Badania ilościowe i jakościowe jako wsparcie dla działań HTA

Wprowadzenie

Rozwój technologii (medycyna / leczenie / urządzenie) w ogromnym stopniu zależy od badań – gromadzenia informacji lub danych pozwalających uzyskać nową wiedzę. Ta sytuacja wynika z potrzeby dostarczenia dowodów:

- organom regulacyjnym – o bezpieczeństwie i możliwej korzyści (skuteczności) nowej terapii oraz
- płatnikom – o skuteczności nowej terapii w rzeczywistych warunkach, a także o jej kosztach i oczekiwanym zastosowaniu.

Badania stosowane w procesie rozwoju leków lub w innych dziedzinach (takich jak antropologia, socjologia, astronomia, chemia) dzielą się na „jakościowe” i „ilościowe”.

Czym są badania ilościowe?

Badanie ilościowe, jak sama nazwa wskazuje, ma na celu przedstawienie ilościowych wyników obserwacji. Dane ilościowe to wszelkie dane liczbowe, takie jak statystyki, procenty itd. Znanym większości ludzi badaniem ilościowym jest statystyka populacji, umożliwiająca politykom i innym osobom korzystanie z danych procentowych dotyczących określonych typów ludzi (np. 30% kobiet, 10% bezrobotnych) podczas podejmowania decyzji odnoszących się do populacji. Informacje biostatystyczne (takie jak procent zachorowań na zawał serca) są wykorzystywane w medycynie jako pomoc dla pracowników ochrony zdrowia i władz w podejmowaniu decyzji dotyczących programów

medycznych.

Typowym rodzajem badań ilościowych stosowanych w procesie rozwoju technologii medycznych są eksperymenty, często w postaci randomizowanych badań klinicznych z grupą kontrolną, służące do poznania skuteczności nowej technologii w porównaniu z innymi metodami leczenia lub (rzadko) z brakiem leczenia. Dane dotyczące pacjentów są mierzone i zliczane, podobnie jak dawki i częstość nowej terapii. Prowadzi się obserwację pacjentów i gromadzi ważne dane, takie jak zmiany w mierzalnych parametrach badanej choroby (punkty końcowe), możliwe skutki uboczne (działania niepożądane) oraz dane subiektywne (np. wyniki w skali bólu). Zakłada się, że te obserwacje stanową dobre odzwierciedlenie rzeczywistości i pozwalają tworzyć prognozy na przyszłość. Na przykład, jeśli w powtarzanych eksperymentach nowy lek powoduje zmniejszenie liczby zawałów serca w porównaniu z lekiem referencyjnym, zakłada się, że taka sama sytuacja prawdopodobnie wystąpi u podobnych pacjentów przyjmujących ten lek w rzeczywistych warunkach (w przeciwieństwie do bardziej kontrolowanych badań klinicznych).

Czym są badania jakościowe?

Zliczanie zdarzeń, które wystąpiły w pewnym miejscu i czasie (badanie ilościowe) może pomóc dowiedzieć się, co mogłoby się stać w przyszłości. Jednak takie badanie dostarcza bardzo niewielu informacji o odczuciach czy motywacjach. Badania jakościowe mogą dostarczyć więcej informacji o reakcjach pacjentów na negatywne zdarzenia (takie jak przyjęcie do szpitala) lub na nowy schemat leczenia.

Przykładowo badanie ilościowe może dostarczyć bardzo niewielu informacji o takich czynnikach jak:

- wartości lub relacje społeczne lub kulturowe,
- relacje między lekarzem a pacjentem,
- stygmatyzacja **lub**

- konflikt z poglądami religijnymi lub kulturowymi.

Nowa metoda antykoncepcji może zapobiegać ciąży, ale może także być nie do przyjęcia w populacjach o silnych religijnych lub kulturowych motywacjach do posiadania dzieci. Aby dowiedzieć się, czy dana metoda antykoncepcji jest możliwa do zaakceptowania przez pacjentów i społeczeństwo, należy zastosować inne podejście badawcze. W takiej sytuacji przydają się badania jakościowe.

Badanie jakościowe jest ważne, ponieważ dostarcza dokładniejszej i uzasadnionej wiedzy o sposobach lub motywacjach populacji do stosowania nowej terapii lub odczuć z nią związanych. Badanie jakościowe ma charakter przede wszystkim poznawczy: opisuje się je jako „systemowe, subiektywne podejście stosowane w celu opisania doświadczeń życiowych i nadania im znaczenia”.[1]

Badania tego rodzaju stanowią sposób zdobywania wiedzy o podstawowych przyczynach i motywacjach, oraz ujawniania aktualnych sądów lub opinii jednostek. Pozwalają przeanalizować problem lub pomagają w stworzeniu koncepcji bądź hipotez dla potencjalnego badania jakościowego. Pacjent może być przekonany, że płatnicy powinni zapewnić dostęp do nowego leku, jednak płatnicy muszą brać pod uwagę potrzeby społeczeństwa jako całości. Istnieje możliwość, że przekonania, nastawienia lub odczucia jednostki nie odzwierciedlają przekonań społeczeństwa.

Badania ilościowe a jakościowe, a metody mieszane

Metodyki badań ilościowych i jakościowych mogą uzupełniać się wzajemnie, a nawet być do siebie podobne. Na przykład wykorzystanie kwestionariusza może być uważane z badanie jakościowe, ale w rzeczywistości może być ilościowe, zależnie od projektu ankiety.

Jeśli badacz prosi respondentów o odpowiedź w skali (na przykład odpowiedź od 1 „zdecydowanie się nie zgadzam” do 5 „zdecydowanie się zgadzam”), to jest forma badania ilościowego. Jeśli odpowiedź ma postać otwartą, a pacjentów nie ogranicza skala ani odpowiedzi do wyboru, badanie jest jakościowe. Jednak, jak widać z rozwoju wyników zgłaszanych przez pacjentów (PRO), skale i inne mierniki wyników dostarczane przez badaczy najlepiej tworzyć przy wykorzystaniu metod jakościowych angażujących pacjentów.

Badanie nie musi być w całości ilościowe lub jakościowe. Popularną formą są tak zwane „metody mieszane” badań, obejmujące podejścia zarówno ilościowe, jak i jakościowe. Badacze świadomie łączą dane ilościowe i jakościowe, zamiast analizować je oddzielnie. Istnieje wiele definicji „metod mieszanych”, a jedna z najpopularniejszych brzmi:

- Badanie koncentrujące się na zagadnieniach wymagających interpretacji w kontekście rzeczywistych warunków, wielopoziomowego spojrzenia i uwzględnienia wpływu kulturowego;
- Wykorzystujące rygorystyczne badania ilościowe oceniające wielkość i częstość konstruktów oraz rygorystyczne badania jakościowe dotyczące znaczenia i rozumienia konstruktów;
- Wykorzystujące liczne metody (takie jak badania interwencyjne i szczegółowe wywiady);
- Celowo integrujące lub łączące te metody, aby wykorzystać możliwości każdej z nich; **oraz**
- Tworzy filozoficzne i teoretyczne ramy dla prowadzonych poszukiwań.[2]

W Tabeli 1 przedstawiono główne różnice między badaniem ilościowym a jakościowym.

Tabela 1: Cechy badań ilościowych i jakościowych

Badania ilościowe	Badania jakościowe
Uznawane za „twardą naukę”	Uznawane za „miękką naukę”
Obiektywne	Subiektywne
Rozumowanie dedukcyjne stosowane do syntezy danych	Rozumowanie indukcyjne stosowane do syntezy danych
Przedmiot badania: Zwięzły i wąski	Przedmiot badania: Złożony i szeroki
Testuje teorię	Rozwija teorię
Podstawy wiedzy: Relacje przyczynowo-skutkowe	Podstawy wiedzy: Znaczenie, kontekst
Podstawowy element analizy: Pomiary i analiza statystyczna	Podstawowy element analizy: Słowa, narracja
Pojedynczy fakt, który można zmierzyć i uogólnić	Wiele stale zmieniających się faktów o indywidualnej interpretacji
Przygotowano na podstawie Keeler (2010)[1]	

Metody jakościowe

Metody gromadzenia danych jakościowych dzielą się na techniki ustrukturyzowane i częściowo ustrukturyzowane. Do często stosowanych metod należą grupy fokusowe (dyskusje grupowe), wywiady indywidualne i uczestnictwo/obserwacje. Próba jest zazwyczaj mała, a respondenci wybierani tak, aby osiągnąć żądany próg. Kluczowe znaczenie w jakościowych metodach badawczych mają relacje między badaczami i uczestnikami badania. Wiedza pochodząca z analizy znaczenia czy odpowiedzi na pytania „dlaczego” i „jak” nie pochodzi z obserwacji zachowania, ale ze słów i działań uczestników badania lub odczuć badacza. Badacze mogą także gromadzić dane z dokumentów lub innych źródeł pisemnych. Badania jakościowe różnią się od

ilościowych nie tylko tym, że służą zbieraniu danych odzwierciedlających myśli i uczucia, ale także cechami charakterystycznymi. Na przykład informacje uzyskane w konkretnej grupie w danym momencie nie mogą być podstawą uogólnienia lub mogą zmienić się z czasem.

Różnice dotyczące względnego postrzeganego znaczenia cech i zasad badania jakościowego, a także nadrzędny cel prowadzenia badań doprowadziły do wyodrębnienia różnych rodzajów ogólnych badań jakościowych. Podobna sytuacja występuje w badaniach ilościowych, w których rozwinęły się służące odrębnym celom badania eksperymentalne (takie jak randomizowane badania kliniczne z grupą kontrolną) i badania nieeksperymentalne (np. badania obserwacyjne).

Poza efektami klinicznymi: Rola badań jakościowych w procesach podejmowania decyzji i dla organów HTA

Procesy HTA stanowią próbę dostarczenia decydentom najlepszych możliwych informacji (dokładnych i wyczerpujących). Aby ten cel zrealizować, w procesach HTA nad badaniami ilościowymi dominuje stosowanie metod syntezy (takich jak metaanaliza, metaanaliza sieciowa, modelowanie) oraz krytyczne spojrzenie (np. listy kontrolne jakości). Opracowano podejścia podobne do metod syntetyzowania w badaniach jakościowych. Stanowią one próbę przedstawienia wyników badań jakościowych przy zastosowaniu podejścia zbliżonego do wykorzystywanego w badaniach ilościowych, a tym samym umożliwiającego w procesach HTA ocenę danych jakościowych wraz z badaniami ilościowymi.

W jaki sposób metody jakościowe

można wykorzystać w procesach HTA?

Badania jakościowe mogą dostarczyć silnych dowodów dotyczących potrzeb i punktów widzenia pacjentów, a w efekcie pomóc decydentom i osobom pracującym nad rozwojem leków w zrozumieniu tych potrzeb i poglądów. Mogą także zostać wykorzystane jako wskazówka podczas podejmowania poważnych społecznych decyzji dotyczących podziału dostępnych zasobów. Pytania ważne z punktu widzenia decyzji o badaniach i przyznawaniu refundacji ilustruje poniższy przykład:

- Czy opieka nad osobami ciężko chorymi lub bardzo starymi powinna być wyżej ceniona niż inne rodzaje opieki?
- Jak należy oceniać technologie, które ograniczają interakcje z lekarzami i opiekunami?
- Czy istnieje wyjaśnienie mniejszego niż optymalne stosowania leków w praktyce?

Badania jakościowe mogą pomóc w uzyskaniu następujących informacji:

- Ile osób choruje na daną chorobę
- Jakie są ekonomiczne konsekwencje choroby
- Ile osób mogłoby odnieść korzyść z zastosowania danego leku
- Jaka jest wartość tej korzyści
- Jak często lek mógłby zostać zastosowany zaraz po udostępnieniu go na rynku

Wszystkie te aspekty należy uwzględnić podczas podejmowania decyzji.

Poniższa lista przedstawia kilka sytuacji, w których badania jakościowe mogą okazać się ważne.

Rozwój leków

- Choroby, które pilnie wymagają leczenia
- Czy nowe leki są potrzebne

- Które wyniki są ważne
- Rozwój odpowiednich miar wyników zgłaszanych przez pacjentów (PROM) oraz miar jakości życia uwarunkowanej stanem zdrowia (HRQoL)

Refundacja i podejmowanie decyzji

- Dostarczenie solidnego wkładu ze strony pacjentów
- Określenie zapotrzebowania na aktualny lek
- Identyfikacja możliwych problemów z lekami alternatywnymi
- Uwzględnienie wartości społecznych w podejmowaniu decyzji

Wdrożenie i wpływ

- Ocena powodów nieoptymalnej zgodności ze schematem leczenia
- Możliwość optymalizacji doświadczeń pacjentów
- Wskazanie innych czynników do uwzględnienia

Piśmiennictwo

1. Keeler, R. (2010). *Nursing research and evidence-based practice: Ten steps to success.* Sudbury, MA: Jones & Bartlett Learning, p. 276.
2. Creswell, J.W., Klassen, A.C., Plano Clark, V.L., & Smith, K.C. for the Office of Behavioural and Social Sciences Research (2011). *Best practices for mixed methods research in the health sciences*. National Institutes of Health. Retrieved 12 February, 2016, from https://obssr-archive.od.nih.gov/mixed_methods_research/

A2-6.08-v1.1