



**PRÓLOGO: UN VISTAZO A  
LA INVESTIGACIÓN DE RESULTADOS  
EN TÉRMINOS DE SALUD**

MIGUEL ÁNGEL CALLEJA y FÉLIX LOBO



En 1913 Ernst **Codman**, un cirujano de Massachusetts, escribió que los hospitales informaban sobre el número de pacientes tratados, pero no indicaban si el tratamiento les había resultado beneficioso. Sostuvo que los hospitales deberían informar sobre los resultados de sus tratamientos de forma armonizada, para permitir comparaciones entre ellos. Incluso sugirió que todos los aspectos de la asistencia hospitalaria deberían ser evaluados para garantizar que producían efectos favorables (Jefford, Stockler y Tattersall, 2003). Codman fue una voz pionera de una visión que se consolidaría en el último tercio del siglo XX.

El término “resultado” (*outcome*, en inglés) fue consagrado por **Donabedian** en el marco de sus decisivas contribuciones al análisis y medida de la calidad de los servicios sanitarios. En particular, la aplicación con este fin de la trilogía “estructura”, “proceso”, “resultado”, supuso un nuevo paradigma para la evaluación de la calidad (Donabedian, 1966). Mientras que ciertos resultados, como la muerte, son fácilmente reconocibles y medibles, llamó la atención sobre la dificultad de definir y medir otros. Entre estos últimos incluía las actitudes y satisfacción de los pacientes, la reinserción social, la discapacidad física y la rehabilitación. Pero subrayó que los resultados en términos de salud de los pacientes deben ser siempre vistos como la dimensión fundamental para validar la efectividad y la calidad de la atención médica (Jefford, Stockler y Tattersall, 2003). Por eso, las medidas de estructura y de proceso resultan insuficientes.

En el Reino Unido, a mediados de los años setenta del pasado siglo, **Allan Williams** un profesor de Economía de la Universidad de York, que había empezado a investigar y trabajar en Economía de la Salud para el Ministerio de Sanidad británico y el NHS, buscaba procedimientos y medidas que permitieran evaluar las intervenciones sanitarias y establecer prioridades entre ellas para mejorar la eficiencia del sistema. En esa época conoció y empezó a trabajar con Rachel Rosser, una psiquiatra que se había planteado cómo medir el resultado de las hospitalizaciones en su especialidad. Esta fertilización cruzada entre profesionales de muy distintas disciplinas le llevó a “diseñar una medida de la efectividad del NHS centrada en el valor intrínseco de la salud como un bien por sus propios méritos, y no sólo porque permite a la gente mejorar su contribución al bienestar de la sociedad (especialmente al mantener su productividad), lo que suponía apartarse de la teoría del capital humano” (Williams, 2005; Sugden, 2007) fructífera en otras áreas. Así, se inscribía en una corriente de investigación –con Fanshel, Bush, Culyer, Torrance...– que desde principios de los setenta estaba avanzando vigorosamente en el diseño de medidas objetivas, basadas en datos y encuestas, de los estados de salud (Sugden,

2007). En 1985 publica su artículo seminal en el *British Medical Journal* sobre la economía de la revascularización de arteria coronaria, en el que utiliza por primera vez, de forma explícita y completa, el Año de Vida Ajustado por Calidad (AVAC o QALY por sus siglas en inglés) para evaluar la eficiencia de este procedimiento quirúrgico frente a otras intervenciones (Williams, 1985; MacKillop y Sheard, 2018). El AVAC, que combina tiempo y calidad de vida, es seguramente la medida genérica por excelencia de los resultados en salud.

En los EE. UU. los estudios sobre variaciones del ejercicio de la medicina en áreas pequeñas desempeñaron un papel fundamental en el movimiento hacia la evaluación de resultados en salud (Wennberg y Gittelsohn, 1973). Ante estas variaciones Wennberg se preguntó: ¿cuál es la tasa correcta de intervenciones médicas en un determinado segmento poblacional? ¿Cuál es la que lleva a mejores resultados para los pacientes? Para un determinado paciente aquejado de una enfermedad concreta algún tipo de operación tiene que ser más efectivo que otro. A partir de 1987 Wennberg fue becado por el National Center for Health Services Research and Health Care Technology Assessment (NCHSR) del Gobierno de los EE. UU. (Salive, Mayfield y Weissman, 1990) para estudiar estas cuestiones no resueltas sobre efectividad y resultados en salud. “Estos estudios demostraron la viabilidad y la productividad de conformar equipos multidisciplinares dirigidos a explorar territorios dominados por la incertidumbre utilizando la investigación de resultados en términos de salud” (Salive, Mayfield y Weissman, 1990).

La **Agency for Health Care Policy and Research (AHCPR)** sucedió en 1989 al NCHSR. La agencia desarrolló los *Patient Outcomes Research Teams (PORTs)*, encargados de estudiar la efectividad de los tratamientos, bajo la óptica de los resultados en términos de salud relevantes para los pacientes, en distintas enfermedades (inicialmente infarto agudo de miocardio, hiperplasia benigna de próstata, carcinoma invasivo local de próstata, dolor de espalda y cataratas). Los hallazgos de estos trabajos (por ejemplo, que ciertas operaciones de espalda o algunos medicamentos no eran efectivos) ocasionaron gran polémica. La agencia fue obligada a cambiar de orientación hacia derroteros menos conflictivos con los intereses creados. “La AHCPR cambió fundamentalmente el significado político de la Investigación de Servicios de Salud, transformándola desde una oscura actividad de interés sólo para un pequeño grupo, en una actividad visible y potencialmente importante que puede afectar a temas políticamente controvertidos” (Gray, Gusmano y Collins, 2003). Más en concreto sus directivos abogaron muy tempranamente por tener en cuenta las preferencias de los pacientes y la calidad de vida relacionada con la salud (Clancy y Eisenberg, 1998).

La relevancia de la investigación de resultados en salud se ha consagrado plenamente al ser adoptada como el enfoque más prometedor en el área de la gestión de servicios sanitarios por uno de los más destacados y conocidos profesores de Economía de la empresa y de las escuelas de negocios. Las siguientes palabras de **Porter** han sido citadas innumerables veces: “El objetivo general y predominante de los servicios sanitarios debería ser lograr un valor elevado para los pacientes, enten-

diendo por valor los resultados en salud obtenidos por unidad monetaria empleada. Este objetivo es el que importa a los pacientes y el que aúna los intereses de todos los actores del sistema. Si se incrementa el valor generado, pacientes, financiadores, clínicos y proveedores se benefician todos y mejora la sostenibilidad económica del sistema” (Porter y Teisberg, 2006; Porter, 2010).

Volviendo otra vez la vista hacia el Reino Unido, vemos cómo la institución más influyente en el mundo en el campo de la evaluación de tecnologías e intervenciones sanitarias, el National Institute for Health and Clinical Excellence (**NICE**), define hoy su misión en su página web por referencia a los resultados en términos de salud de interés para los pacientes: “¿Qué hacemos? La misión del NICE es mejorar los resultados para la gente, utilizando el NHS y otros servicios de salud pública y los servicios sociales” (National Institute for Health and Clinical Excellence, 2020). En la guía de métodos para la evaluación de tecnologías vigente, el segundo principio fundamental es que “una tecnología se considera clínicamente efectiva si en el ejercicio clínico normal proporciona un beneficio en salud, teniendo en cuenta cualquier efecto dañino y los costes de oportunidad”. En el caso base la perspectiva a considerar para los resultados es incluir “todos los efectos sobre la salud, de los pacientes o de los cuidadores”. “Se expresarán en AVACS y el EQ-5D será la medida preferida de la calidad de vida relacionada con la salud en adultos” (National Institute for Health and Clinical Excellence, 2018, pp. 14 y 32).

Estos desarrollos están directamente relacionados con un ámbito de investigación y estudio que se denomina **Investigación de los Resultados en términos de Salud (IRS)**. Es una metodología que identifica y mide la relación entre tratamientos o intervenciones y los resultados realmente obtenidos. De forma simple nos ayuda a determinar qué funciona y qué no funciona en el ámbito de la asistencia sanitaria (Ellis, 2015). El crecimiento de este enfoque responde a la tendencia hacia modelos de asistencia sanitaria y ejercicio de la medicina que desplazan su centro de gravedad desde los clínicos hacia el paciente y que permiten valorar mejor la responsabilidad de los servicios y los profesionales sanitarios frente a sus enfermos. Las tecnologías de la información, la disponibilidad de grandes bases de datos y la informatización de historias clínicas y registros administrativos han facilitado mucho el desarrollo de la IRS.

Es interesante señalar los paralelismos y diferencias entre IRS y **ensayos clínicos**. Estos consideran únicamente datos concretos, en un marco metodológico muy estricto, para determinar la eficacia de intervenciones específicas, mientras que la IRS adopta un punto de vista más amplio que incorpora resultados clínicos, impactos financieros y todo un abanico de medidas funcionales, incluyendo calidad de vida y satisfacción reportados por los pacientes. Sus datos provienen de una variedad de fuentes y metodologías: historias clínicas, bases de datos de entes financiadores, cuestionarios de pacientes, etc. Así, puede proporcionar orientaciones en relación con un conjunto de intervenciones y decisiones más amplio que los que consideran los ensayos clínicos. Estos primariamente tratan de fundamentar decisiones clínicas, mientras que la IRS se dirige a sustentar decisiones de política

de salud. La IRS tiende a centrarse en las condiciones de uso habitual, en el ejercicio diario de los cuidados de salud, con datos del mundo real, para determinar su efectividad clínica, por contraposición a los ensayos clínicos que se basan en diseños experimentales “de laboratorio”. Por tanto, son diferentes, pero no compiten sino que se complementan (Jefford, Stockler y Tattersall, 2003; Soto Álvarez, 2005; Ellis, 2015).

Después de la evolución que ha experimentado la Investigación de Servicios de Salud y de Resultados en términos de salud hoy nos parece obvio que se proclame que el objetivo de la asistencia sanitaria, los medicamentos, y otras tecnologías, los programas de prevención y, en general, las intervenciones sanitarias, es mejorar la salud de los pacientes o de las poblaciones, según corresponda una perspectiva individual, clínica, o una perspectiva poblacional, epidemiológica. Por otro lado, desde el punto de vista de la calidad de la asistencia sanitaria, también hemos aprendido que “las medidas de calidad basadas en variables de estructura o de proceso, se revelaron insuficientes. Por ejemplo, pueden incrementar procesos asistenciales que no mejoran los resultados últimos. “Si queremos mejorar los resultados de la asistencia sanitaria necesitamos medirlos directamente en términos de mortalidad, discapacidad y calidad de vida, mejor que medir las variables referidas a la estructura o al proceso de la asistencia” (Salive, Mayfield y Weissman, 1990).

Pero la salud no es una variable directamente observable y por eso se plantean los conocidos problemas de definir qué se entiende por salud y resultados en salud y decidir qué variables utilizar para medirlos. También, muchas veces, hay que preguntarse quiénes han de ser las personas destinatarias de tales intervenciones o tecnologías.

Para solucionar estos problemas es muy importante la distinción entre **medidas** de resultados o de efectos en términos de salud **intermedias** y **finales**. Las medidas intermedias (como nivel de glucosa, de colesterol o presión sanguínea), no reflejan resultados finales en términos de salud, sino que son parámetros fisiológicos que pueden tener relación con ella. Las variables intermedias sin duda son importantes para calificar las mejoras que una determinada intervención genera respecto de otras. Pero para conocer su impacto sobre la salud misma es necesario probar que están relacionadas con las variables del resultado final. Entre estas variables de resultado final es tradicional distinguir entre medidas **unidimensionales** (por ejemplo mortalidad, supervivencia, años de vida ganados, años de vida ajustados por calidad...) y medidas multidimensionales (que tratan de caracterizar y cuantificar un conjunto más o menos amplio de atributos de la salud). Estas últimas pueden ser **genéricas** (aplicables a todas las personas) o **específicas** de una enfermedad o afección determinada. Una medida genérica tiene la ventaja fundamental de que nos permite comparar entre distintas decisiones o cursos de acción, de modo que hace posible apreciar el coste de oportunidad de elegir una frente a otras posibles. Naturalmente las medidas genéricas, tienen limitaciones porque no dejan de ser una simplificación (Drummond *et al.*, 2015).

La Investigación de resultados en Salud abarca tanto los **resultados clínicos** (efectividad clínica), como los **humanísticos** (calidad de vida, nivel de satisfacción, estado de salud y preferencias de los pacientes), económicos (eficiencia e impacto presupuestario) y de **gestión sanitaria** (calidad asistencial, desempeño de los servicios y del sistema). Las dos primeras categorías serían las que más directamente atraen la atención de la perspectiva de los resultados en salud. Pero no cabe duda de que, indirectamente, unos resultados económicos y de gestión sanitaria positivos abren más oportunidades para conseguir mejores resultados directos en términos de salud y para más pacientes.

Desde hace unos años, estamos debatiendo sobre los resultados en salud y aunque se ha avanzado mucho, es aún mucho lo que tenemos que mejorar. Es habitual que ante la adquisición de cualquier tecnología o de un medicamento realicemos una evaluación para valorar su eficiencia y su adecuado posicionamiento terapéutico antes de su uso. Pero no es tan habitual que los resultados en los pacientes en los que los hemos aplicado sean reevaluados de una forma agregada y comparativa con los resultados de los ensayos clínicos que permitieron su aprobación. Los resultados en salud en vida real son fundamentales y nuestro sistema requiere un cambio y transformación completa para reorientarse hacia ellos. Necesitamos que se consolide la cultura de reevaluación de los resultados en salud pero, ¿qué resultados? ¿Cómo y cuando medirlos? ¿Solamente clínicos o también percibidos por el paciente? ¿Cuáles son los específicos de cada patología?

El objetivo de este libro es, precisamente, estudiar, con el enfoque de la IRS, todas estas interrogantes y darles respuesta. Para ello, el libro se estructura de la siguiente manera. Un primer capítulo introductorio expone la necesidad de la evaluación de resultados en términos de salud, sus tipos y los distintos diseños de los estudios, así como las tareas pendientes y las oportunidades que se plantean al respecto en España. Los tres capítulos siguientes examinan el tema desde las tres perspectivas de observación posibles: clínicos, pacientes y terceros observadores. El capítulo cinco se dedica a los problemas de la incorporación de medidas de resultados en salud en los estudios de evaluación económica y el sexto ofrece una síntesis de las técnicas estadísticas relevantes. El séptimo capítulo ofrece un resumen de los métodos disponibles para obtener resultados en salud en el mundo real. Desde el capítulo octavo hasta el diecisiete se detallan las medidas y métodos utilizados en distintos grupos de patologías: enfermedades infecciosas, infección por HIV, hepatitis C crónica, reumatología, dermatología, aparato digestivo, incluyendo enfermedad inflamatoria intestinal e intestino irritable, esclerosis múltiple, oncología con especial atención a la compleja pregunta del beneficio clínico en esta área, hematología y patología cardiovascular. Las enfermedades raras son objeto de atención en el capítulo dieciocho, y el diecinueve se dedica a la medición de resultados en términos de salud cuando los pacientes son niños y adolescentes.

Finalmente debemos felicitar a los autores por sus extraordinarias aportaciones, por haber sido capaces de sintetizar una temática compleja, por hacer accesibles los conceptos más importantes y por hacernos comprender qué son los

resultados en salud, cómo y cuándo se miden y cuáles deben medirse en cada patología concreta. Con este esfuerzo sin duda contribuirán a mejorar nuestro sistema sanitario. Esperamos que el libro resulte útil a los lectores y puedan aplicarlo en sus diferentes entornos asistenciales, docentes e investigadores.

## ■ REFERENCIAS

- CLANCY, C. C. y EISENBERG, J. M. (1998). Outcomes Research: measuring the end results of health care. *Science*, vol. 282, pp. 245-246. Disponible en: <https://www.semanticscholar.org/paper/Outcomes-Research%3A-Measuring-the-End-Results-of-Clancy-Eisenberg/4802aaae5ba43a4e7ac8a08f637b1b144f628e54>
- DONABEDIAN, A. (1966). Evaluating the quality of medical care. *Milbank Memorial Fund Quarterly*, 44, pp. 166-206.
- DRUMMOND, M. F., SCULPHER, M. J., CLAXTON, K., STODDART, G. L. y TORRANCE, G. W. (2015). *Methods for the economic evaluation of health care programs*, 4ª ed. Oxford: Oxford University Press.
- ELLIS, L. (2015). Using Health Outcomes Research to improve quality of care. Harvard T. H. Chan School of Public Health. Courses. Harvard University. Disponible en: <https://www.hsph.harvard.edu/ecpe/using-health-outcomes-research-to-improve-quality-of-care/>
- GRAY, B. H., GUSMANO, M. K. y COLLINS, S. R. (2003). AHCPR and the changing politics of Health Services Research. *Health Affairs*, 25, W3 283-307. Disponible en: <https://www.healthaffairs.org/doi/pdf/10.1377/hlthaff.W3.283>
- JEFFORD, M., STOCKLER, M. R. y TATTERSALL, M. H. N. (2003). Outcomes research: What is it and why does it matter? *Internal Medicine Journal*, 33, pp. 110-118.
- MACKILLOP, E. y SHEARD, S. (2018). Quantifying life: Understanding the history of Quality-Adjusted Life-Years (QALYs). *Social Science and Medicine*, 211, pp. 359-366. Disponible en: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6079188/pdf/main.pdf>
- NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CLINICAL EXCELLENCE (NICE). (2018). *Guide to the methods of technology appraisal 2013. Process and methods*. Publicado el 13 de abril de 2013. Disponible en: <https://www.nice.org.uk/process/pmg9>. <https://www.nice.org.uk/process/pmg9/resources/guide-to-the-methods-of-technology-appraisal-2013-pdf-2007975843781>
- (2020). *What we do?* Disponible en: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do>
- PORTER, M. E. (2010). What is value in health care? *New England Journal of Medicine*, 23. Disponible en: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/nejmp1011024>
- PORTER, M. E. y TEISBERG, E. O. (2006). *Redefining healthcare: creating value-based competition on results*. Boston, EE.UU. : Harvard Business School Press.
- SALIVE, M. E., MAYFIELD, J. A. y WEISSMAN, N. W. (1990). Patient Outcomes Research Teams and the Agency for Health Care Policy and Research. *Health Services Research*, 25(5).
- SOTO ÁLVAREZ, J. (2005). Investigación de Resultados en Salud: El conocimiento del valor terapéutico añadido de los medicamentos. *Pharmacoeconomics – Spanish Research Articles*, 2(3), pp. 111-115.
- SUGDEN, R. (2007). Alan Harold Williams (Obituary). *Proceedings of the British Academy*, 150, pp. 313-331. Londres: The British Academy.

- WENNBERG, J. y GITTELSON, A. (1973). Small area variations in health care delivery. *Science*, 182, pp. 1102-1108.
- WILLIAMS, A. (1985). The Economics of coronary artery bypass grafting. *British Medical Journal*, 291, pp. 326-329.
- (2005). Discovering the QALY. Or how Rachel Rosser changed my life. En: A. OLIVER (ed.). *Personal histories in health research. The Nuffield Trust* (pp. 191-206). Londres. Disponible en: <https://www.york.ac.uk/media/che/documents/Williams%20on%20discovering%20the%20QALY.pdf>