Evaluarea rezultatelor raportate de pacienți (RRP)

Introducere

În general, instrumentele de măsură a eficienței clinice reflectă rezultatele importante pentru pacienți, precum cele ținând de simptome, morbiditate sau mortalitate.

Uneori, rezultatele – cum ar fi un infarct, o tumoră malignă (cancer) sau decesul – pot fi identificate și măsurate printr-o definiție clinică creată de altcineva decât pacientul. Este, însă, din cel în ce mai clar că tratamentele nu trebuie să fie doar eficiente din punct de vedere clinic și economic, ci și acceptabile și dezirabile pentru pacienți. Instrumentele de măsurare a eficienței clinice nu ne pot spune cum se simte sau cum funcționează un pacient și ce dorește acesta să obțină în urma tratamentului. Măsurarea acestui element de acceptabilitate necesită dovezi bazat pe pacienți, care includ măsurarea stării de bine a acestora.

În acest sens, o importanță din ce în ce mai mare este acordată dezvoltării rezultatelor raportate de pacienți (RRP), bazate pe percepția pacienților asupra bolii și tratamentului (definiție adaptată pe baza definiției Agenției Europene a Medicamentului (EMA)). Instrumentele de măsurare a rezultatelor raportate de pacienți (IMRRP) sunt instrumentele utilizate pentru măsurarea RRP și colectarea datelor legate de acestea.

De ce sunt importante rezultatele raportate de pacienți?

Rezultatele raportate de pacienți sunt importante deoarece

furnizează punctul de vedere al pacienților asupra unei boli/unui tratament, în condițiile în care este posibil ca acest punct de vedere să nu fie reflectat de măsurătorile clinice, deși poate fi la fel de important pentru pacienți (și pentru respectarea de către aceștia a instrucțiunilor de tratament) ca și măsurătorile clinice. De exemplu, ne putem imagina un scenariu în care un pacient este diagnosticat cu boală pulmonară obstructivă cronică (BPOC). O analiză rapidă asupra studiilor clinice privind tratamentele pentru BPOC oferă următoarele informații:

Tiotropiul a redus numărul participanților care au raportat unul sau mai multe episoade de agravare în comparație cu [beta-agoniștii cu durată lungă de acțiune] (raport cote (RC) 0,86; interval de încredere (II) 95%, 0,79–0,93)… Nu a existat nicio diferență semnificativă statistic între volumul expirator forțat într-o secundă (VEF(1)) sau scorul simptomelor între participanții care au primit tiotropiu și cei tratați cu BADLA.

Care este semnificația acestor informații în ceea ce privește opinia pacienților privind noul tratament? Sau în ceea ce privește capacitatea acestora de a efectua activități cotidiene? Este necesară o înțelegere mai bună a semnificației pentru pacient a acestor rezultate. De exemplu:

- Un episod de agravare este un motiv de spitalizare? Sau este doar un episod de tuse care permite pacientului să rămână acasă?
- Testul de laborator al VEF(1) afectează în mod direct funcționarea pacienților?
- Scorul de simptome reflectă modul în care se simte pacientul sau reprezintă un instrument „obiectiv” de măsură pentru simptome?

Spre deosebire de rezultatele clinice standard, RRP ne oferă informații unice privind modul în care terapia poate afecta pacientul. Persoanele având exact aceeași stare de sănătate,

același diagnostic sau aceeași boală pot avea percepții diferite asupra modului în care se simt sau funcționează, deoarece capacitatea lor de adaptare la limitări, dizabilități și alți factori le poate modifica nivelul de satisfacție privind viața. Măsurile care țin de RRP sunt importante, deoarece pot crea o știință medicală mai concentrată pe beneficii reale care pot fi obținute de către pacienți.

Posibilitatea de măsurare a bunăstării fizice ca rezultat devine deosebit de importantă în situațiile clinice în care obiectivul principal al tratamentului este starea de bine a pacientului, nu prelungirea vieții sau reducerea episoadelor de manifestare a bolii. De exemplu, pacienții diagnosticați cu o boală cronică care nu le amenință viața pot fi mai preocupați de starea lor emoțională și de posibilitatea de a avea o viață normală. Un pacient cu o boală în fază terminală poate fi mai preocupat de nivelul de confort, de posibilitatea de a trăi mai mult și de impactul bolii sale asupra celor dragi.

Care sunt rezultatele importante? Cum sunt măsurate acestea?

RRP trebuie definite cu grijă pentru a reflecta informațiile importante pentru pacienți. Aceste informații trebuie, de asemenea, măsurate cu precizie și, pe cât posibil, într-un mod care să permită compararea lor cu alte valori măsurate. Dezvoltarea necorespunzătoare a conceptelor va avea ca rezultat măsurarea unor rezultate care nu sunt importante pentru pacienți (indiferent de precizia măsurătorilor), în timp ce metodele de măsurare necorespunzătoare vor identifica un rezultat important pentru pacienți, însă care este dificil de interpretat.

Acest lucru înseamnă că modul în care sunt formulate întrebările este foarte important; întrebările vagi pot furniza informații vagi și inutile. De exemplu, un pacient

poate fi întrebat: „Cum vă simțiți, pe o scară de la 1 la 10?” (1 însemnând „rău”, iar 10 – „foarte bine”). Această întrebare este foarte imprecisă. Întrebări mai clare privind bunăstarea emoțională influențată de mobilitate, respirație etc. vor furniza informații mai detaliate și mai clare. Alegerea precisă a elementelor de măsurat și a nivelului de detaliu al întrebărilor este, prin urmare, esențială.

În cazul RRP, un „concept” este un obiect al măsurătorilor, precum:

- un simptom sau un grup de simptome,
- efectele asupra unei anumite funcții sau a unui grup de funcții sau
- un grup de simptome sau funcții care reflectă gravitatea unei boli sau afecțiuni.

Odată stabilit „conceptul”, pacienților li se pun întrebări legate de acesta. Aceste întrebări poartă numele de „itemi”. Itemii au rolul de a permite înțelegerea modificărilor conceptului.

De exemplu, investigatorii care studiază reacția la o anumită terapie a pacienților cu BPOC pot descoperi că acestor pacienți le este mai dificil să efectueze anumite activități dimineața. Conceptul pe care decid să îl măsoare este greutatea și amplitudinea simptomelor matinale și capacitatea pacienților de a efectua activități în perioada respectivă a zilei. Itemii care reflectă acest concept pot consta în întrebări precum:

- În această dimineață v-ați spălat și alte părți ale corpului decât fața, de ex. ați făcut duș sau baie?
- V-ați îmbrăcat în această dimineață?
- V-ați deplasat prin casă în această dimineață, după ce ați luat medicamentele?

Pentru aceste întrebări, pot fi disponibile pentru pacienți răspunsuri precum:

- Da, am făcut acest lucru singur(ă)
- Da, dar am avut nevoie de ajutor
- Nu, nu am putut
- Nu, nu am făcut acest lucru din alte motive

Pacienții pot avea, de asemenea, opțiunea de a răspunde la o întrebare suplimentară, de exemplu „Cât de dificil v-a fost să efectuați această activitate?”.

În anumite cazuri, îngrijitorii sau medicii dezvoltă conceptele asociate unei boli și unui grup de pacienți. Necesitatea ca pacienții să contribuie la identificarea și dezvoltarea conceptelor este, însă, recunoscută într-o măsură din ce în ce mai mare.

Principalele concepte măsurate prin RRP

- **Calitatea vieții asociată stării de sănătate (CVASS)**
  CVASS este un concept multifuncțional, care reprezintă evaluarea de către pacient a efectului unei boli sau afecțiuni și al tratamentului acesteia asupra vieții cotidiene, inclusiv: funcția fizică, funcția psihologică, funcția socială, funcția de rol, funcția emoțională, stareade bine, vitalitatea, starea de sănătate etc.

- **Satisfacția pacienților**
  Evaluarea tratamentelor, preferințelor pacienților, sistemelor de acordare a îngrijirii medicale, personalului medical, programelor de educare a pacienților și dispozitivelor medicale.

- **Funcția fizică**
  Limitări fizice și restricții ale activității, inclusiv: îngrijirea personală, mersul pe jos, mobilitatea, somnul, sexul, dizabilitățile.

- **Starea psihologică**
  Emoțiile pozitive sau negative și funcționarea

cognitivă, inclusiv: furia, atenția, stima de sine, starea de bine interioară, suferința, capacitatea de adaptare.

- **Semne și simptome**
  Raportarea simptomelor sau senzațiilor fizice și fiziologice care nu sunt observabile în mod direct, inclusiv: energia și oboseala, greața, iritabilitatea.

- **Funcția socială**
  Limitări ținând de muncă sau școală, participarea la viața comunității.

- **Respectarea instrucțiunilor de tratament**
  Rapoarte sau observații privind utilizarea efectivă a tratamentelor.

- **Utilitatea**
  Utilitatea sau capacitatea de a oferi beneficii reprezintă capacitatea (percepută) a unui lucru de a satisface nevoi sau dorințe. În economia medicală, utilitatea măsoară intensitatea preferințelor pacientului. Aceasta poate ține, de exemplu, de importanța pe care pacientul o acordă diferiților factori precum simptomele, durerea și sănătatea psihologică. Impactul noilor tratamente asupra acestor factori, și prin urmare asupra calității vieții (CV), poate fi apoi calculat. Aceasta este o abordare frecvent utilizată de către organismele de evaluare a tehnologiilor medicale (HTA), care permite, de exemplu, identificarea tratamentelor care ar trebui finanțate de către ministerele sănătății.[1]

Măsurarea și interpretarea

Metodologia măsurătorilor este foarte importantă în cercetarea RRP. Odată ce s-au identificat și definit conceptul și itemii,

trebuie adoptate decizii atente privind:

- modul în care întrebările sunt prezentate pacienților,
- momentul în care întrebările sunt prezentate pacienților,
- modul de înregistrare a răspunsurilor **și**
- modul de interpretare a datelor.

În mod normal, RRP sunt măsurate prin chestionare sau sondaje care sunt:

- completate de către pacienți singuri,
- completate de către pacienți în prezența cercetătorului **sau**
- completate de către cercetător în timpul unui interviu telefonic sau față în față.

Fiecare dintre aceste abordări ale colectării informațiilor are avantaje și dezavantaje. De exemplu, deși utilizarea unor intervievatori instruiți reducere erorile și asigură completarea chestionarelor, este posibil ca resursele disponibile pentru studiu/tratament să nu permită acest lucru.

Este esențial ca abordările și metodele utilizate să abordeze percepțiile pacienților și conceptele măsurate efectiv, fără să se concentreze pe intervievator și pe modul în care sunt prezentate întrebările. În exemplul privind BPOC de mai sus, simptomele matinale pot fi determinate mai precis dacă chestionarul este administrat dimineața și nu într-o perioadă ulterioară a zilei.

Cercetătorii care dezvoltă aceste instrumente/unelte trebuie să depună toate eforturile pentru a se asigura că măsoară concepte importante pentru pacienți într-un mod repetabil și inteligibil. Tabelul 1 de mai jos oferă o prezentare generală a aspectelor importante care trebuie luate în considerare în cadrul IMRRP.

Aspecte de luat în calcul în cadrul IMRRP

Proprietate	Descriere
Fiabilitate	Măsurătorile sunt repetabile și consecvente și trebuie să permită distincția între modificările de reacție și cele cauzate de erorile administrative
Validitate	
Validitate nominală	Măsoară ce urmărește să măsoare
Validitatea criteriilor	Măsurători ale aspectelor importante pentru pacienți
Validitatea de conținut	Măsura în care un instrument acoperă toate dimensiunile relevante principale
Validitatea de construct	Măsurătorile reflectă ce se întâmplă în realitate
Reactivitatea	Modificarea măsurilor ca reacție la modificările CVASS
Caracterul practic	Măsurătorile sunt obținute cu ușurință, iar instrumentul este ușor de administrat.
Interpretarea	Semnificația măsurătorilor este înțeleasă de către clinicieni sau cercetători mai degrabă decât de către pacienți sau alte persoane

Rezultatele raportate de pacienți, evaluarea tehnologiilor medicale și implicarea pacienților

Numeroase organisme de evaluare a tehnologiilor medicale (HTA) se bazează pe sinteze ale dovezilor pentru a emite recomandări privind accesul la noile terapii. HTA se bazează în mare parte pe cercetări **cantitative** bazate pe datele clinice și pe experiența pacienților, așa cum este aceasta reflectată de

IMRRP.

În mod evident, o parte importantă a implicării pacienților în utilizarea IMRRP trebuie să aibă loc în etapele de dezvoltare clinică. Odată depus dosarul de cerere a autorizației de punere pe piață, însă, implicarea de acest tip poate fi prea dificilă.

Dezvoltarea a numeroase IMRRP nu a beneficiat de o implicare profundă a pacienților.[2]

Acest lucru înseamnă că IMRRP nu măsoară neapărat concepte importante pentru pacienți. Există câteva lucruri pe care grupurile pacienților le pot face pentru a elimina această lacună înainte, în timpul și după dezvoltarea IMRRP:

- **Evaluarea și analiza IMRRP** – Pacienții și grupurile de pacienți pot învăța să evalueze calitatea IMRRP. Apoi, aceștia pot utiliza informațiile astfel obținute pentru a informa și alte grupuri de pacienți în privința relevanței diferitelor scale. Acest lucru poate fi deosebit de important pentru pacienții care consimt să participe la studii clinice.
- **Identificarea necesității IMRRP** – Există o serie de inițiative care comunică cu pacienții pentru a identifica necesitățile legate de IMRRP. Acest lucru este deosebit de important pentru companii, care trebuie să identifice instrumentele de măsură în primele faze ale dezvoltării medicamentelor. Administrația S.U.A. a Alimentelor și Medicamentelor (Food and Drug Administration – FDA) și-a asumat un rol de lider în această privință (pentru mai multe informații, consultați http://www.patientnetwork.fda.gov/).
- **Dezvoltarea și evaluarea cadrelor conceptuale și/sau teoretice** – Validarea acestor instrumente necesită cercetări calitative în rândul pacienților. Deși pacienții erau consultați și în trecut, există o nevoie clară referitoare la colaborarea cu pacienții și la

sporirea influenței acestora în procesul de dezvoltare a IMRRP.

- **Crearea conceptelor prin conștientizarea RRP** – Atunci când pacienții își descriu experiența cu o anumită boală, aceștia identifică în mod indirect conceptele legate de sănătate care sunt cele mai importante pentru ei. Organismele de HTA încearcă deseori să găsească IMRRP care să conțină aceste concepte. Un anumit nivel de conștientizare a RRP care există deja poate ajuta pacienții să descrie mai bine experiențele și conceptele, astfel încât organismele de ETM să poată asigura capturarea RRP.
- **Susținerea IMRRP** – Grupurile de pacienți care au verificat IMRRP pot lua în calcul opțiunea de la le susține ca parte a proceselor de implicare a pacienților în HTA.
- **Evidențierea nevoilor** – Pacienții pot, de asemenea, marca IMRRP care nu au fost validate prin implicarea pacienților sau conceptele care necesită dezvoltarea unui RRP.
- **Verificarea rezultatelor HTA** – Numeroase decizii de HTA iau în considerare dovezi economice bazate pe măsurători ale calității vieții asociate stării de sănătate (CVASS). Măsurarea CVASS trebuie să fie relevantă pentru pacienți, deoarece aceste măsurători pot face diferența între deciziile afirmative sau negative privind includerea medicamentelor pe listele compensate sau permise.

Resurse suplimentare

- Food and Drug Association (2009). *Guidance for industry. Patient-reported outcome measures: Use in medicinal product development to support labelling claims.* Retrieved 6 January, 2016, from http://www.fda.gov/ucm/groups/fdagov-public/@fdagov-drugs-gen/documents/document/ucm193282.pdf

Referințe

1. PROQOLID (2015). ‘Free access level: Concept of interest’. Retrieved 6 January, 2016, from http://www.proqolid.org/about_proqolid
2. Staniszewska, S., Haywood, K.L., Brett, J., Tutton, L. (2012). ‘Patient and public involvement in patient-reported outcome measures: Evolution not revolution’. *The Patient*, 5(2), 79-87.

A2-6.06-v1.1