



Curso

Economía de la salud y farmacoeconomía

DISEÑOS DE INVESTIGACIÓN
Selección del diseño
apropiado

Departamento de Epidemiología Clínica y Bioestadística
Pontificia Universidad Javeriana





Fuentes de preguntas de investigación

- Frecuencia
- Factores de riesgo
- Diagnóstico
- Historia natural, curso clínico y pronóstico
- Eficacia, efectividad y eficiencia de intervenciones
- Consecuencias económicas de la enfermedad y su manejo
- Funcionalidad y calidad de vida



Objetivos de un estudio epidemiológico I

Descripción: un grupo de sujetos es estudiado para recolectar datos que permitan resumir información acerca de uno o más atributos de interés

No se busca asociación, ni se infiere causalidad.

Usualmente, el propósito es describir una población objetivo que tiene determinados atributos de interés

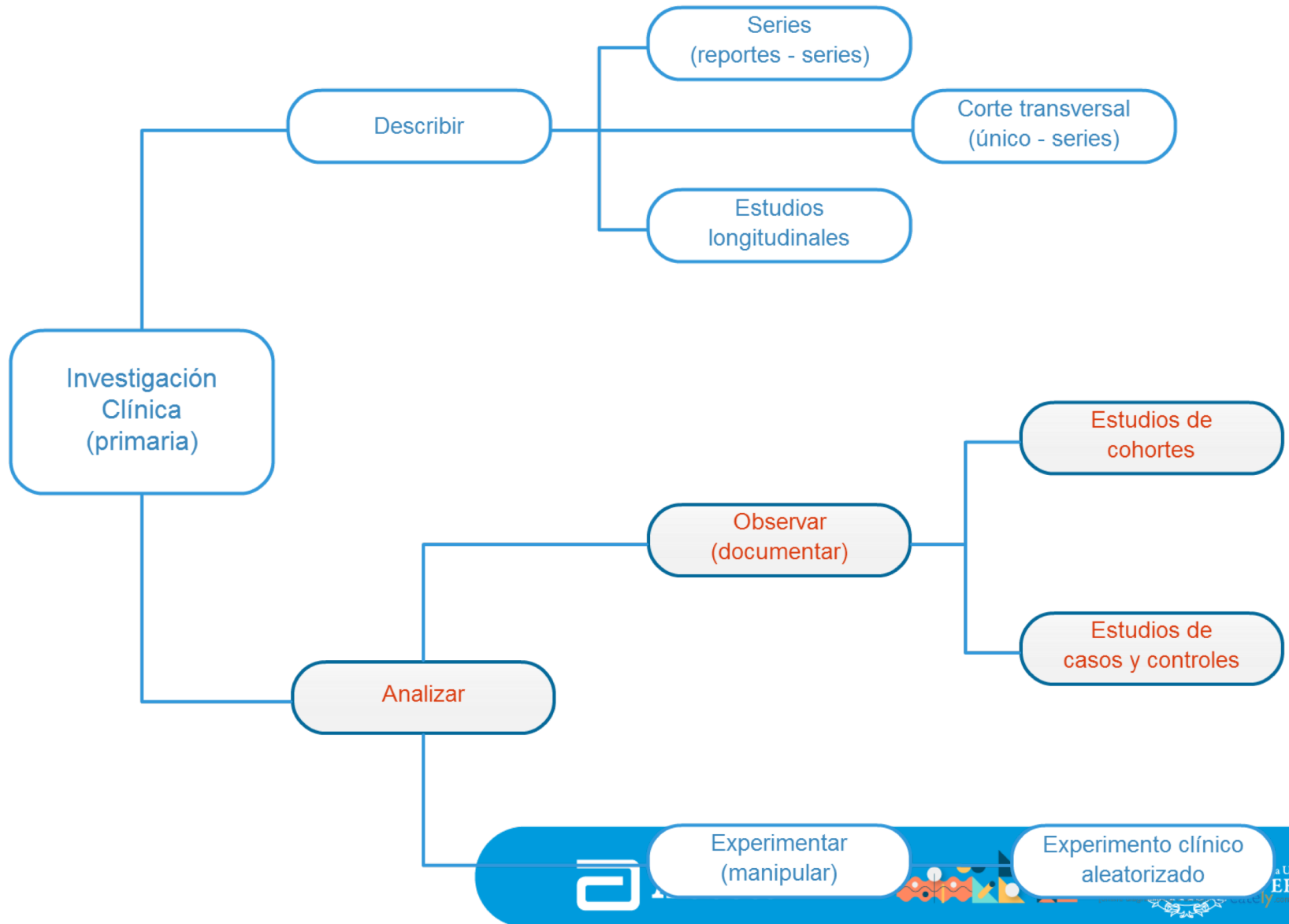


Objetivos de un estudio epidemiológico II

Análisis: uno o más grupos son estudiados con el propósito explícito de generar inferencias a cerca de la asociación entre dos o más variables, de forma particular asociación causa – efecto.

El objetivo principal de la mayoría de los estudios analíticos es la inferencia causal.

Clasificación de los diseños





Estudios observacionales descriptivos

- No permiten establecer relaciones causales
 - “Aparición de la causa vs aparición del efecto”
- Alta probabilidad de sesgos
- Generadores de hipótesis
- No deben usarse para responder preguntas o comprobar hipótesis



Reporte de casos

- Es el tipo de diseño más sencillo en investigación.
- Se limita a describir cuidadosamente un caso observado, en el que no ha habido intervención.
- Útiles en la descripción de enfermedades infrecuentes.
- Fuente de hipótesis, pero no para evaluarlas.



Series de casos

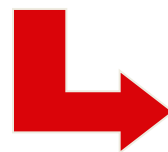
“Descripción de eventos observados en un grupo de pacientes en quienes no ha habido intervención”

- Incluyen pocos sujetos.
- Casos muy seleccionados.
- Ausencia de grupo de comparación.
- Tendencia a mostrar resultados favorables.
- La forma en que la información es obtenida los hace poco fiables.
- Imposibilidad para medir el papel del azar.

Estudios de corte transversal

“Describen una situación en la población en un momento dado”

- Incluyen personas de la población (o una muestra) libres del evento o condición de interés así como personas con la condición de interés.
- Identifican la frecuencia de existencia de una enfermedad en la población.



Estudios de prevalencia

Estudios de corte transversal

Ventajas

- Proporcionan información útil para establecer prioridades de atención.
- Basados en muestras representativas de la población permiten describir frecuencias de características de salud en la población y su asociación con otras variables.
- Generar nuevas hipótesis.

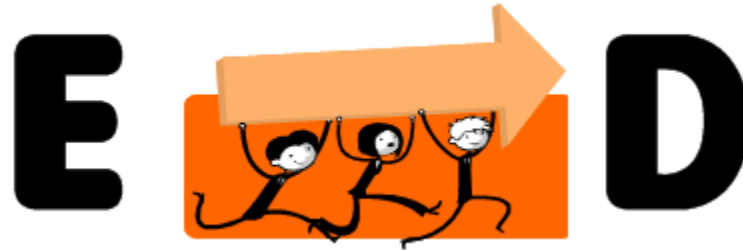


Estudios de corte transversal

Desventajas

- Imposibilidad de separar causa y efecto ¿cuál fue primero?
- Tasas de prevalencia pueden verse alteradas por varios factores.
- Poca utilidad en casos raros, enfermedades de corta duración o recurrentes

Estudios observacionales analíticos



★ **Dependiente** (desenlace):

Objeto de interés que varía en respuesta a alguna intervención o exposición.

★ **Independiente** (de exposición):

Es la intervención que se está aplicando o la exposición en la que se está interesado.



EXPOSICIÓN

- ◆ Factor causal putativo, o efector que el investigador considera como responsable (o al menos en parte) de un desenlace en estudio.
- ◆ Puede ser:
 - ◆ Una exposición natural
 - ◆ Una característica intrínseca de los sujetos
 - ◆ Una práctica o exposición que los sujetos han seleccionado por si mismos
 - ◆ El tratamiento prescrito por el médico a un paciente
 - ◆ Un tratamiento impuesto por el investigador
- ◆ La exposición puede ser activa o pasiva.



DESENLACE

- ◆ Efecto que el investigador cree que la exposición puede causar.
- ◆ Puede ser:
 - ◆ La muerte
 - ◆ La aparición de otro estado de salud o enfermedad o su prevención
 - ◆ El alivio de alguna condición clínica o, la reducción del dolor, ansiedad o malestar generados por alguna intervención quirúrgica.
 - ◆ El cambio en la funcionalidad y calidad de vida con un tratamiento determinado.



¿Qué es una cohorte?

- 👤 Grupo de personas derivadas de la población de estudio que comparten una experiencia común o condición y en quienes el desenlace es desconocido al inicio del estudio
- 👤 El investigador *observa* el estatus de exposición, el cual ocurre “naturalmente”

No expuestos



Expuestos



Mecanismo de asignación desconocido

Relación temporal diferenciada

Mecanismo de aparición confirmado



T₀

T₁



Panorámica: Estudios de cohortes

- 👤 Proveen información para estimar la *incidencia* de un desenlace particular
- 👤 Incluyen, al menos, un grupo de comparación formal
- 👤 Disocian, temporalmente, la exposición del desenlace
- 👤 Constituyen una de las fuentes de evidencia de causalidad



Ventajas de los estudios de cohorte

- ‡ Permiten el estudio de múltiples desenlaces asociados a la exposición de interés
- ‡ Habilidad para discriminar relaciones temporales
- ‡ Siguen la lógica clínica
- ‡ Evitan los sesgos de identificación de desenlaces
- ‡ Permiten realizar farmacovigilancia y seguimiento de mercadeo de medicamentos



Desventajas de los estudios de cohorte

- ✎ Está sujeto a factores de confusión
- ✎ Inhabilidad para examinar desenlaces que son raros o que tienen latencias prolongadas
- ✎ Son costosos
- ✎ Requieren tamaños de muestra altos
- ✎ Permiten evaluar pocos factores (de riesgo o pronósticos) de forma simultánea



Factor de riesgo

Condicionan la probabilidad de presentar una enfermedad determinada.

Factor pronóstico

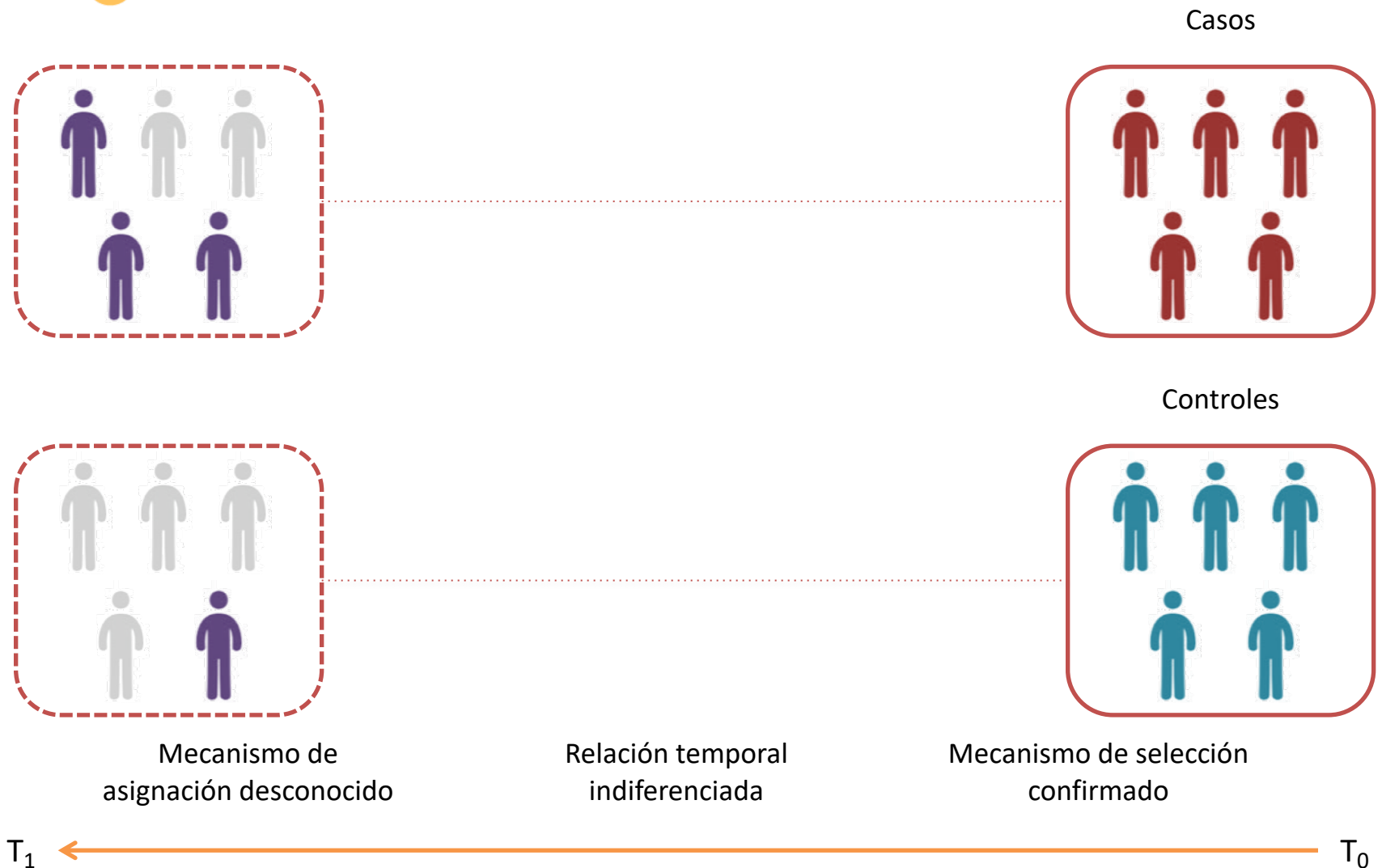
Predicen el curso clínico de un padecimiento una vez que la enfermedad esta presente.



Panorámica: Estudios de casos y controles

- ‡ Incluyen, al menos, un grupo de comparación formal
- ‡ La determinación del estado de exposición es histórica
- ‡ Los sujetos se seleccionan de acuerdo a su estatus de desenlace
- ‡ Estiman el riesgo de manera indirecta

Estudios de casos y controles





Indicaciones para conducir un estudio de casos y controles

- 👤 Cuando hay evidencia de la existencia de la exposición y del desenlace
- 👤 Cuando el desenlace es infrecuente o la latencia es larga, sin importar la frecuencia de la exposición
- 👤 Cuando se cuenta con información válida y confiable para evaluar la presencia del desenlace y estimar la presencia de la exposición
- 👤 Cuando los recursos son limitados



Ventajas de los estudios de casos y controles

- ‡ Obvian la rareza de las enfermedades
- ‡ Obvian las latencias largas en estudios de pronóstico
- ‡ Permiten el estudio de múltiples exposiciones probablemente asociadas con un mismo desenlace
- ‡ Relativamente económicos



Desventajas de los estudios de casos y controles

- 👤 No permiten determinar la incidencia del desenlace
- 👤 No determinan causalidad debido a la incapacidad de disociar temporalmente exposición y desenlace
- 👤 Son susceptibles a sesgos de:
 - 👤 Selección
 - 👤 Memoria
 - 👤 Búsqueda

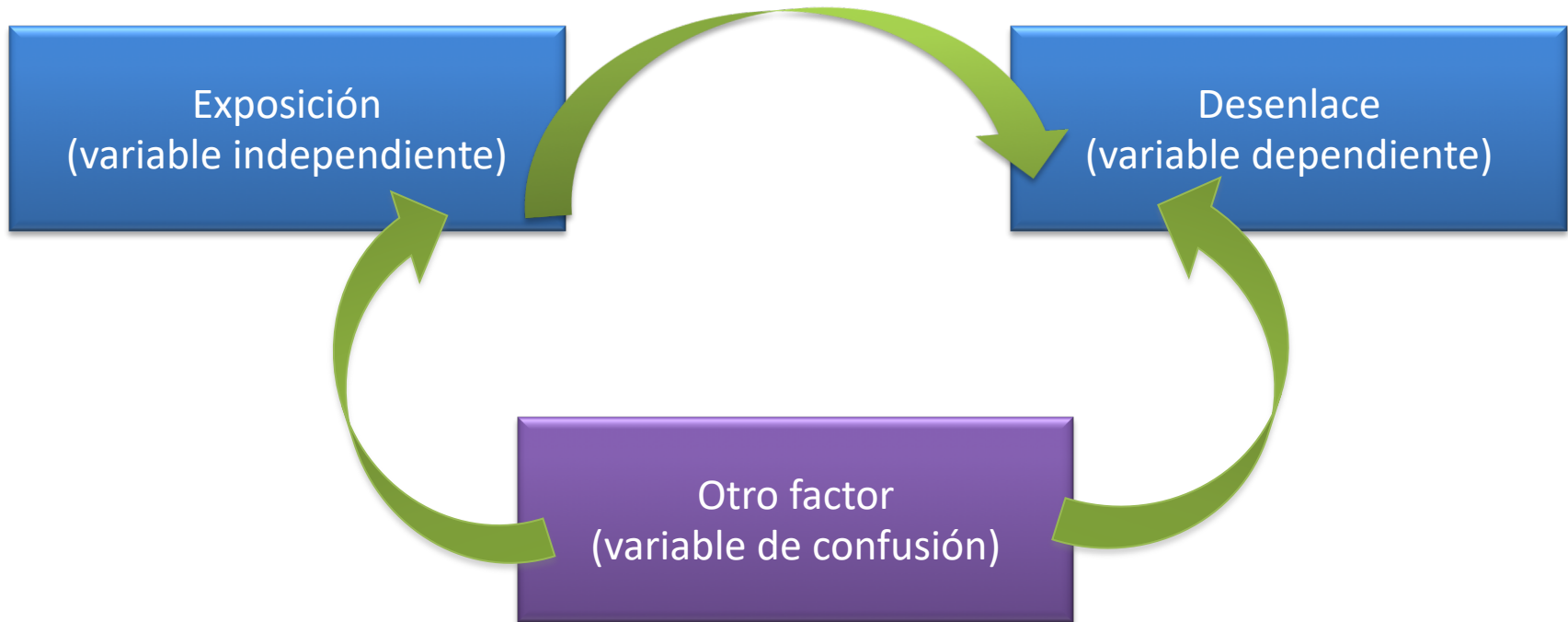


Predecir o explicar: Relaciones entre variables

- Variable de exposición
- Variable de desenlace
- Variable de confusión
- Modificador de efecto
- Variable interviniente

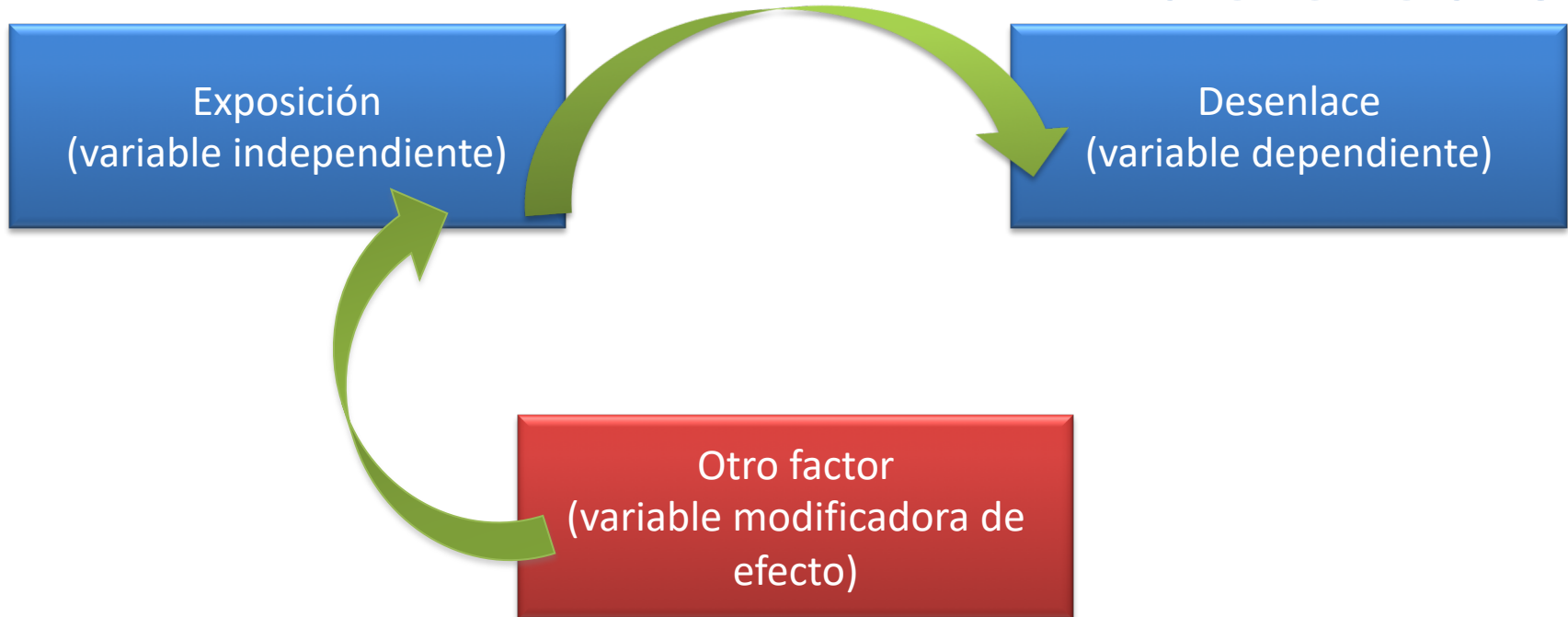


Variable de Confusión



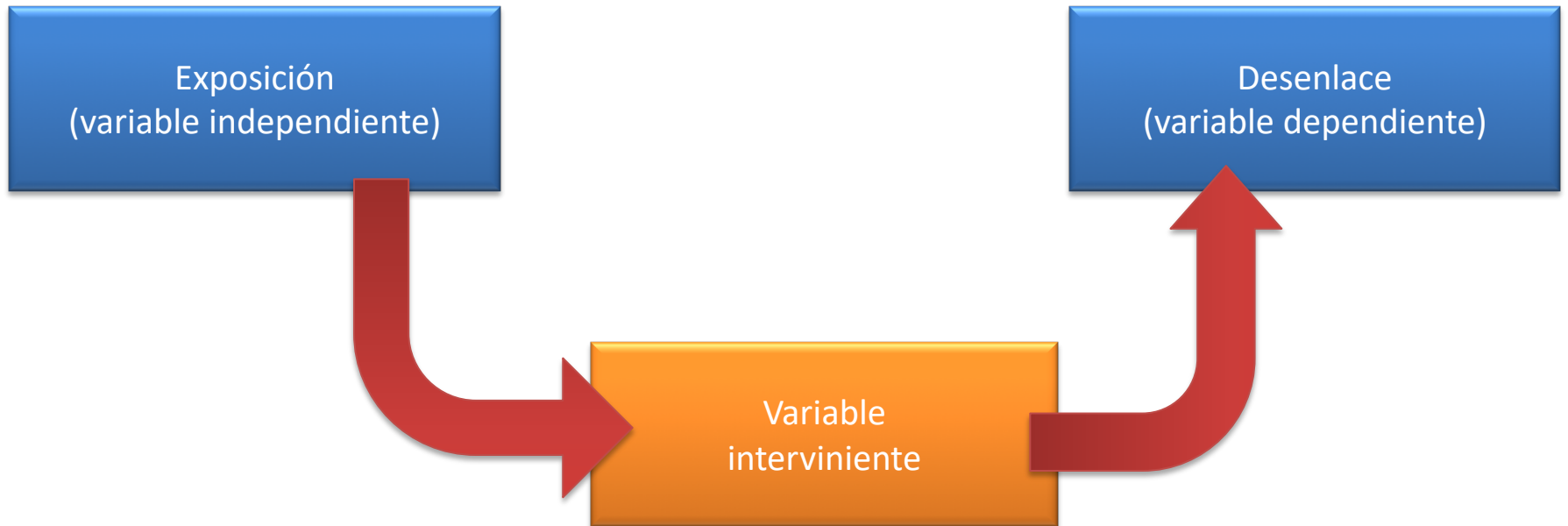
Adaptado de: <https://explorable.com/es/tercera-variable>

Variable modificadora de efecto



- El efecto es diferente en magnitud que la suma algebraica de los efectos de los factores que interactúan

Variable interviniente





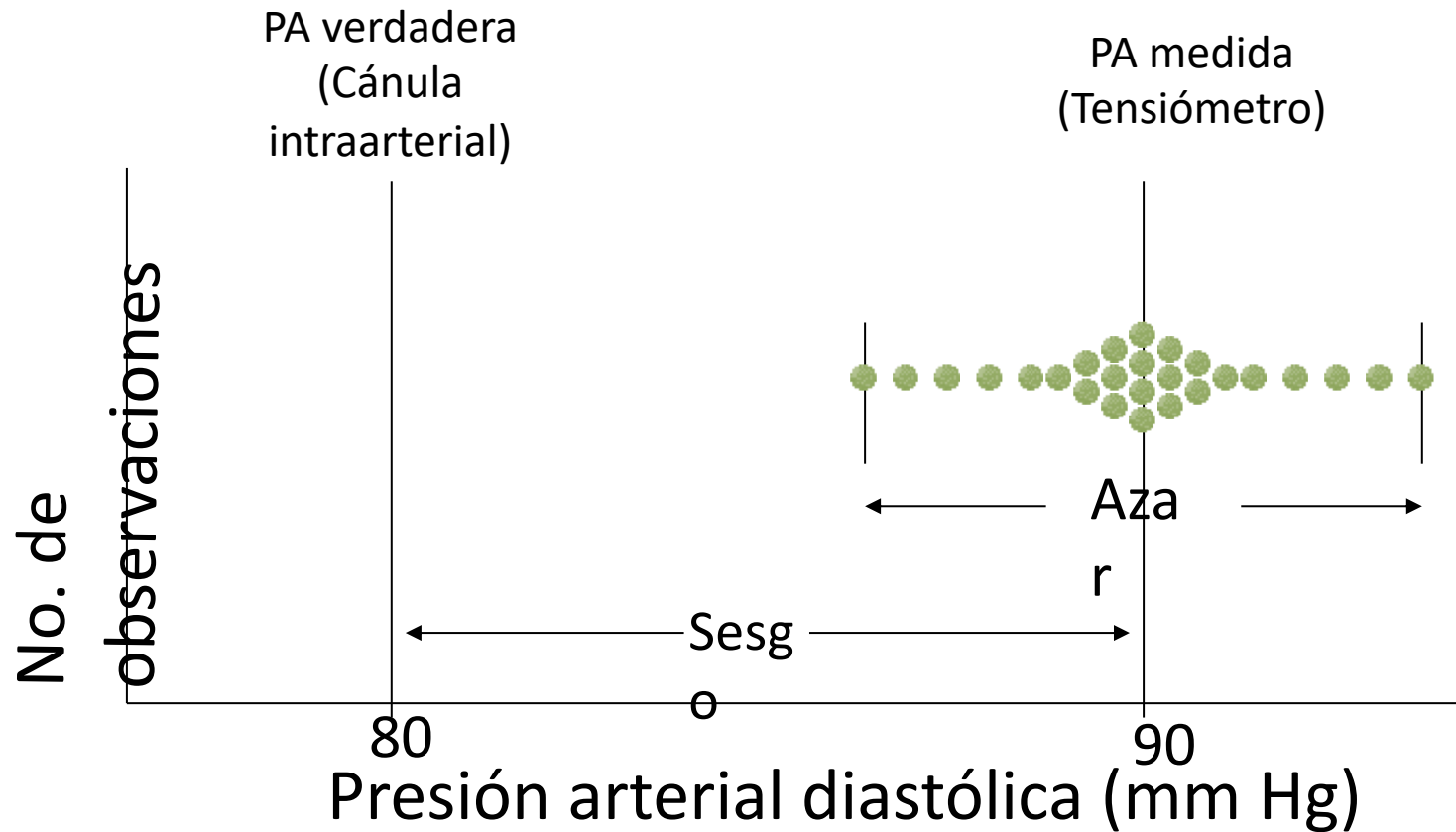
Fuentes de variabilidad

Error: cualquier falsedad o error en los resultados de un estudio.

1. Error aleatorio (azar): las observaciones del estudio difieren de la verdad por efecto del azar

2. Error sistemático (sesgo): las observaciones del estudio difieren de la verdad de manera sistemática

Relación entre error aleatorio y sesgo



Tomado de: Fletcher RH et al. Clinical Epidemiology : The Essentials – 3rd ed.

Relación entre error aleatorio y sesgo



Sesgo



Azar



Sesgo
y azar



Sin sesgo
ni azar

Adaptado de: <https://explorable.com/validity-and-reliability>