

**EPI
2008**



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia



EPIDEMIOLOGIA E AVALIAÇÃO DE PROGRAMAS: DESAFIOS METODOLÓGICOS EM DANT

Iná S.Santos
Univ. Fed. Pelotas



DESAFIOS EM AVALIAÇÃO DE PROGRAMAS

- Aceitar que ensaios randomizados não são os delineamentos de primeira escolha
- Identificar a cadeia lógica através da qual a intervenção produz seu efeito
- Construir indicadores que expressem os passos da cadeia lógica
- Compatibilizar unidade amostral e unidade de análise nos estudos de avaliação

Aceitar que ensaios randomizados não são os delineamentos de primeira escolha

Victora et al. Evidence-based Public Health: moving beyond randomized trials. Am J Public Health 2004;94(3):400-405

Habicht JP et al. Evaluation designs for adequacy, plausibility and probability of public health programme performance and impact. Intern J Epidemiology 1999;28:10-18

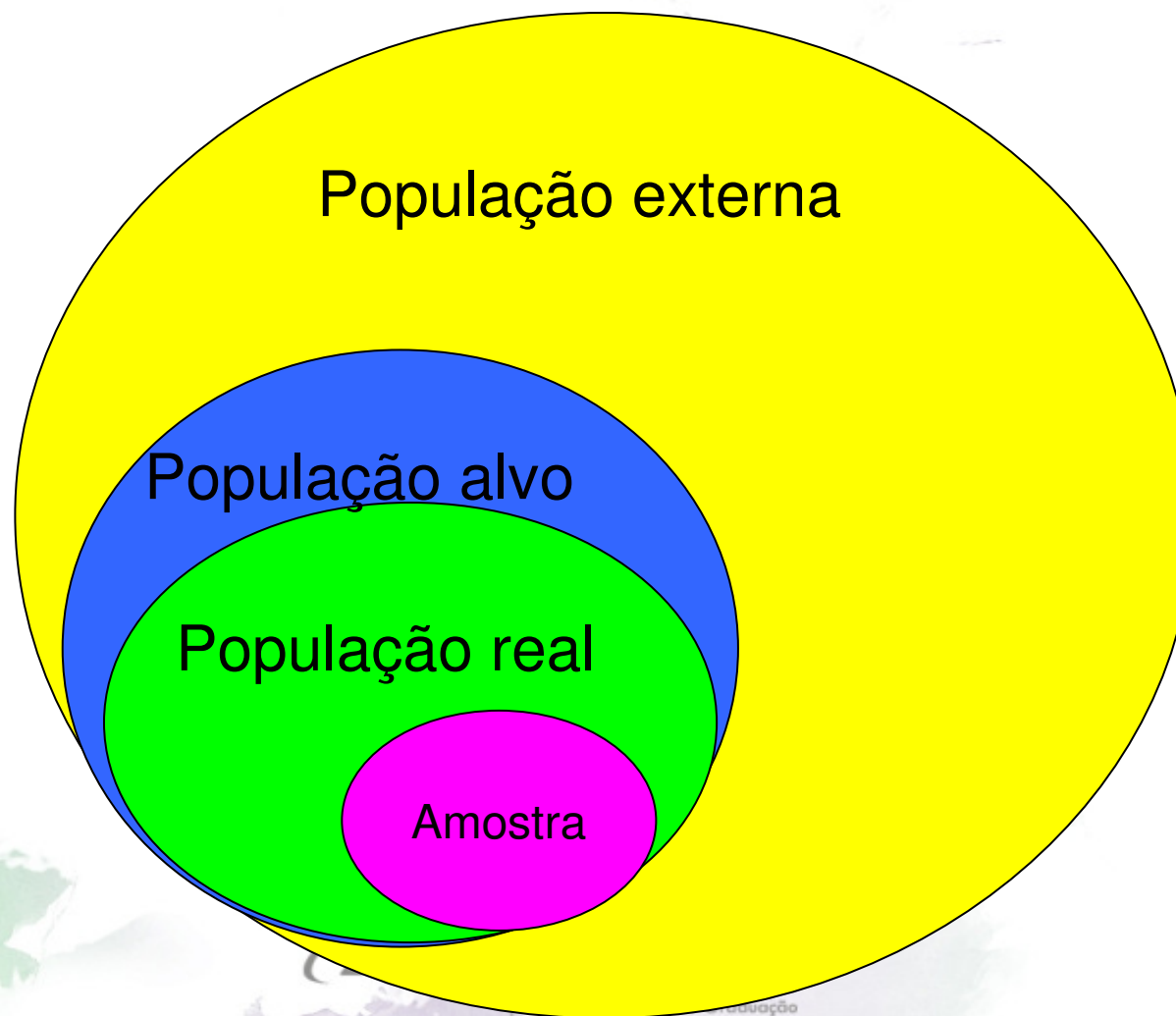


Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Tipos de evidência epidemiológica para a Saúde Pública

Tipo de evidência	Tipo de estudo epidemiológico
Frequência de doenças	Descritivo
Frequência de exposições	Descritivo
Associação entre exposição/doença	Experimental (ou observacional)
Cobertura de intervenções	Descritivo
Eficácia de intervenções	Experimental (ou observacional)
Efetividade de programas	Observacional

Validade: interna e externa



Validade

- Validade interna
 - Os resultados do estudo são verdadeiros para a população alvo?
 - Há erros que afetam os achados do estudo?
 - Erro sistemático (viés, confusão)
 - Erro aleatório (precisão)
- Validade externa
 - Generalização
 - Os resultados do estudo são aplicáveis em outros locais?

EPI
2008

Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Validade

- Validade interna
 - Pode ser julgada com base na metodologia do estudo

- Validade externa
 - Requer um “julgamento de valor”

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Ensaio Randomizado Controlado (RCT)

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Validade interna em RCT

Comparabilidade entre	RCT	Viés prevenido
Populações	Randomização	Viés de seleção
Observações	Cegamento	Viés de informação
Efeitos	Uso de placebo	Efeito Hawthorne Efeito placebo

RCTs são o padrão-ouro em validade interna

RCT (Cochrane Collaboration)

- Os participantes são alocados aleatoriamente para receber o tratamento experimental e o tratamento controle
- Quando um RCT é conduzido adequadamente, o efeito do tratamento pode ser estudado em grupos de pessoas muito semelhantes tratadas da mesma maneira, exceto pela intervenção em estudo
- Quaisquer diferenças observadas entre os grupos, ao final do estudo, poderão ser atribuídas à diferença no tratamento apenas e não a vieses ou ao acaso

Ensaio randomizados controlados

- Priorizam validade interna
 - Alocação aleatória reduz viés de seleção e confusão
 - Cegamento reduz viés de informação
- Ganham popularidade através de ensaios clínicos de novos medicamentos
- Essencial para determinar eficácia de novos agentes biológicos
- Adequados para cadeias causais curtas
 - Efeito biológico de drogas, vacinas, suplementos nutricionais etc

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

O que um RCT mostra?

- A probabilidade de que o resultado observado seja devido à intervenção
- Mas requer evidência adicional que torne o resultado conceitualmente plausível
 - Plausibilidade biológica
 - Plausibilidade operacional

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia



CONSORT

Strength in science, sound ethics

- Allocation
- Rationale
- Eligibility
- Interventions
- Objectives
- Outcomes
- Sample size
- Randomization
 - Sequence generation
 - Concealment
 - Implementation
 - Blinding (masking)
- Statistical methods
- Participant flow
- Recruitment
- Baseline data
- Numbers analyzed
- Outcomes and estimation
- Ancillary analyses
- Adverse events
- Interpretation
- Generalizability
- Overall evidence

EPI
2008

Programa de Pós-graduação
em Epidemiologia

- Construir a cadeia lógica através da qual a intervenção produz seu efeito

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Passos principais em ensaios de Saúde Pública

- Provisão da intervenção pelo nível central aos serviços locais (ex. Postos de Saúde)
- Adesão dos profissionais locais à intervenção
- Adesão dos beneficiários à intervenção
- Efeito biológico da intervenção

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Exemplo Intervenção em Saúde Pública: Aconselhamento Nutricional

**Equipe central
é competente**

Programa nacional é implementado

Profissionais de saúde são treinados

**Profissionais
treináveis**

Aumenta conhecimento dos profissionais

Melhora o desempenho dos profissionais

**Utilização
é adequada**

**Equipamento
disponível**

Aumenta o conhecimento materno

Muda a alimentação da criança

**Alimentos
disponíveis**

Aumenta o aporte energético

**Falta alimento
é uma causa
da desnutrição**

Melhora o estado nutricional

EPI
2008

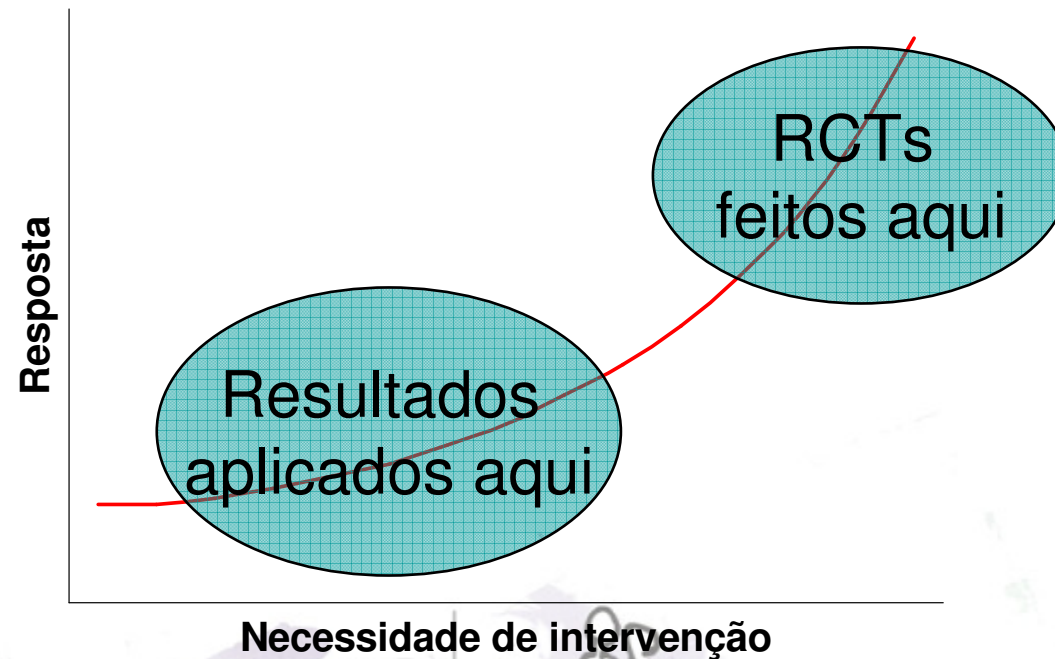
Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Os resultados de RCT são generalizáveis para programas de rotina?

- A dose da intervenção pode ser menor
 - Modificação de efeito comportamental
 - Comportamento do profissional
 - Comportamento do beneficiário
- A relação dose-resposta pode ser diferente
 - Modificação de efeito biológico

Quanto mais longa a cadeia causal, maior a probabilidade de modificação de efeito

Associações Curvilíneas



Necessidade de intervenção

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

- Construir indicadores que expressem os passos da cadeia lógica e definir a metodologia de coleta de dados

**EPI
2008**



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Exemplo Intervenção em Saúde Pública: Aconselhamento Nutricional

**Equipe central
é competente**

Programa nacional é implementado

Profissionais de saúde são treinados

**Profissionais
treináveis**

Aumenta conhecimento dos profissionais

Melhora o desempenho dos profissionais

**Utilização
é adequada**

**Equipamento
disponível**

Aumenta o conhecimento materno

Muda a alimentação da criança

**Alimentos
disponíveis**

Aumenta o aporte energético

**Falta alimento
é uma causa
da desnutrição**

Melhora o estado nutricional

EPI
2008

Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

- **1. Conhecimento dos profissionais**
- **2. Profissionais aplicavam a intervenção**
- **3. Mães recordavam a recomendação, posse do cartão, satisfação**

4. Mães aderiam à recomendação

- **5. Antropometria da criança**

- **1. Prova escrita**
- **2. Observação de 3 + 3 consultas**
- **3. Entrevista domiciliar aos 8, 45 e 180 dias**
- **4. Recordatório alimentar de 24 horas + frequência nas 3 visitas domiciliares + daylong**
- **5. Peso e comprimento aos 8, 45 e 180 dias**

**EPI
2008**



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

- Compatibilizar unidade amostral e unidade de análise nos estudos de avaliação

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

- É incorreto usar alocação em grupo (ex., postos de saúde, comunidades etc) e analisar os dados em nível individual
- Isso tem implicações sobre o cálculo do tamanho amostral e sobre os métodos de análise

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Porque RCT têm papel limitado em avaliações de efetividade de intervenções de larga escala?

- Frequentemente é impossível randomizar
 - não é ético, politicamente inaceitável, rápida cobertura
- A avaliação afeta a qualidade do serviço
 - o serviço passa a ser no mínimo a “melhor prática”
- Modificação de efeito é a regra
 - Necessidade de dados locais
- Necessidade de outras abordagens para avaliações em Saúde Pública

Estudos Não-Randomizados

(Quase experimentos)

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Tipos de inferência em avaliações de impacto

- Adequação (estudos descritivos)
 - As mudanças esperadas estão acontecendo
- Plausibilidade (estudos observacionais)
 - As mudanças observadas parecem ser devidas ao programa
- Probabilidade (RCT)
 - estudos randomizados mostram que o programa tem um impacto estatisticamente significativo

FIA
(2008)

Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Validade interna em estudos probabilísticos e de plausibilidade

Comparabilidade	Probabilidade (RCT)	Plausibilidade (quase-experimento)
Populações	Randomização	Emparelhamento Conhecimento sobre determinantes da implementação Considerando fatores contextuais
Observações	Cegamento	Evitando viés de informação
Efeitos	Uso de placebo	Considerando o viés Hawthorne e o efeito placebo

Avaliações de adequação

- Perguntas:

- Os objetivos iniciais foram alcançados?

- Ex.: reduzir em 20% a mortalidade de menores de 5 anos

- As tendências nos indicadores de impacto foram

- na direção esperada?

- de magnitude adequada?

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Avaliações de Plausibilidade

- Pergunta:
 - É provável que o impacto observado seja devido à intervenção?
- Requer descartar influência de fatores externos:
 - Necessidade de grupo de comparação
 - Ajuste para fatores de confusão
- Também chamados de quase experimentos

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

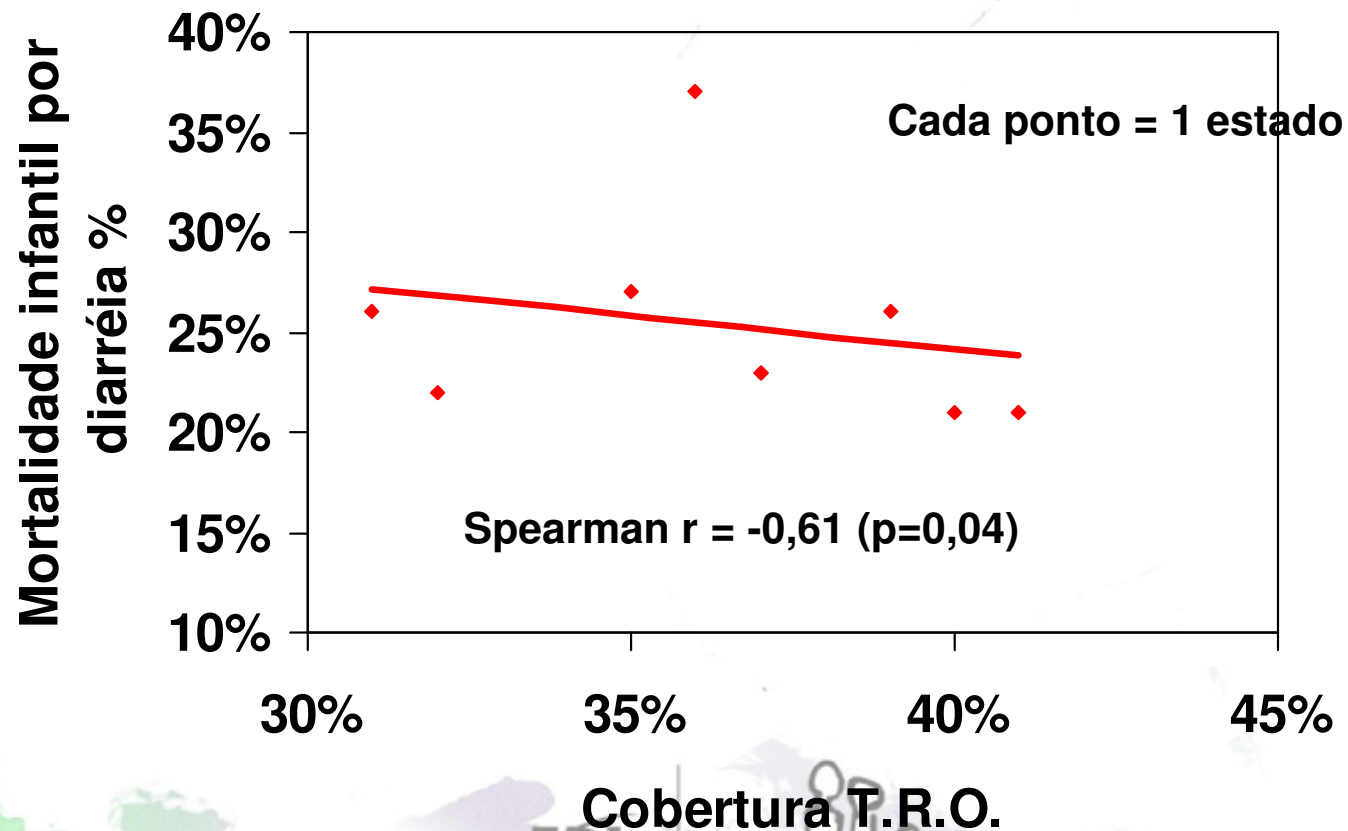
Estudos de Adequação/plausibilidade (1)

- Desenho: transversal
- Medidas: uma vez
- Desfecho: diferença ou razão
- Grupo controle:
 - Indivíduos que não receberam a intervenção
 - Grupos/áreas sem a intervenção
 - Análise dose-resposta, se possível

EPI
2008

Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

TRO e mortes por diarreia no Brasil



EPI
2008

Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Estudos de Adequação/plausibilidade (2)

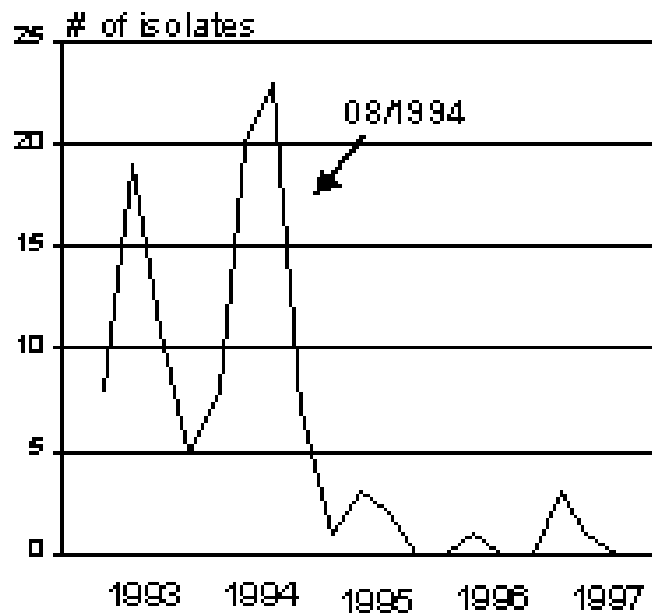
- Desenho: longitudinal (antes-e-depois)
- Medidas: duas vezes ou mais
- Desfecho: mudança
- Grupo controle:
 - Os mesmos ou indivíduos semelhantes, antes da intervenção
 - Os mesmos grupos/áreas, depois da intervenção
 - Análises de tendência temporal, se possível

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Vacina Hib no Uruguai



Uruguay

O Uruguai reduziu em mais de 95% o número de casos registrados de infecção por Hib após a introdução da vacinação em 1994



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Estudos de Adequação/plausibilidade (3)

- Desenho: longitudinal-controlado
- Medidas: duas vezes ou mais
- Desfecho: mudança relativa
- Grupo controle:
 - Os mesmos ou indivíduos semelhantes, antes da intervenção
 - Os mesmos grupos/áreas, antes da intervenção
 - Análises de tendência temporal, se possível

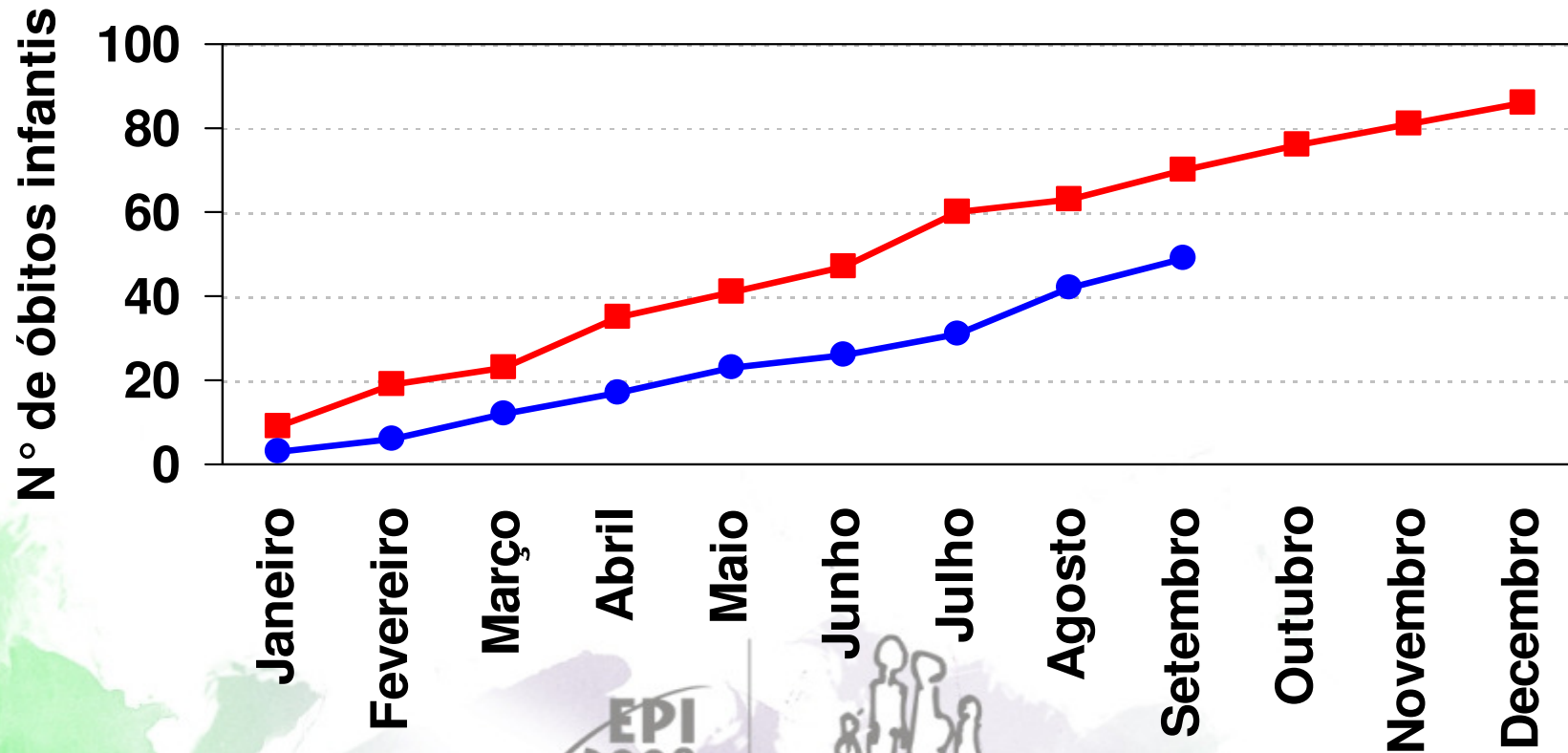
EPI
2008



Programa de Pós-Graduação em Epidemiologia

Óbitos infantis acumulados, Pelotas 2005 - 2006

■ 2005 ● 2006



EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Estudos de Adequação/plausibilidade (4)

- Desenho: caso-controle
- Medidas: uma vez
- Comparação: exposição à intervenção
- Grupos:
 - Casos: indivíduos com a doença de interesse
 - Controles: amostra da população que originou os casos

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Improving the Reporting Quality of Nonrandomized Evaluations of Behavioral and Public Health Interventions: The TREND Statement

Don C. Des Jarlais, PhD, Cynthia Lyles, PhD, Nicole Crepaz, PhD, and the TREND Group

Developing an evidence base for making public health decisions will require using data from evaluation studies with randomized and nonrandomized designs. Assessing individual studies and using studies in quantitative research syntheses require transparent reporting of the study, with sufficient detail and clarity to readily see differences and similarities among studies in the same area. The Consolidated Standards of Reporting Trials (CONSORT) statement provides guidelines for transparent reporting of randomized clinical trials.

We present the initial version of the Transparent Reporting for Evaluations With Nonrandomized Designs (TREND) statement. These guidelines emphasize the reporting of theories used and descriptions of intervention and comparison conditions, research design, and methods of adjusting for possible biases in evaluation studies that use nonrandomized designs. (*Am J Public Health*. 2004;94:XXX-XXX)

OVER THE PAST SEVERAL

decades, a strong movement toward evidence-based medicine has emerged.¹⁻³ In the context of evidence-based medicine, clinical decisions are based on the best available scientific data rather than on customary practices or the personal beliefs of the health care provider. There is now a parallel movement toward evidence-based public health practices.^{4,5} The movement is intended to utilize the best available scientific knowledge as the foundation for public health-related decisionmaking.

In the context of evidence-based medicine, the randomized controlled trial (RCT) is usually considered of greatest evidentiary value for assessing the efficacy of interventions. Indeed, the preference for this design is sufficiently strong that when empirical evidence from RCTs is available, "weaker" designs are often considered to be of little or no evidentiary value. In this issue, Victora et al.⁶ make a

Also in this issue, Donner and Klar,⁷ Murray et al.,⁸ and Varnell et al.⁹ provide overviews of the benefits and pitfalls of the group randomized trial, which, in some situations, may be a reasonable alternative to the RCT. There are also a wide variety of nonrandomized evaluation designs that can contribute important data on the efficacy or effectiveness of interventions, such as quasi-experimental designs,¹⁰ nonrandomized trials, and natural experiments. Including these types of designs in developing evidence-based recommendations can provide a more integrated picture of the existing evidence and could help to strengthen public health practice. Excluding data collected under such designs would undoubtedly bias the evidence base toward interventions that are "easier" to evaluate but not necessarily more effective or cost-effective.

If nonrandomized designs are to be systematically used in

Furthermore, evidence-based practice may often rely on meta-analyses of large numbers of studies, some of which may report negative results. Meta-analysis requires full reporting of methods and outcomes to enable assessment of comparability of different studies. Inadequate, or nontransparent, reporting may make it difficult to understand the variables that affect intervention outcomes and the central elements in intervention success or failure over multiple studies.

In recent years, efforts have been made to improve the quality of reporting of RCTs. The Consolidated Standards of Reporting Trials (CONSORT) statement¹¹ provides a 22-item checklist and subject flow chart for the transparent reporting of RCTs. This statement has been adopted as a framework for the reporting of RCTs by a large number of medical, clinical, and psychological journals (153, according to <http://www.consort-statement>).

Conclusões (1)

- RCT são essenciais para
 - estudos clínicos
 - Estudos comunitários para estabelecer eficácia de intervenções relativamente simples
- RCT requerem evidência adicional de estudos não-randomizados para aumentar a validade externa

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

Conclusões (2)

- Dada a complexidade de várias intervenções de Saúde Pública, estudos de adequação e plausibilidade são essenciais em diferentes populações
 - mesmo para intervenções aprovadas por RCT
- Avaliações de adequação deveriam fazer parte da rotina dos gestores
 - e avaliações de plausibilidade também, quando possível

EPI
2008



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia

MUITO OBRIGADA!

**EPI
2008**



Programa de Pós-Graduação
em Epidemiologia