metodologías que facilitan la contextualización de los resultados obtenidos en las fases mencionadas al combinar la evidencia di-

recta y la indirecta. Las limitaciones de validez externa o de generalización de los resultados a contextos y situaciones sanitarias específicas que presentan los estudios controlados, prospectivos y aleatorizados puede ser compensados por las diferentes metodologías que conforman la fase de integración. Estas metodologías permiten considerar aspectos relacionados con el contexto sanitario como son, entre otros, la experiencia de los profesionales, el tipo de proveedores, la presión asistencial, los costes, el nivel asistencial (atención primaria u hospital), el sistema de financiación, el marco legal y el regulador, los aspectos organizativos, las implicaciones éticas y, sobre todo, las características de la población.

Finalmente, el conjunto de estas cinco fases permite la elaboración de recomendaciones basadas en la evidencia, ya sean guías de práctica clínica^{9,11}; estrategias de salud pública^{6,7}; o recomendaciones para la adopción y/o utilización de tecnologías médicas específicas, la planificación sanitaria, la compra de servicios, la cobertura de prestaciones y la gestión y administración de los recursos sanitarios, entre otras¹². En este sentido, el concepto de evidencia científica no debería ser tan restrictivo, al incluir la posibilidad de valorar, y extrapolar, la medida del efecto de la tecnología en condiciones experimentales o de eficacia a condiciones de práctica clínica habitual o efectividad, así como evaluar la eficiencia en un contexto sanitario específico con un perfil de costes determinado.

3. APLICACIÓN DE LA EFECTIVIDAD EN EL ANÁLISIS ECONÓMICO

La medida del efecto de una intervención sanitaria puede realizarse desde múltiples perspectivas y

horizontes temporales. El diseño estándar para la medida del efecto de una intervención es el ensayo controlado y aleatorizado debido a su capacidad para discernir el efecto real de la tecnología de los posibles factores de confusión. La aleatorización tiene como objetivo distribuir de forma equivalente esos posibles factores de confusión que modifican el efecto de la intervención, y que son independientes de ésta, entre el grupo experimental y el control. Sin embargo, no se debería plantear la medida de la efectividad de una tecnología sin tener como referencia la medida de la eficacia. De esta forma, un esquema racional de la evaluación se iniciaría con la medida del efecto de una tecnología en condiciones experimentales o eficacia y se continuaría con la valoración del efecto en condiciones de práctica clínica habitual.

Una vez estimado el efecto de la tecnología conviene valorar el coste de la misma, con el objeto de poder comparar la eficiencia en las decisiones de gestión clínica de una enfermedad específica. Esta aproximación teórica presenta dos problemas en nuestro contexto. El primero de ellos está relacionado con la validez y fiabilidad de las fuentes de información de costes y las metodologías para estimar los mismos. El segundo está asociado a la validez y fiabilidad de la información referida o la medida del efecto de la tecnología. Respecto al primer problema, parece necesario el diseño, elaboración y mantenimiento de bases de datos de costes que permitan la realización de análisis económicos de calidad aplicables a nuestro contexto. Recientemente, se han formulado a nivel internacional recomendaciones para la realización de este tipo de estudios que incluyen consideraciones específicas sobre la medida de los costes^{13,14}. En relación a

la medida del efecto, las escalas de evidencia científica ayudan a determinar la calidad de los diseños utilizados en su valoración. Ello permite valorar de forma diferencial la calidad de los estudios coste-efectividad en función del diseño utilizado en la medida del efecto. En este sentido, dos estudios sobre las características de los análisis económicos en la evaluación de tecnologías específicas han identificado la adopción de diseños de desigual calidad en la medida de la efectividad^{15, 16}. En el primero de esos estudios se pone de manifiesto dicha variabilidad en la procedencia de los datos de efectividad, de forma que sólo en 9 de los análisis económicos identificados ésta procede de ensayos controlados y aleatorizados y en el resto, hasta un total de 33 estudios, proviene de registros o de series de casos no controladas.

4. CONCLUSIONES

El concepto de evidencia científica también se aplica al análisis económico, por lo que la medida de la efectividad de las intervenciones forman parte de este tipo de diseños. En este último tipo de estudios se debe valorar el rigor metodológico de los diseños que proveen la información sobre la eficacia o efectividad de las intervenciones. Las escalas de evidencia científica permiten realizar este tipo de valoraciones, así como la aplicación de cuestionarios específicos de valoración de tecnologías^{15, 16}. Además, los diferentes diseños también pueden proporcionar evidencia sobre el coste de las intervenciones.

Las agencias de evaluación de tecnologías médicas utilizan las RSEC en los trabajos que realizan con el objetivo de informar los

procesos racionales de toma de decisiones en sanidad. La realización de una RSEC es un trabajo multidisciplinar que requiere la capacitación técnica de profesionales en investigación y evaluación, así como la formación específica de las personas implicadas en los procesos de toma de decisiones para entender y aplicar los resultados de las mismas en su tarea profesional. En este sentido, cabe recordar que si Hipócrates tuviera que rehacer su código ético, al primer principio o de no maleficencia le añadiría un pie de nota que dijera: "antes de decidir, primero investigar y evaluar"⁸. La producción de evidencia y las RSEC resultan imprescindibles para cumplir los principios deontológicos hipocráticos.

TABLA I. MOTIVOS QUE DETERMINAN LA NECESIDAD DE FUNDAMENTAR LAS RECOMENDACIONES PROFESIONALES EN LA EVIDENCIA CIENTÍFICA

1. *Variabilidad en los estilos de práctica clínica: necesidad de especificar criterios de idoneidad.*
2. *Variación en la utilización de recursos sanitarios.*
3. *Incertidumbre respecto al beneficio de las tecnologías nuevas y las tecnologías ya adoptadas.*
4. *Aumento del gasto sanitario: necesidad de una gestión más eficiente de los recursos.*
5. *Exceso de información científica que no puede ser analizada ni asimilada con celeridad por los profesionales.*
6. *Existencia de influencias externas de base científica no demostrada.*
7. *Falsas presunciones fisiopatológicas: hipótesis no contrastadas mediante estudios científicos de elevado rigor metodológico.*
8. *Aumento creciente de la demanda de servicios sanitarios: necesidad de encontrar el equilibrio entre los criterios de equidad, eficiencia y calidad.*

TABLA II. FASES DE UNA RSEC

1. *Búsqueda de la evidencia directa e indirecta.*
2. *Presentación de la evidencia: tablas de evidencia.*
3. *Clasificación de la evidencia:*
 - Escala AATM
 - Criterio de calidad individual de estudio
4. *Síntesis de la evidencia*
 - Metaanálisis
 - Cross-design synthesis
5. *Integración de la evidencia:*
 - Análisis de efectividad
 - Análisis de decisiones
 - Análisis de políticas sanitarias
 - Análisis económico
 - Análisis de idoneidad
 - Análisis del impacto social (ético, legal, regulación)
6. *Elaboración de recomendaciones basadas en la evidencia:*
 - Recomendaciones para la práctica profesional y para la salud pública.
 - Guías de práctica clínica

TABLA III. ESCALA DE EVALUACIÓN DE LA EVIDENCIA DE LA AGÈNCIA D'AVUACIÓ DE TECNOLOGIA MÈDICA

Niveles (del mayor I al menor IX)	Calidad de la evidencia	Tipo de diseño del estudio	Condiciones de rigor científico*
I*	Buena	Meta-análisis de ensayos controlados y aleatorizados	Análisis de datos de pacientes individuales Meta-regresión Diferentes técnicas de análisis Ausencia de heterogeneidad Calidad de los estudios
II*		Ensayos controlados y aleatorizados de muestra grande	Evaluación del poder estadístico Multicéntrico Calidad del estudio
III*	Buena a	Ensayos controlados y aleatorizados de muestra pequeña	Evaluación del poder estadístico Multicéntrico Calidad del estudio
IV*		Ensayos prospectivos controlados no aleatorizados	Evaluación del poder estadístico Multicéntrico Calidad del estudio
V*	Regular	Ensayos prospectivos controlados no aleatorizados	Controles históricos
VI*	Regular	Estudios de cohorte	Calidad del estudio Multicéntrico
VII*		Estudios caso-control	Aparcamiento
VIII	Baja	Series clínicas no controladas:	
IX		Estudios descriptivos: seguimiento de la enfermedad, vigilancia epidemiológico, registros, bases de datos. Comités de expertos, conferencias de consenso Anécdotas o casos	

* Calidad del estudio evaluado mediante protocolos específicos y condiciones de rigor científico.

Adaptado de Jovell AJ, Navarro-Rublo MD. Evaluación de la evidencia científica. Medicina Clínica (Bar) 1995; 105:740-3.

TABLA IV. RECOMENDACIONES BASADAS EN LA ESCALA DE EVALUACIÓN DE LA EVIDENCIA

Calidad de la Evidencia	Recomendación
Buena (A)	Existe adecuada evidencia científica para recomendar o desaconsejar la adopción de la tecnología
Regular (B)	Existe cierta evidencia científica para recomendar o desaconsejar la adopción de la tecnología
Baja (C)	Existe insuficiente evidencia científica para recomendar o desaconsejar la adopción de la tecnología

AGRADECIMIENTOS

Los autores quisieran agradecer y reconocer la colaboración de un importante número de personas que han valorado y matizado con su opinión las ideas contenidas en este texto, sobre todo en lo que respecta a la escala de evaluación de la evidencia de las que ha recibido múltiples sugerencias por parte de los profesionales que la han utilizado o evaluado. Un especial agradecimiento a María D. Navarro-Rubio y a Thomas C. Chalmers (in memoriam) que fue la primera persona que revisó la escala.

REFERENCIAS

- Jovell AJ. Temps era temps: la necessitat d'un nou contracte social a la sanitat (Tiempo era tiempo: la necesidad de un nuevo contrato social para la sanidad). *Salut Catalunya* 1996; 10: 51-7 (versión disponible en castellano).
- Jovell AJ. De l'Estat a la Societat del Benestar (Del Estado a la Sociedad del bienestar). *Salut Catalunya* 1996; 10: 50 (versión disponible en castellano).
- Jovell AJ. Avanzando hacia una sanidad mejor: decisiones fundamentadas en la evidencia científica. *Anales del Sistema Sanitario de Navarra* 1997; 20: 145-54.
- Jovell AJ. Is efficacy data enough to make a decision? A proposal for broadening the concept of systematic review. "2nd International Conference Scientific Basis of Health Services". Amsterdam, october 1997.
- Serra-Prat M, Gallo P, Jovell AJ, Aymerich M, Estrada MD. Trade-offs in prenatal screening for Down syndrome. *Am J. Pub Health*, April 1998 (in press).
- Canadian Task Force on the Periodic Health Examination. The Periodic Health Examination. *Can Med Assoc* 1979; 121: 1193-1254 (múltiples revisiones y aplicaciones desde este primer artículo).
- U.S. Preventive Task Force. Guide to clinical preventive services: an assessment of the effectiveness of 169 interventions. Baltimore, MD: William & Wilkins; 1989 (existe una segunda edición del 1996; existen múltiples publicaciones de otras escalas en la literatura médica).
- Jovell AJ, Navarro-Rubio MD. Evaluación de la evidencia científica. *Med Clin* 1995; 105: 740-3.
- Jovell AJ, Navarro-Rubio MD, Aymerich M, Serra-Prat M. Metodología de diseño y elaboración de guías de práctica clínica en atención primaria. *Atención Primaria* 1997; 20: 259-66.
- Jovell AJ, Navarro-Rubio MD, Chalmers TC. El mètode de la metaanàlisi en l'avaluació de tecnologies mèdiques (El método del meta-análisis en la evaluación de tecnologías médicas). *Salut Catalunya* 1995; 9: 61-4 (versión disponible en inglés).
- Jovell AJ, Navarro-Rubio MD. Guías de práctica clínica. *FMC* 1995; 2: 152-6.
- Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica. Memoria 1995; Memoria 1996 (versiones disponibles en castellano).
- Gold MR, Siegel JE, Russell LB, Weinstein MC. Cost-effectiveness in health care and medicine. New York: Oxford University Press, 1996.
- Jovell AJ, Gallo P, García-Altés A. Economic analysis in health care. (sección económica del informe EURASSESS en metodología de evaluación de tecnologías médicas). Agència d'Avaluació de Tecnologia Mèdica. Servei Català de la Salut. Departament de Sanitat i Seguretat Social. Generalitat de Catalunya, Febrer 1996.
- Jovell E, Jovel AJ. What are the purposes of economic evaluations? A qualitative assessing coronary ischaemic disease therapies. 13th Meeting of the International Society of Technology Assessment in Health Care (ISTAHC). Barcelona, 1997.
- Jovell E, Jovell AJ. Is efficient-based medicine feasible? A qualitative review of economic studies assessing the treatment of *Helicobacter pylori*. 14th Meeting of the International Society of Technology Assessment in Health Care (ISTAHC). Ottawa, 1998.