



Editorial

Investigar y publicar con propósito en farmacología clínica y terapéutica: una responsabilidad científica y ética¹.

Profa. Dra. Noelia Speranza

La investigación científica en salud ha sido, históricamente, el motor del avance de la terapéutica, de la optimización de los tratamientos y de la mejora en la calidad de vida de los y las pacientes. Cada vez se vuelve más desafiante conocer qué nuevas alternativas terapéuticas serán las de mayor impacto para seguir logrando estos objetivos. Ya desde fines de los 70 con la definición de “medicamentos esenciales” de la Organización Mundial de la Salud (OMS), en su justificación se subrayaba la importancia de los medicamentos para una adecuada asistencia en salud, pero también la preocupación por el extraordinario aumento en el número de productos farmacéuticos lanzados al mercado, sin mejoras sustantivas proporcionales a este aumento para el estado general de salud de las personas; la necesidad de generar regulaciones para la confección de los medicamentos, distribución, formación de los efectores de salud y regulación para la comunicación y propaganda de los productos medicinales. (1)

Como mencionan Buglioli y Perez en un artículo nacional publicado en 2002, “la velocidad con la que las nuevas tecnologías se difunden actualmente se encuentra en proporción directa con el grado de competencia de la industria y del mercado”. (2) A esto agregaría no solo cómo se difunden sino cómo se posicionan... En este contexto actual, marcado por la sobreabundancia de información, los intereses económicos de la industria farmacéutica, la presión por publicar en revistas de alto impacto y la constante búsqueda de nuevos tratamientos, nos podemos preguntar ¿estamos investigando y publicando con propósito?

En este editorial vamos a recorrer dos escenarios: el de la investigación pertinente (“con propósito”) y el valor de la investigación farmacoepidemiológica (y el rol de los centros de información de medicamentos) en este escenario. A medida que las evidencias científicas se generan a partir de datos cada vez más complejos y multifactoriales, el papel de la investigación farmacoepidemiológica y los estudios observacionales se ha vuelto esencial para comprender el uso real de los medicamentos, sus efectos en poblaciones diversas y su impacto en la toma de decisiones tanto individuales como colectivas.

¹ En base a la ponencia “Investigar y publicar con propósito” brindada en forma virtual en la Reunión Técnica Internacional: Fortalecimiento del rol de los centros y servicios de información de medicamentos en investigación y publicaciones científicas, organizada por la Dirección General de Medicamentos, Insumos y Drogas del Ministerio de Salud de Perú, el 2 de setiembre de 2025.

La investigación en salud (sobre todo medicina clínica) no puede reducirse a la acumulación de datos sin contexto o a la necesidad (exclusiva) de cumplir con ciertos requisitos académicos. Debe tener un fin (propósito) claro: generar conocimiento útil, aplicable y, sobre todo, ético. Es imperativo, sobre todo desde los ámbitos académicos universitarios, que cada estudio, cada investigación y cada publicación tenga, entre sus objetivos explícitos o implícitos, mejorar los resultados en salud de la población, impactar positivamente en la práctica clínica y, a su vez, contribuir a un sistema de salud más eficiente y accesible para todos.

En el editorial “La investigación clínica en Uruguay” del Prof. Dr. Novoa en la Revista Médica del Uruguay de 2017 refería: “es esencial para nuestro país mantener equipos de investigación que tiendan a identificar los problemas más comunes en nuestra sociedad y los métodos de diagnóstico y tratamiento más adecuados. También se hace imprescindible mantener la tarea de grupos capaces de generar conocimientos originales que aporten al conocimiento universal y formen individuos con capacidad de análisis crítico. Este “subproducto” de la investigación en el ámbito médico, permite mantener la calidad de las investigaciones mencionadas, pero además otorga a los actores del proceso sanitario (médicos, enfermeros, técnicos etc.) una formación crítica que se base en datos objetivos, procesos de razonamiento lógico y la capacidad de resolver problemas. Este tipo de formación es esencial para la investigación científica, pero también lo es para la propia práctica de la medicina y para la construcción y mantenimiento de sistemas de salud”. (3)

Nunca se acabarán las preguntas clínicas, pero cuáles responder (o intentar hacerlo) en qué momentos, tiene relevancia.

La reciente actualización de la lista de medicamentos esenciales de la OMS incluye más de 500 medicamentos (4) ¿Cuántos más medicamentos necesitamos para tratar las principales enfermedades a nivel mundial? ¿Dónde están las brechas o agujeros de conocimiento que nos deberían interpelar del punto de vista científico? ¿coinciden los intereses de esas brechas o agujeros con los de quienes más publican o de quienes más financian las investigaciones que se publican?

Estas preguntas van más allá de lo que desde organismos internacionales o las grandes agencias de medicamentos o las propias instituciones como la UdelaR pueda promoverse en sus enunciados... van dirigidas a un nivel de discusión más local, de la meso y la micro política.

En la actualidad, los avances científicos y farmacológicos deben ir acompañados de una reflexión sobre el propósito que los motiva, porque como decíamos previamente, no empezamos de 0, hay muchos logros y muy buenos ya alcanzados gracias al avance de la terapéutica. La investigación no solo debe responder a la necesidad de descubrir nuevos medicamentos, sino también a la obligación ética de generar evidencia que sirva para ubicar estos tratamientos medicamentosos en la órbita de cambios (o no) de las decisiones terapéuticas y por ende de la mejora de las políticas públicas sanitarias. Esta necesidad se refleja en la evolución del concepto de "investigación terapéutica con propósito", una investigación que tiene en cuenta no solo la producción de conocimiento, sino también el impacto clínico y social de este conocimiento. Es muy difícil hoy día, cuando están en el centro los determinantes sociales de la salud, desprenderse de esta necesidad.

(5) Es decir, en el “propósito” hay cuestiones sociales, culturales, políticas, que deberían atravesar la investigación. Entiendo que puede sonar lejano a investigar en medicamentos, pero les prometo que no lo es.

En el editorial “La prescripción de medicamentos en una sociedad medicalizada” de marzo de 2014, el Prof. Tamosiunas decía: “Los medicamentos deberían entenderse como bienes sociales. Si entendemos al medicamento como interacción, una de las primeras interacciones a considerar es su relación con la sociedad...Este contexto es propicio para una construcción muy diferente al uso responsable, razonado de medicamentos, que desde este lugar intentamos promover. Más allá de representaciones sociales de la población en general, el fenómeno también afecta al médico a la hora de prescribir...” (6)

Cada vez es más claro que si la investigación en medicamentos toma en cuenta desde el vamos (desde que las etapas preclínicas) estas consideraciones, vamos a poder darle más validez externa a los resultados y así redundar en su aplicabilidad. Idénticas necesidades existen de que en la investigación se consideren las brechas de género u otras inequidades de los sistemas de salud, pero no vamos a detenernos en eso ahora. Cabe en este momento aclarar que estas reflexiones no van contra la posibilidad de investigar libremente; gracias también a hallazgos fortuitos, producto de la serendipia, se han hecho descubrimientos maravillosos, que solo son posibles si tenemos los medios (...) para investigar a nuestras anchas y en ámbitos de libertad científico académica. Una cosa no quita la otra.

Si cuando se investiga con financiamiento privado, meramente comercial, hay un interés en vender un producto nuevo o reposicionar uno ya conocido, cuando se investiga desde la academia (con o sin financiamientos privados) debería primar, o por lo menos considerarse, el interés en el bien social de estas investigaciones, desde sus objetivos y diseños metodológicos, independientemente de los resultados finales hallados. Nos debemos como colectivos científicos-académicos-universitarios contribuir a cuestionar la mercantilización de la ciencia.

Citando nuevamente al Prof. Dr. Tamosiunas, en otra editorial, esta vez de 2017, decía: “En realidad contamos con conocimiento pertinente y disponible de fácil acceso que mejoraría en mucho la terapéutica. Pero también disponemos y en abundancia de información no pertinente o impertinente, que se nos superpone y muchas veces se nos impone...Cuál sería el conocimiento pertinente y disponible al que hacemos referencia, y que de paso afirmo, que es al que menos importancia le damos en nuestra práctica clínica. Nos referimos a que probablemente los estudios clínicos de efectividad, los de corte epidemiológicos (tanto retrospectivos como prospectivos), las señales y alertas, los casos control así como las revisiones sistemáticas por supuesto nos brindan muchas veces ese tipo de conocimiento pertinente hacia la prescripción.” (7)

La investigación científica, especialmente en el ámbito de la salud, y específicamente con medicamentos, está intrínsecamente vinculada a la seguridad y el bienestar de los y las pacientes. Por lo tanto, todo proceso investigativo debe estar basado en principios éticos sólidos, que garanticen la protección de los sujetos de estudio, la confidencialidad de los datos y la transparencia en los resultados. Además, el diseño de los estudios debe ser apropiado, con una metodología rigurosa que permita obtener resultados válidos y fiables, pero sobre todo que

responda una pregunta clínica pertinente. La calidad de los datos, las fuentes de información y la interpretación crítica de los resultados son aspectos esenciales para la integridad de la investigación. El valor de la investigación depende también de la calidad de los recursos humanos involucrados en el proceso. La formación de los investigadores y la capacitación continua son esenciales para garantizar que los estudios sean realizados con alto nivel de competencia. (8-10) La investigación farmacoterapéutica requiere de profesionales con una sólida formación metodológica pero también de una actitud crítica que permita cuestionar los resultados, generar nuevas preguntas y aplicar los conocimientos adquiridos para la mejora del sistema de salud, proponer soluciones innovadoras y anticipar desafíos futuros. Cabe recordar en este momento y en el mes donde realizamos por XIII año las Jornadas de Novedades Terapéuticas desde la Unidad de Farmacología y Terapéutica, que cuando nos referimos a “soluciones innovadoras” o “novedades terapéuticas” lejos estamos de circunscribirnos a “medicamentos nuevos”, sino a lo novedoso e innovador que resulta usar (bien) estrictamente los medicamentos que necesitamos y no más.

La publicación de los resultados de investigación es, quizás, uno de los aspectos más visibles de la actividad científica. Sin embargo, la divulgación científica debe ir más allá de la publicación en revistas académicas. Los resultados deben ser accesibles, comprensibles y útiles para los profesionales de la salud como para la sociedad en general. La información biomédica debe ser procesada, analizada y presentada de manera clara y accesible, para que pueda ser utilizada en la toma de decisiones clínicas, en la formulación de políticas sanitarias y en la promoción de un uso racional de los medicamentos. Este tipo de divulgación de la ciencia tiene el poder de transformar la manera en que se percibe la medicina y los tratamientos farmacológicos y de contribuir a la creación de ecosistemas más informados.

En este contexto, la investigación farmacoepidemiológica y los estudios observacionales se presentan como una de las principales fuentes de evidencia para abordar los problemas reales que enfrentan los pacientes y los profesionales de la salud. Mientras que los ensayos clínicos aleatorizados (ECA) son fundamentales para establecer la eficacia de un tratamiento en condiciones controladas, y requisito indispensable para su aprobación por las agencias reguladoras de medicamentos, los estudios observacionales ofrecen una visión más amplia y representativa de cómo los medicamentos se utilizan en la práctica clínica diaria, en condiciones más cercanas a la realidad. (11)

La farmacoepidemiología se define como la disciplina que estudia el uso, los efectos y la seguridad de los medicamentos en la población. A través de métodos observacionales, se analiza el impacto de los medicamentos no sólo en términos de beneficio, sino también en cuanto a seguridad, costos, patrones de uso, usos fuera de prospecto, y resultados a largo plazo en diversos grupos poblacionales. La investigación farmacoepidemiológica juega un papel crucial en la evaluación del uso de medicamentos en condiciones reales, permitiendo comparar los resultados obtenidos en los ECA con los datos derivados de la práctica diaria y disminuir las brechas entre eficacia y efectividad además de conocer en terreno el perfil de riesgo de los medicamentos, sobre todo para aquellos efectos adversos raros o de largo plazo que no fueron identificados durante los ensayos clínicos o que ocurren en poblaciones no incluidas en éstos. Es decir, son esenciales para

proporcionar una visión más precisa sobre el perfil de riesgo-beneficio de los tratamientos. Los estudios observacionales son una herramienta clave dentro de la investigación farmacoepidemiológica. A diferencia de los ensayos clínicos, que se diseñan para controlar las variables y examinar la eficacia de una intervención, los estudios observacionales observan a los pacientes en su entorno natural, sin intervención directa por parte de los investigadores. Estos estudios, que incluyen cohortes, casos y controles, y estudios transversales, permiten examinar la efectividad de los tratamientos en la población real, proporcionando evidencia que es más representativa de cómo los medicamentos son utilizados fuera de un entorno experimental. (11,12)

Aunque los estudios observacionales ofrecen una valiosa fuente de evidencia, también presentan varios desafíos. La falta de control sobre las variables externas y la posibilidad de sesgos en la recolección de datos pueden afectar la validez de los resultados. Por esta razón, es esencial que estos estudios se diseñen con rigor metodológico y que se utilicen técnicas estadísticas avanzadas para controlar las variables confusoras. La integración de como fuentes de datos de los registros de salud electrónicos y las bases de datos poblacionales han cambiado hace ya varios años la capacidad de los estudios observacionales para generar evidencia precisa y confiable, han abierto la puerta a la evidencia de mundo real e incluso ha determinado que las grandes agencias reguladoras de medicamentos como EMA y FDA hayan protocolizado la forma en que esta evidencia del mundo real puede sumarse a la evidencia más tradicional de los ECA para la evaluación de tecnologías sanitarias (13-15)

Aquí aparece un lugar para los centros de información de medicamentos, que además de su función natural de brindar información, pueden desempeñar un papel crucial en la investigación farmacoepidemiológica. Los centros de información como usina para la generación de preguntas clínico-terapéuticas para la investigación.

La capacidad de los centros de información de medicamentos como el de Uruguay, de identificar, procesar y analizar información relevante sobre el uso de medicamentos y tratamientos, juega un papel fundamental en este sentido. A través de estos centros, se puede generar conocimiento a partir de problemas farmacoterapéuticos reales, preguntas de investigación que surgen en la práctica clínica cotidiana, y situaciones que reflejan las verdaderas necesidades de los pacientes y la comunidad. Nuestro CIM tiene la ventaja de estar anidado en una Unidad Académica de la Facultad de Medicina, donde el compromiso y funciones universitarias se extienden a las de investigación y extensión, por lo que el fomento a la generación de estudios clínicos y a la comunicación efectiva de los hallazgos a través de diversos canales de divulgación está garantizado. (15)

En suma y para finalizar, investigar y publicar con propósito en farmacología y terapéutica no solo implica generar conocimiento en condiciones experimentales controladas, sino también comprender y analizar cómo los tratamientos afectan a los y las pacientes y a las personas en su entorno natural. Para ello se requieren dos condimentos: tener buenas -pertinentes -preguntas fármaco-terapéuticas que investigar, e incorporar la información que surge de la investigación farmacoepidemiológica. Para ambas cuestiones se requiere rigurosidad metodológica y la capacitación de los y las investigadoras. Comprender desde el primer momento (de la

investigación y para cualquier etapa del desarrollo de un medicamento) que estamos investigando en y para la salud, nos da la posibilidad de no olvidar, aún cuando el objeto de investigación aún no sea el humano, ese propósito final. Y contribuye a saber comunicar los resultados de las investigaciones, sus alcances, posibilidad de extrapolaciones, sus limitaciones, y sus posibilidades de mejora.

En este contexto los centros de información de medicamentos universitarios como el nuestro cobran gran relevancia, como sitios donde emergen muchas preguntas farmacoterapéuticas relevantes, para la generación de investigación relevante y producción de conocimiento independiente y útil para los profesionales de la salud y beneficio de la comunidad en general.

Bibliografía

1. Gamba L. Paradigmas de salud y políticas de medicamentos. Continuidades y rupturas en el caso argentino en la etapa posguerra hasta finales del siglo XX. ARCHIVOS DE MEDICINA FAMILIAR Y GENERAL 2020;17(1):19-25
2. Buglioli M y Pérez A. Evaluación de tecnologías de salud. Rev. Méd. Urug. [online]. 2002, vol.18, n.1 [citado 2025-09-21], pp.27-35. Disponible en: <http://www.scielo.edu.uy/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1688-03902002000100004&lng=es&nrm=iso>. ISSN 1688-0390.
3. Noboa O. La investigación clínica en Uruguay. El desafío permanente. Rev. Méd. Urug. [online]. 2017, vol.33, n.3 [citado 2025-09-21], pp.4-8. Disponible en: <http://www.scielo.edu.uy/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1688-03902017000300004&lng=es&nrm=iso>. ISSN 0303-3295.
4. OPS. La OMS actualiza la lista de medicamentos esenciales para incluir tratamientos clave contra el cáncer y la diabetes. Disponible en: <https://www.paho.org/es/noticias/8-9-2025-oms-actualiza-lista-medicamentos-esenciales-para-incluir-tratamientos-clave>
5. OPS. Los determinantes sociales de la salud. Disponible en: <https://www.paho.org/es/temas/determinantes-sociales-salud>
6. Tamosiunas G. Boletín Farmacológico. [Internet] 2014. [citado: 2025, setiembre] 2014:5(1). 2h
7. Tamosiunas G. Uso racional y crisis de la evidencia parte II : hacia la evidencia pertinente o la impertinencia de la evidencia. Boletín Farmacológico. [Internet]. 2017. [citado: 2025, setiembre] 2017: 8(2). 3 h.
8. Pineda E, de Alvarado E, de Canales F. Problema y objetivos. ¿Qué investigar? En: Metodología de la investigación. 2 a. ed. Washington, D.C.: Organización Panamericana de la Salud; 1994. p. 39-54
9. Haynes B. Forming research questions. J Clin Epidemiol. 2006;59(9):881-886. doi:10.1016/j.jclinepi.2006.06.006
10. Vega P y López R. Ética en la investigación. Rev Chil Anest 2014; 43: 361-367
11. Sabaté M, Montané E. Pharmacoepidemiology: An Overview. J Clin Med. 2023 Nov 10;12(22):7033
12. Bravo, R. (2015). La nueva pirámide de la evidencia. Rafa Bravo Blog. Retrieved from <https://rafabravo.blog/2015/12/08/la-nueva-piramide-de-la-evidencia/>.
13. Bakker E., Plueschke K., Jonker C.J., Kurz X., Starokozhko V., Mol P. Contribution of real-world evidence in European Medicines Agency's regulatory decision making. Clin. Pharmacol. Ther. 2023;113:135–151. doi: 10.1002/cpt.2766.
14. Real-World Evidence FDA. [(accessed on 23 October 2023)]; Available online: <https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence>
15. Use of Real-World Evidence in Regulatory Decision Making—EMA Publishes Review of Its Studies. [(accessed on 23 October 2023)]. Available online: <https://www.ema.europa.eu/en/news/use-real-world-evidence-regulatory-decision-making-ema-publishes-review-its-studies>
16. Unidad Académica de Farmacología y Terapéutica. Centro de Información de Medicamentos. Manual operativo. 3era. Ed. Disponible en: https://www.cimuruguay.hc.edu.uy/images/Manual_del_CIM_2021.pdf