

Aspectes metodològics i d'oportunitat

Com tenir èxit en la petició
d'un projecte d'investigació
clínica no comercial amb
medicaments (FIS2008)

Barcelona, 10 d'abril de 2008

Investigació clínica no comercial amb medicaments

- Investigació clínica
- No comercial
- Amb medicaments

Investigació clínica

- “Investigación clínica, estudios farmacoepidemiológicos y de seguridad clínica de medicamentos autorizados en condiciones reales de uso.”
- “Estudios comparativos de medicamentos de elevado impacto en la Salud Pública y en el SNS, dirigidos a la mejora de la eficiencia de la práctica clínica.”
- “Ensayos clínicos, incluyendo estudios farmacogenéticos, encaminados a determinar poblaciones con distinto grado de respuesta, en eficacia y/o en seguridad, a fármacos con relevancia clínica y terapéutica en la práctica asistencial.”

No comercial?

- Investigació comercial
 - Orientada al medicament
 - Com intervenir enfront de quan intervenir o si cal intervenir
 - Beneficis enfront de riscos

No comercial

- Avaluar pacients
- Avaluar situacions clíniques
- Respondre preguntes clínicament rellevants

Amb medicaments

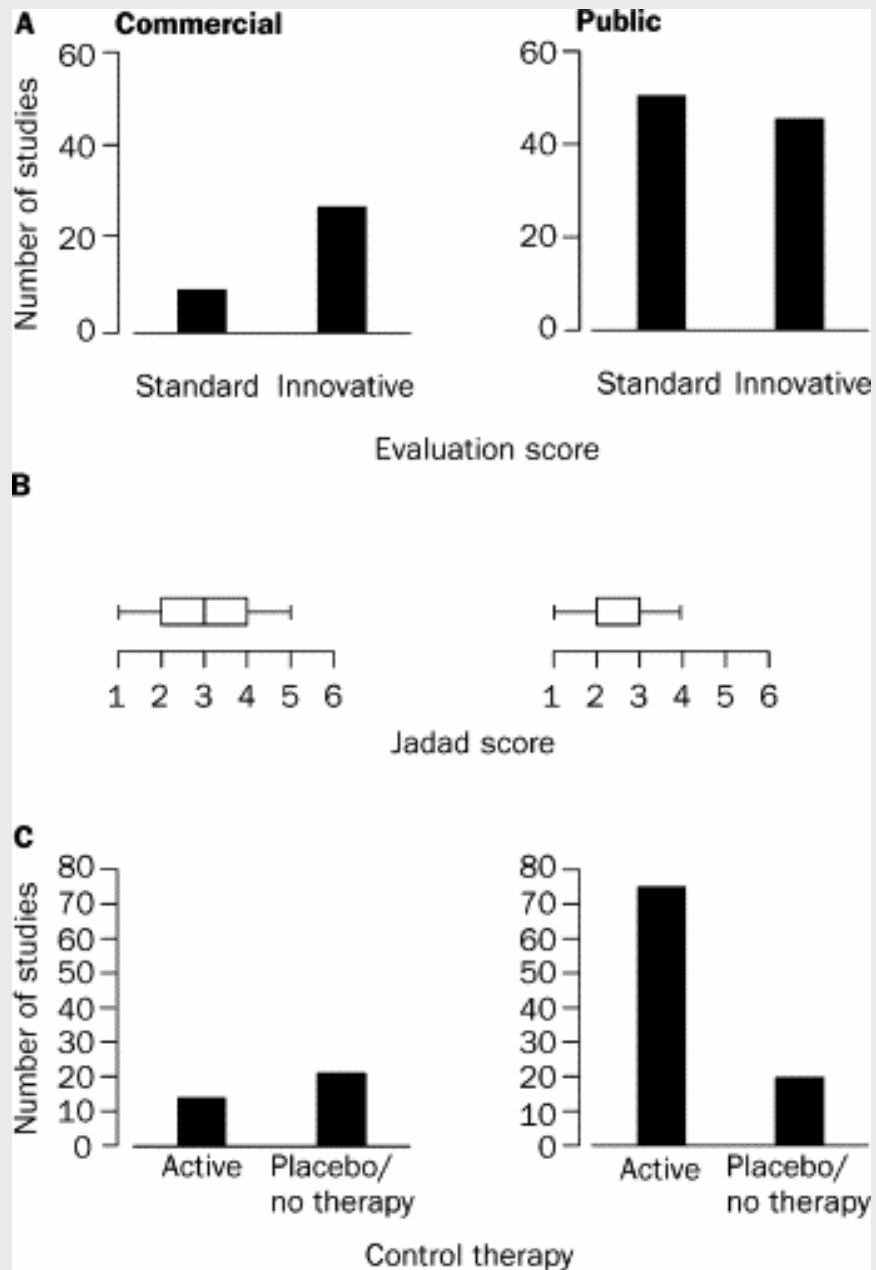
- Eficàcia
- Seguretat
- Cost

Amb medicaments

- Assaig clínic
- Estudis observacionals
- Estudis d'utilització de medicaments
- Estudis farmacoeconòmics

Equipoise

- Alternatives aparentment equivalents
- Els resultats no es poden predir
- Els participants no poden ser perjudicats per l'assignació a un tractament
- El nombre d'assaigs que accepten o rebutjen la hipòtesi ha de ser similar



Assaig clínic

- Població
- Assignació
- Intervencions
- Emmascarament
- Seguiment
- Mesures

Població

- Alt risc per mesurar eficàcia
- Baix risc per mesurar seguretat

- Conseqüències:
 - Més efectes adversos
 - Menys efectivitat

- Cal estudiar poblacions reals

Intervenció

- Manca d'*equipoise* o incertesa
- Manca de comparador actiu
- Conseqüències:
 - Manca de comparacions clínicament rellevants
- Cal fer aquestes comparacions

Variables

- Surrogades
- Conseqüència:
 - perills en la traducció clínica
- Calen mesures clínicament importants

Efectes dels tractaments

- Els efectes dels tractaments són modestos
 - resultats determinats per la història natural de la malaltia
 - diferències clínicament importants
 - comportament semblant entre subgrups
 - major benefici en pacients més greus

Mida de la mostra

$$\text{Confiança} = \frac{\text{Diferència}}{\text{Variabilitat}} \times \sqrt{\text{Mida de la mostra}}$$

Diferència

- Risc basal dels pacients
- Grau de resposta
 - compliment
- Detecció dels esdeveniments

Variabilitat

- Disseny encreuats
- Estratificació
- Compliment
- Mesura del resultat

	Ensayo clínico controlado EFICACIA	Práctica clínica habitual EFECTIVIDAD
Número de pacientes	$10^2 - 10^3$	$10^4 - 10^7$
Problema estudiado	Bien definido	Mal definido; a menudo con enfermedades asociadas
Duración	Días-semanas	Días a años
Población	Se excluye a los pacientes con contraindicaciones potenciales, mujeres gestantes, niños, personas de edad avanzada, etc.	Potencialmente toda la población; mayor heterogeneidad
Patologías	Más evolucionadas, más definidas	Menos evolucionadas, más prodrómicas o iniciales
Otros tratamientos	A menudo se evitan	Es probable que se tome más de un fármaco a la vez
Dosis	Generalmente fijas	Más variables
Forma de uso	Generalmente continua	A menudo intermitente
Seguimiento	Riguroso, mayor información	Menos riguroso, paciente generalmente menos informado