

O Conceito de Economia Clínica e sua Relação com Efetividade

The Concept of Clinical Economics and its Relation with Effectiveness

Franz Porzolt^{1,2} e Luis C. L. Correia^{3,4}

Pesquisa em Cuidados de Saúde – Departamento de Cirurgia Geral e Visceral – Hospital Universitário de Ulm,¹ Alemanha; Instituto de Economia Clínica, Ulm – Alemanha;² Escola de Medicina e Saúde Pública da Bahia;³ Hospital São Rafael,⁴ Salvador, BA – Brasil

A Economia Clínica deve ser um componente essencial da educação e da prática médicas. Ao se definir Economia Clínica, é importante esclarecer que o pensamento econômico não é primariamente uma questão monetária.

Uma análise econômica clássica considera quatro aspectos: primeiro, os custos, aquilo que alguém tem que doar; segundo, as consequências, aquilo que alguém recebe; terceiro, a comparação da relação dos custos e consequências de caminhos alternativos de ações; quarto, a perspectiva de quem faz a análise econômica.

A título de exemplo, comecemos com as perspectivas. Da perspectiva do paciente, as alternativas podem ser uma cirurgia imediata ou uma conduta expectante, caso haja uma chance realista de regressão espontânea. Os custos para o paciente serão um aumento do risco de complicações no caso da conduta expectante. A consequência (vantagem para o paciente) nessa situação é a chance de se evitar a cirurgia. A perspectiva do administrador hospitalar é diferente. Esse profissional também considerará custos e consequências, mas de tipos diferentes, como os custos monetários e as consequências monetárias. Os médicos e os administradores de um hospital desempenham tarefas diferentes e tomam decisões diferentes. Em alguns lugares, uma mesma pessoa é responsável pelas duas decisões, como se alguém jogasse xadrez consigo mesmo.

As decisões econômicas são baseadas em valores, que diferem em diferentes populações. A Economia Clínica foca na eficiência a partir das perspectivas dos pacientes e dos médicos, mas não a partir das perspectivas dos administradores. É claro que nenhum hospital sobreviverá e nenhum sistema de saúde será acessível a menos que se considerem as perspectivas de economistas, administradores e políticos. O difícil processo de consenso entre indivíduos com diferentes perspectivas e valores é mostrado na Figura 1.

Antes de pensar monetariamente, médicos e pacientes precisam descobrir quanto têm para doar (os custos) e o que recebem (as consequências ou os benefícios). O investimento clínico é o ‘custo’ que um paciente paga ao aceitar um

tratamento, como dor, efeitos colaterais, tempo gasto, possíveis eventos adversos, ou desconforto psicológico. O ‘lucro’ é o valor que um paciente recebe pelo seu investimento. Em geral os médicos não consideram essa troca, ignorando quanto é investido e superestimando o valor retornado (tamanho do efeito). Além disso, preço e lucro variam conforme as preferências do paciente. O valor que um pianista recebe com a reparação cirúrgica de sua mão é muito maior do que o de um advogado na mesma situação, pois o funcionamento adequado da mão é mais importante para o primeiro.

A Economia Clínica trata da eficiência, que pode ser definida como uma troca custo-efetiva. Um momento fundamental na história da Economia Clínica foi quando o meu professor no Instituto de Câncer de Ontário, em Toronto/Ontário, perguntou sobre a palavra alemã para ‘eficiência’. Ele achou divertido quando respondi ‘Effizienz’, e concluiu que a palavra ‘eficiência’ obviamente não existe na língua alemã. Essa terrível conclusão foi uma motivação verdadeira e forte para se demonstrar o significado de ‘eficiência’ a partir da perspectiva alemã. Nosso grupo começou a entender a diferença entre eficácia e efetividade e sua relação com eficiência, o que não era tão claro há 20 anos como é hoje.

Eficácia versus efetividade

Salientamos que eficácia e efetividade descrevem dois diferentes tipos de informação: eficácia é a demonstração de que um novo princípio pode funcionar teoricamente, a partir de estudos sob condições ideais controladas; efetividade é como um conceito provado por estudos de eficácia funciona nas condições de mundo real.^{1,2} Para a demonstração de eficácia, deve-se selecionar o cenário ideal para a prova do princípio. Requer um *design* de estudo experimental, com alocação aleatória de tratamentos, para eliminar viés de confusão e avaliação adequada de causalidade, indicando ser o ensaio explanatório.

A demonstração de efetividade é pragmática e ocorre no cenário em que o novo princípio será usado (mundo real). O *design* é observacional e a alocação de tratamento ocorre a critério do médico e do paciente e também de acordo com suas preferências. Permite avaliar os dois principais determinantes de efetividade: as questões práticas concernentes à adequada aplicabilidade do tratamento e o impacto das escolhas individualizadas. A interação dessas duas forças determina se a efetividade de um tratamento será menor do que a sua comprovada eficácia (perda do efeito benéfico no mundo real) ou se o tratamento será ainda mais efetivo do que eficaz. A primeira situação deve ser uma preocupação quando questões logísticas impedem que o tratamento seja aplicado de maneira ideal (médico não

Palavras-chave

Ensaio Clínico como Assunto / análise; Análise de Custo Benefício; Resultado do Tratamento.

Correspondência: Luis C. L. Correia •

Av. Princesa Leopoldina 19/402. CEP 40150-080, Graça, Salvador, BA – Brasil
E-mail: lccorreia@cardiol.br, lccorreia@terra.com.br

DOI: 10.5935/abc.20170084

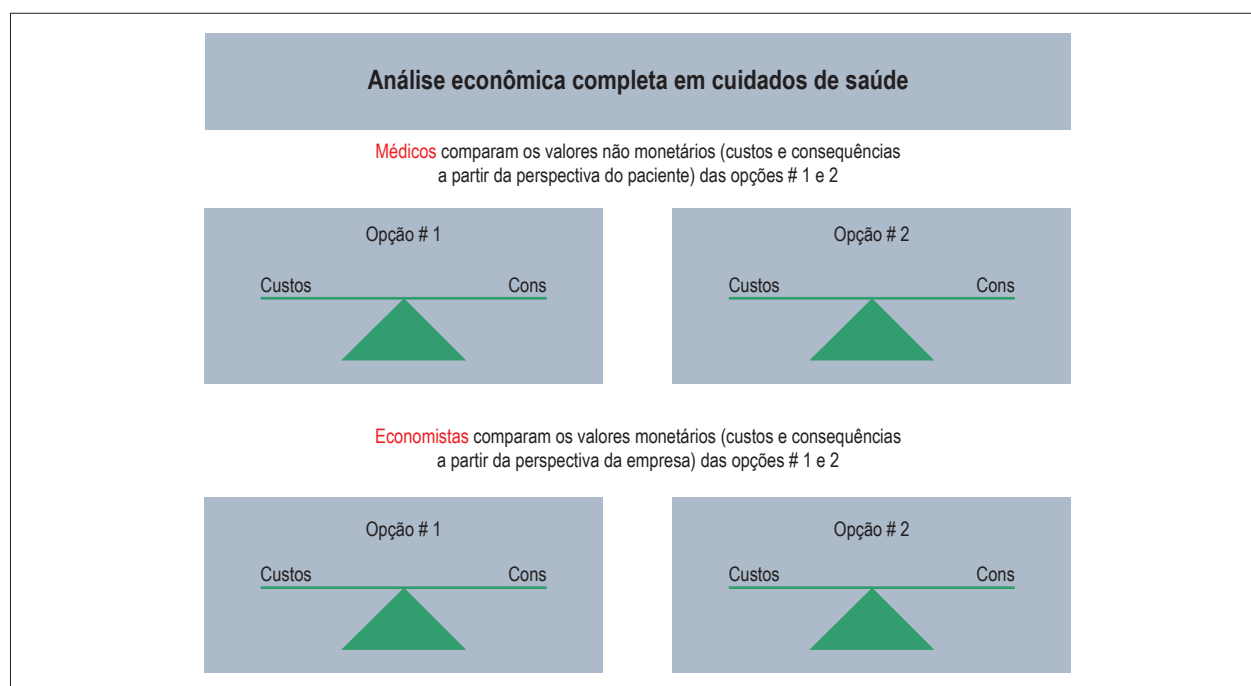


Figura 1 – A análise econômica completa inclui custos e consequências de diferentes opções. Na medicina, há duas partes importantes cujas perspectivas têm que ser consideradas e combinadas: primeiro, a perspectiva individual dos pacientes e seus médicos; e segundo, as perspectivas naturais do paciente com e sem cirurgia.

bem treinado, paciente não suficientemente educado para usar anticoagulantes de maneira adequada, sistema incapaz de fornecer tempo porta-balão adequado em angioplastia primária para infarto do miocárdio agudo), o que tende a ocorrer quando o tratamento é mais complexo. A segunda situação ocorre quando se supõe que a capacidade de escolha de médicos e pacientes decide melhor do que a simples alocação randômica. É típica de situações em que se deve considerar a personalização do risco e do efeito benéfico em uma questão individualizada.

O Verdadeiro estudo de efetividade

Deve-se usar um ensaio pragmático controlado (EPC), e não um ensaio randomizado controlado (ERC), para demonstrar efetividade, pois um ERC não pode refletir as condições de mundo real.³ Para que se entenda a contribuição do EPC para o existente ERC, listamos abaixo as diferenças entre os dois:

- 1) Em um EPC, em vez de randomizados, os pacientes são estratificados em diferentes grupos de risco e tratamento.
- 2) Os fatores que caracterizam os grupos de risco são selecionados antes do início do ensaio para cada desfecho do estudo.
- 3) Um EPC pode investigar múltiplos desfechos primários, como mortalidade, aspectos específicos de qualidade de vida, e custo do cuidado, enquanto um ERC pode investigar apenas um único desfecho primário, mas vários desfechos secundários. Esse desfecho secundário não pode confirmar nem rejeitar a hipótese, mas pode gerar novas hipóteses.
- 4) Em um EPC, os riscos individuais dos pacientes incluídos são conhecidos, mas não em um ERC.

A eficácia observada em um ERC reflete a eficácia média relacionada à combinação dos riscos no grupo investigado. Em um EPC, a efetividade é descrita separadamente para cada desfecho, cada grupo de risco e cada grupo de tratamento.

- 5) Um EPC usa critérios de inclusão, mas não de exclusão, pois um paciente que atenda aos critérios de inclusão não pode ser excluído dos cuidados, que, em condições do mundo real, às vezes podem ser 'aguardar e observar'.
- 6) Um EPC é um estudo descritivo, enquanto um ERC é um estudo explanatório. Não se pode calcular o poder de um estudo descritivo, e nem conhecer prospectivamente o tamanho da amostra, o tamanho do efeito e os erros alfa e beta.
- 7) Um EPC requer aprovação por um comitê de revisão institucional para a coleta sistemática e a publicação dos dados do paciente.
- 8) Um EPC não requer uma análise de intenção de tratar, pois os pacientes não podem mudar a alocação para o grupo de risco mesmo se a estratégia de tratamento for alterada durante o andamento do estudo.
- 9) O cálculo da significância estatística não é necessário para resultados clinicamente irrelevantes. A confirmação estatística de um resultado clinicamente irrelevante é um desperdício de poder estatístico.

A mensagem de base é que há que se considerar a importância das condições de mundo real para se tomar decisões clínicas confiáveis. Os resultados obtidos através de um ERC em condições de mundo ideal são essenciais para

justificar o uso de uma nova intervenção em condições de mundo real. Além disso, necessitamos da efetividade e da eficiência em condições de mundo real para justificar uma nova intervenção em recomendações e diretrizes clínicas.

Não esperamos que as ferramentas descritas desenvolvidas com vários colegas na última década^{4,5} forneçam soluções ótimas, mas que as ferramentas e as estratégias oferecidas desencadeiem uma discussão sobre o desenvolvimento dessa disciplina crescente.

Cegueira para efetividade e uso excessivo

O problema do 'uso excessivo' foi recentemente abordado no *The Lancet* como um dos importantes desafios da

próxima década.^{6,7} Ocorre *uso excessivo* quando testes ou tratamentos inúteis são aplicados, levando a *sobrediagnóstico* ou *sobretreatamento*. O *uso excessivo* acha-se tipicamente relacionado à falta de eficácia. Acreditamos que o conceito de *uso excessivo* deva ser expandido para além da eficácia. Um tratamento eficaz não adequadamente testado quanto a efetividade é também um risco para o *sobretreatamento*. No entanto, os médicos são normalmente cegos para a efetividade, e não realizam testes para ela. Em especial, quando a aplicação do tratamento é complexa, estudos de efetividade devem ser mandatórios para que se evite o *uso excessivo*. No contexto do desenvolvimento da Medicina Baseada em Evidência, a adição de EPCs aos existentes ERCs pode ser um passo importante.

Referências

1. Roland M, Torgersen DJ. Understanding controlled trials. What are pragmatic trials? *BMJ*. 1998;316(7127):285.
2. Haynes B. Can it work? Does it work? Is it worth it? The testing of healthcare interventions is evolving. *BMJ*. 1999;319(7211):652-3.
3. Porzsolt F, Rocha NC, Toledo-Arruda AC, Thomaz TG, Moraes C, Bessa-Guerra TR, et al. Efficacy and effectiveness trials have different goals, use different tools, and generate different messages. *Pragmat Obs Res*. 2015;6:47-54.
4. Porzsolt F, Eisemann M, Habs M. Complementary alternative medicine and traditional scientific medicine should use identical rules to complete clinical trials. *Eur J Integr Med*. 2010;2(1):3-7.
5. Porzsolt F, Eisemann M, Habs M, Wyer P. Form Follows Function: Pragmatic Controlled Trials (PCTs) have to answer different questions and require different designs than Randomized Controlled Trials (RCTs). *Z Gesundh Wiss*. 2013;21(3):307-13.
6. Berwick DM. Avoiding overuse—the next quality frontier. *Lancet*. 2017 Jan 6. [Epub ahead of print].
7. Brownlee S, Chalkidou K, Doust J, Elshaug AG, Glasziou P, Heath I, et al. Evidence for overuse of medical services around the world. *Lancet*. 2017 Jan 6. [Epub ahead of print].