

# Introducción a los diseños explicativos experimentales

Dr.C Maicel E. Monzón Pérez

2025-09-13

## Sumario

- ▶ Características generales de las investigaciones experimentales
- ▶ El estudio de las relaciones causales y los sesgos.
- ▶ Diseños más comunes a nivel individual y por conglomerados
- ▶ Ensayos clínicos
- ▶ Ensayos comunitarios
- ▶ Tendencias de los diseños de investigaciones experimentales

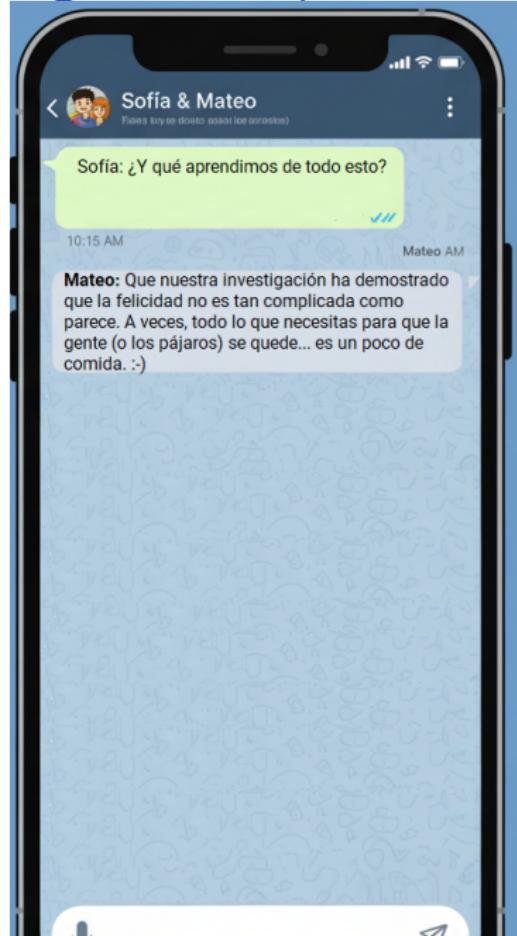
## Diálogo infantil (motivación)

En un pequeño banco, Sofía, con las manos en el móvil, habla a Mateo, que está sentado a su lado (mirando el suyo).

# Diálogo infantil (motivación)

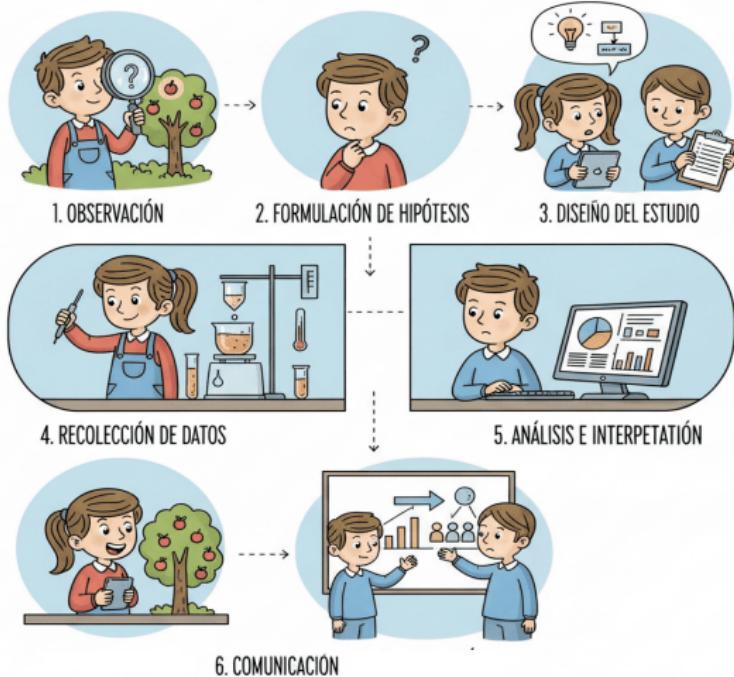


# Diálogo infantil (motivación)



# Introducción

## EL PROCESO DE LA INVESTIGACIÓN CIENTÍFICA



## Pregunta 1:

Existe una lógica similar en las investigaciones empíricas?

Sí, existe una lógica operativa similar y fundamental que guía todas las investigaciones empíricas, más allá de sus diferencias específicas, (Punto)



Todos las invetigaciones comparten el método científico, un sistema de pasos universales para investigar problemas de forma rigurosa, (Razón)



## Existen similitudes entre un estudio experimental y observacional. (Ejemplo)

Etapa/Aspecto	Estudio 1	Estudio 2
Problema	¿Funciona el medicamento X?	¿Qué hábitos se asocian a hipertensión?
Hipótesis	El medicamento reduce la presión	Cierta dieta se relaciona con hipertensión
Diseño	Intervención, grupo control	Observación en entorno natural
Recolección de datos	Ensayo, medidas pre y post tratamiento	Encuestas y registros sin manipulación
Ánálisis	Comparación causal	Relación descriptiva/correlacional

Por tanto, todas las investigaciones tienen algo en común  
(Punto)

*“Un conjunto de acciones planificadas que se emprenden con la finalidad de resolver, total o parcialmente, un problema científico determinado”*

Definición de investigación científica (Rosa Jimenes, Metodología de la Investigación)

## Pregunta 2:

Qué podría ser diferente en una investigación ?

Las decisiones metodológicas que un investigador debe tomar para adaptar el método científico a su problema de investigación pueden ser distintas.

### ¿QUÉ PODRÍA SER DIFERENTE EN UNA INVESTIGACIÓN CIENTÍFICA?



# Clasificación de las investigaciones científicas

Eje	Clasificación propuesta
Objetivo	<b>Descriptivos:</b> muestran cómo es la realidad (qué, cómo, cuánto). <b>Explicativos:</b> buscan entender <b>por qué ocurre</b> y sus <b>mecanismos causales</b> .
Temporalidad	<b>Transversales:</b> observación en un solo momento. <b>Longitudinales:</b> seguimiento en el tiempo (prospectivos, retrospectivos, históricos).
Unidad de análisis	<b>Individuales:</b> persona como unidad. <b>Ecológicos:</b> grupos/poblaciones. (opcional: <i>Multinivel, combinación de ambos</i> ).
Manipulación (explicativa-tivos)	<b>Observacionales:</b> el investigador no interviene <b>Experimentales:</b> el investigador interviene <b>Cuasi-experimentales:</b> intervención sin asignación aleatoria.

## Clasificación (investigación científica): Estado del conocimiento y alcance de los resultados

- ▶ **Estudios descriptivos:** Describen una realidad
- ▶ **Estudios explicativos o analítico:** Explican una realidad  
relaciones causa - efecto

## Clasificación (investigación explicativa o analíticas): Manipulación del objeto de estudio

- ▶ **Estudios Observacionales:** -> El investigador no interviene, observa y analiza lo que ocurre (casos y controles, Cohorte).
- ▶ **Estudios Experimentales:** El investigador **manipula el objeto de estudio** (hay una intervención) para evaluar su efecto.

## Pregunta 3

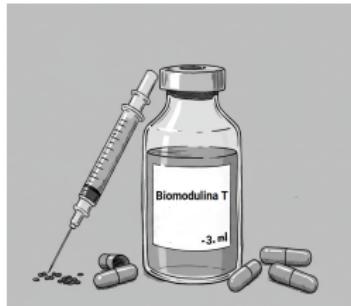
“¿Cómo logran los estudios experimentales establecer causalidad y cuál es el fundamento teórico para medirla?”



- ▶ El investigador manipula el objeto de estudio (intervención) para determinar un efecto causal.
- ▶ Se puede usar el enfoque de Respuestas Potenciales para definir y cuantificar un “Efecto causal”

## Pregunta 4

Qué es el efecto causal?



Cada unidad (individuo o comunidad) tiene dos resultados posibles:

- ▶ Con intervención  $Y(1)$
- ▶ Sin intervención  $Y(0)$

Efecto causal = diferencia entre ambos resultados potenciales.

# Ejemplo 2

Modelo Causal de Rubin



Respuesta potencial  $Y(1)$  - con intervención



Respuesta potencial  $Y(0)$  - sin intervención



**Efecto Causal** =  $Y(1) - Y(0)$



**Efecto Causal Promedio** =  $E[Y(1) - Y(0)]$

## Pregunta 3

¿Bajo el marco de resultados potenciales, cómo se determina si una intervención (X) es causa de un resultado (Y)?

Existe causa si esa diferencia es distinta de cero (individual o en promedio)

$$0 \neq Y_i(0) - Y_i(1)$$

Cuándo nuestra medición de esa diferencia no coincide con la diferencia real?

El sesgo (en estimación causal) es la diferencia entre el valor esperado de nuestro estimador y el verdadero valor del parámetro causal (el ATE).

Definición matemática:

$$\text{Sesgo} = \mathbb{E}[\widehat{\text{ATE}}] - \text{ATE}$$

# Porqué la medición de esa diferencia no coincide con la diferencia real?

## 1. Grupos No Comparables (El problema más común)

*Ej. Si el grupo que recibe el tratamiento es más joven/sano que el grupo de control*

## 2. Variables Ocultas (Factores de confusión)

*Ej. Estudiar si el café causa cáncer, pero no controlas por fumadores*

## 3. Mecanismos de Selección

*Ej. Si solo mides a quienes completan el estudio (y los que abandonan son diferentes)*

## La Ecuación Clave

**Lo que observas = Efecto causal real + Sesgo**

## Sesgo

- ▶ El sesgo es **siempre desconocido**, porque se desconoce uno de los términos, y por el llamado **argumento del contrafactual** (es imposible comparar en idénticas circunstancias contra lo que no se hizo).
- ▶ Lo que se busca en la investigación es identificar y **minimizar el sesgo**

# Tipos de sesgo

---

Tipos de sesgo	Descripción	Ejemplos
<b>Selección</b>	Desviación del <b>efecto causal</b> en la población debido a la selección.	Diferencias entre instituciones, formas clínicas, etc.
<b>Confusión</b>	Influencia de variables claves que distorsionan la relación entre exposición y resultado.	Modificadores de efecto (tratamientos diferenciales).
<b>Información</b>	Blores en la medición que afectan la validez de los resultados.	Datos inconsistentes, valores aberrantes, falta de datos, etc.

---

## Resumen parcial

- ▶ Los estudios pueden ser **descriptivos** o **investigaciones explicativas**.
- ▶ Las **investigaciones explicativas** se clasifican en **observacionales** o **experimentales**

## Pregunta 3:

Cómo se clasifican las **investigaciones explicativas experimentales** ?

## Punto:

- ▶ Existen, varias clasificaciones, sin embargo, una taxonomía rígida es difícil porque muchas clasificaciones usan como ejes de clasificación métodos para mitigar el sesgo.

## Razón

- ▶ Los métodos se pueden aplicar simultáneamente, lo que dificulta la clasificación por solapamiento en los distintos diseños.
- ▶ Por ejemplo, en el contexto de los ensayos clínicos las clasificaciones tienen fines más operativos (establecer la etapa de desarrollo, fines regulatorios, etc)

## Ejemplo 3

La Aleatorización puede estar en cualquier etapa de un ensayo clínico

### CLASIFICACIÓN DE ENSAYOS CLÍNICOS DOS PERSPECTIVAS CLAVE

1. SEGÚN LA CLARIDAD DE LA HIPÓTESIS	2. SEGÚN LA ETAPA DE DESARROLLO DEL PRODUCTO
<p><b>ENSAYO EXPLORATORIO</b> Generar hipótesis y observación inicial</p> 	 <p>FASE I Seguridad inicial</p> <p>FASE II Eficacia preliminar</p> <p>FASE III Eficacia y seguridad</p> <p>FASE IV Poscomercialización</p>
<p><b>ENSAYO CONFIRMATORIO</b></p> 	<p>Contrastación rigurosa y evidencia definitiva</p>

## Punto:

Existen múltiples ejes de clasificación de las **investigaciones explicativas experimentales**, Sin embargo, resulta más útil identificar dónde encaja cada método o diseño y saber por qué se usan

### Ejes de clasificación

- ▶ Número de instituciones: Monocéntrico / Multicéntrico
- ▶ Asignación aleatoria a grupos de intervención: Aleatoriado / No aleatorizado
- ▶ Controlado: Controlado / No controlados
- ▶ Enmascaramiento: sin enmascaramiento / simple ciego / doble ciego / triple ciego
- ▶ Diseño: Clásico / Adaptativos

# Los ensayos clínicos confirmatorios comparten atributos que le confieren contrastación rigurosa

## MEJORANDO LA CALIDAD DE EVIDENCIA EN ENSAYOS CLÍNICOS

### ALEATORIZACIÓN



Distribuye las variables de confusión de manera homogénea en los grupos de tratamiento

### GRUPOS DE CONTROL



El grupo de control es una aproximación observable del escenario "qué habría ocurrido si" los participantes del estudio no hubieran recibido la intervención.

### CEGAMIENTO



El enmascaramiento oculta a los participantes y/o investigadores a qué grupo pertenecen, evitando que sus expectativas influyan en los resultados.

## Simplificando:

Agrupación según el numero de unidades de análisis a medir y el contexto:

- ▶ Estudios a nivel individual (nivel individual contextos médicos/hospitalarios):
- ▶ Estudios a nivel de grupos (contexto comunidad):

## Definición 5: Ensayos Comunitarios

Estudios donde la intervención se aplica a una comunidad completa o conglomerado, con el objetivo de medir el efecto en la salud colectiva.

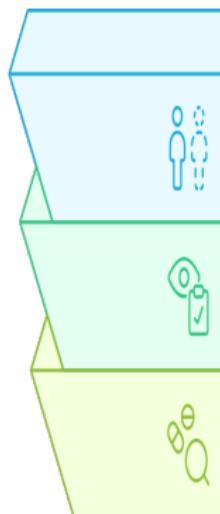
# Tipos de Ensayos Comunitarios

1. Ensayo de Intervención por Conglomerados (Cluster Randomized Trial):
2. Ensayo con Diseño de series temporales interrumpidas
3. Ensayo de intervención escalonada (Stepped Wedge Trial):

# Estudios experimentales (nivel individual)

Los ensayos clínicos se  
llevan a cabo para:

- Prueba en Humanos**  
**1** Probar nuevos productos medicinales y procedimientos médicos en humanos.
- Evaluación de Eficacia**  
**2** Evaluar la eficacia y la seguridad de los productos o procedimientos médicos.
- Identificación de Nuevos Tratamientos**  
**3** Identificar nuevos tratamientos médicos para la práctica clínica.



## Defincion 5: Ensayos clinicos

Ensayo Clínico es cualquier forma de experimento planificado que involucra pacientes y se diseña con el fin de determinar el tratamiento más apropiado para futuros pacientes con una condición patológica dada.

*Pocock*

## Características esenciales de un Ensayo Clínico

- ▶ el investigador introduce una Intervención deliberada intervención (carácter experimental).
- ▶ La Intervención incluye personas (pacientes)
- ▶ Busca estudiar una relación causa-efecto (eficacia y seguridad)

# Comparación

## Ensayo Clínico vs Ensayo Comunitario

Característica	Ensayo Clínico	Ensayo Comunitario
 Ámbito	Individuos	Comunidades o poblaciones
 Intervención	Individualizada	Basada en la población
 Resultados	Salud individual	Niveles de salud comunitarios
 Tamaño de muestra	Menor	Mayor
 Factibilidad	Controlada	En contexto real

Los ensayos clínicos aleatorizados (ECA) son la mejor herramienta para establecer causalidad, y las guías **ICH** los reconocen como el estándar global. Logran esto a través de:

- 1) Asignación aleatoria
- 2) Comparación concurrente
- 3) Evaluación objetiva y cegamiento

# Principios Éticos y Regulatorios de la Investigación

Los principios éticos y regulatorios que tenemos hoy son una consecuencia directa de investigaciones experimentales que fueron éticamente catastróficas.

# Ejemplo: Estudio de Sífilis de Tuskegee, 1932 - 1972, 600 personas afectadas

“La explotación sin consentimiento forjó nuestra demanda de Justicia y Autonomía.”



Ejemplo: Talidomida. 10,000 a 20,000 bebés con malformaciones, abortos espontáneos y muertes neonatales.

“La prisa sin pruebas nos enseñó el costo brutal de ignorar la Seguridad.”



Ejemplo: Ivermectina en la Covid-19 : reportes de miles de casos de eventos adversos (ej. toxicidad hepática, interacciones medicamentosas)

“La desinformación en crisis reafirmó la Primacía del Paciente y el Rigor Científico.”



# Principios Éticos y Regulatorios de la Investigación

Los principios éticos surgen de la necesidad de proteger a los participantes, como evidencian casos históricos.

Se basan en el **Informe Belmont** (Respeto, Beneficencia, Justicia) y se formalizan en:

- ▶ Declaración de Helsinki
- ▶ Guía ICH E6(R2) de Buenas Prácticas Clínicas (GCP).

## Los estudios experimentales hoy

Ensayos clínicos → alta sofisticación (plataformas, adaptativos, biomarcadores).

Ensayos comunitarios → esenciales para evaluar políticas y programas, pero con desafíos logísticos y metodológicos.

## Tendencias que transforman los diseños experimentales

Digitalización → estudios que se pueden hacer desde casa (apps, relojes inteligentes, teleconsultas).

Inteligencia Artificial → ayuda a elegir mejor a los participantes y analizar datos más rápido.

Evidencia del “mundo real” → usamos también la información de hospitales y registros, no solo de ensayos muy controlados.

Diseños más prácticos → combinamos investigación con la aplicación en la vida diaria (ej. probar un tratamiento mientras se mide cómo se implementa en clínicas o comunidades).

## No solo innovación, también responsabilidad

Transparencia en IA y algoritmos.

Inclusión de poblaciones diversas (no dejar atrás a quienes no acceden a lo digital).

Participación comunitaria en ensayos poblacionales. Visual sugerido: una balanza (innovación equidad).

# El futuro de los ensayos experimentales: una agenda compartida

Individual → medicina personalizada y digital.

Poblacional → políticas basadas en evidencia, escalables y justas.

Tarea común → mantener el rigor científico, la ética y la relevancia social.

## Pensamiento final

“Los diseños experimentales seguirán siendo el estándar para establecer causalidad. Nuestro desafío es que, en cada nivel —del paciente individual a la comunidad entera—, la ciencia sea más inclusiva, más innovadora y más útil para transformar la salud.”

## Bibliografía

Campbell MK, Piaggio G, Elbourne DR, Altman DG; for the CONSORT Group. CONSORT 2010 statement: extension to cluster randomised trials. BMJ. 2012. (Guía de reporte; lectura obligada para entender transparencia en cRCTs). BMJ

Metodología de la investigación. Elementos básicos para la investigación clínica, Rosa Jimenes Peneque, 1ed, ECIMED

Hemming K., et al. Key considerations for designing, conducting and reporting cluster randomized trials (revisión y guía práctica, 2023). Útil para ICC, poder y análisis. PMC

Muchas Gracias

# **Dr. Maicel Monzon**

**Doctor en Ciencias Médicas**

**ESPECIALISTA DE PRIMER Y SEGUNDO  
GRADO EN BIOESTADÍSTICA**

[maicel.monzon@gmail.com](mailto:maicel.monzon@gmail.com)

[linkedin.com/in/maicel-monzon](https://www.linkedin.com/in/maicel-monzon)

[twitter.com/maicel1978](https://twitter.com/maicel1978)



# Más contenido



## Inferencia causal: ¡yojo con la precedencia temporal!

Muchos estudios encuentran asociaciones y rápidamente saltan a conclusiones causales. Pero...

¿Siempre podemos hacerlo? X

Regla de oro:  
la causa debe ocurrir antes que el efecto

Ejemplo real:

- Icono de persona fumando: «Interpretación errónea: No fumar aumenta el riesgo»
- Icono de persona fumando: «Lo que pasa realmente: dejar de fumar después del diagnóstico»

Ignorar la temporalidad puede invertir la conclusión y confundir completamente los resultados.

Lección:

Diseños longitudinales y prospectivos son clave para inferir causalidad de manera confiable.

## Conéctenme en LinkedIn

Comparto Infografías y contenido todas las semanas

## TIPOS DE ESTUDIOS EN SALUD PÚBLICA

	Estudios Descriptivos	Estudios Explicativos (Analíticos)
Pregunta clave	¿Qué?, ¿Quién? ¿Dónde? Cuando?	¿Por qué?
Objetivo principal	Describir un fenómeno. Hacer una "fotografía" del problema de salud.	Explicar un fenómeno. Buscar relaciones de causa-efecto.
Etapa del problema	Primera aproximación a un problema no bien definido.	Parte de problemas ya identificados y descritos.
Enfoque	Responde a: ¿Quién-nes están afectados? ¿Dónde ocurre, ¿Cuándo sucede?	Pretende encontrar respuestas a problemas trascendentales y profundizar en sus causas.
Mediciones clave	Estima frecuencia del evento (prevalencia, incidencia).	Evalúa asociaciones, riesgos relativos, odds ratio, etc.
Role de la hipótesis	Genera nuevas hipótesis.	Prueba hipótesis existentes.

## ¿Qué diferencia a un estudio observacional de uno experimental?

Aunque ambos buscan explicar relaciones de causa-efecto y requieren hipótesis claras, la clave está en el rol del investigador.

### ♦ Estudios Experimentales

- El investigador interviene activamente.
- Manipula la realidad para poner a prueba hipótesis.
- Ejemplo clásico: los ensayos clínicos, diseñados para comparar tratamientos y medir su efecto.

### ♦ Estudios Observacionales

- El investigador no interviene.
- Se limita a observar y organizar los datos para confirmar o refutar hipótesis.
- Son esenciales cuando la experimentación no es posible (razones éticas o prácticas). Ejemplos: cohortes y casos-controles.

## Resumen en una imagen

Característica	Estudios Experimentales	Estudios Observacionales
Rol del Investigador	Activo: manipula e interviene.	Pasivo: observa y analiza.
Método Principal	Experimentación	Observación organizada.
Ejemplo Típico	Ensayo clínico	Cohortes, casos y controles
Experimentar = intervenir      Observar = describir la realidad tal cual		

# Más contenido



Visiten mi blog



bioestadistica  
edu.com

<http://www.bioestadisticaedu.com>

Publico artículos diversos sobre **medicina, bioestadística o ciencia de datos**, Escucha el **Podcast** de esta conferencia

## Blog



**Una Inmersión Intuitiva en la Arquitectura de los LLMs**  
Todas conocemos los Modelos de Lenguaje Grandes (LLMs) como GPT, BERT, T5, OpenAI, BART, etc. de Arquitecturas de Google y otras. Son estos sistemas de IA con los que conversamos...

sept. 6, 2025



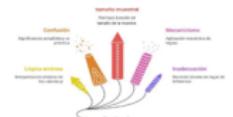
**Diferentes alternativas para entender la Lógica Matemática Detrás de Causa y Efecto**  
Hoy nos exploraremos cómo la inferencia causal permite ir más allá de la causalidad, aplicando "principios metodológicos" para analizar datos observacionales en salud pública. A partir del desafío de la ausencia...

sept. 1, 2025



**Bioestadística: Del Laboratorio al Mundo Real**  
La ciencia médica es un viaje constante cuando sus hallazgos logran cruzar el puente hacia la vida real. Este proceso depende de conceptos claros, como validez interna (rigor metodológico) y externa (aplicabilidad), e...

sept. 1, 2025



**Estatística o Pintoteca: Por Qué la 'Significación Estadística' Nos Ciega con Falsos Destellos**  
¿Qué significa esto en ciencias? ¿Este fenómeno estadístico? ¿Cómo demolerlo a la "significación estadística": sus fallos lógicos, su confusión con la importancia real, y por qué los intervalos de...

sept. 10, 2025



**Diferentes Alternativas a Ensayos Clínicos Controlados Aletorizados: Contextos de Aplicación y Riesgos Regulatorios**  
...



**Conferencia Introducción al análisis estadístico en ensayos clínicos**  
Aprende elementos básicos sobre ensayos clínicos

sept. 12, 2025