Medycyna oparta na faktach

Wprowadzenie

Lisa odczuwa silny ból po operacji. Lekarz musi wybrać, czy zastosować tabletki, co jest zgodne z zewnętrznymi danymi klinicznymi, czy zastrzyk, zgodnie z własnym doświadczeniem klinicznym i preferencjami pacjenta. Lekarz wie, że zgodnie z zewnętrznymi danymi klinicznymi tabletki zawierające morfinę byłyby najlepszym rozwiązaniem. Jednak częstym objawem ubocznym znieczulenia podanego Lisie podczas operacji są wymioty. Oznacza to, że jeśli Lisa otrzyma tabletkę i zacznie wymiotować, zwróci tabletkę, a więc ból nie zostanie uśmierzony. Lekarz i Lisa wiedzą z doświadczenia, że Lisa prawdopodobnie zacznie wymiotować w ciągu 30 minut od zakończenia znieczulenia. Dlatego lekarz decyduje się na podanie Lisie zastrzyku zawierającego morfinę, a nie tabletki.

W tym przykładzie lekarz decyduje na podstawie własnego doświadczenia klinicznego i preferencji pacjenta o zastosowaniu zastrzyku z morfiny zamiast tabletki zawierającej morfinę, choć ta ostatnia metoda ma najlepiej potwierdzone kliniczne dowody korzyści. Lekarz stosuje składnik leczniczy (morfinę) sugerowany przez zewnętrzne dane kliniczne, ale postanawia zastosować inną postać leku (wstrzyknięcie zamiast tabletki).

Jest to przykład podejmowania przez lekarza konkretnych decyzji na temat leczenia na podstawie dowodów i rozmowy z pacjentem.

Co to jest medycyna oparta na

faktach?

Medycyna oparta na faktach jest to proces systematycznego sprawdzania, oceniania i stosowania wyników klinicznych badań naukowych, aby zapewnić pacjentom najlepszą możliwą opiekę kliniczną. Ważne jest, aby pacjenci byli świadomi, czym jest medycyna oparta na faktach, ponieważ dzięki temu mogą podejmować bardziej przemyślane decyzje dotyczące postępowania i leczenia danej choroby. Wiedza o medycynie opartej na faktach pozwala także lepiej oceniać ryzyko, zachęca do właściwego stosowania wybranych procedur i pomaga lekarzowi i pacjentowi w podejmowaniu decyzji na podstawie faktów naukowych.

Medycyna oparta na faktach stanowi połączenie zasad i metod. Wdrożenie ich do postępowania zapewnia, że decyzje dotyczące leczenia, wytyczne i zasady opierają się na **najlepszych aktualnych dowodach** dotyczących działania różnych form leczenia i ogólnie opieki zdrowotnej. Jeśli chodzi o leki, medycyna oparta na faktach polega głównie na informacjach uzyskanych w wyniku przeprowadzenia oceny korzyści i ryzyka (skuteczności i bezpieczeństwa) ich stosowania.

Koncepcja medycyny opartej na faktach powstała w latach 50. XX wieku. Wcześniej decyzje dotyczące leczenia podejmowano przede wszystkim na podstawie wiedzy nabytej podczas studiów, doświadczenia klinicznego i lektury czasopism medycznych. Jednak badania wykazywały, że decyzje takie różniły się istotnie zależnie od podejmującej je osoby. Powstała podstawa umożliwiająca wdrażanie systematycznych metod gromadzenia, oceniania i porządkowania danych uzyskanych podczas badań, a to doprowadziło do powstania medycyny opartej na faktach. Od chwili wdrożenia medycyna oparta na faktach została doceniona przez lekarzy, firmy farmaceutyczne, władze i społeczeństwo.

Osoby podejmujące decyzję muszą uwzględniać wiedzę płynącą z ich doświadczeń klinicznych, a także najlepsze dane z

kontrolowanych badań klinicznych i naukowych. Istotne jest połączenie doświadczenia klinicznego i kontrolowanych badań klinicznych w procesie podejmowania decyzji. Bez doświadczenia klinicznego ryzyko związane z danym leczeniem mogłoby doprowadzić do niepożądanych skutków.

5-etapowy model medycyny opartej na faktach

Koncepcja medycyny opartej na faktach opiera się na **5-**etapowym modelu:

1. Sformułowanie właściwego klinicznie pytania (lekarz wyszukuje informacje, aby określić prawidłowe rozpoznanie)
2. Wyszukiwanie najlepszego dowodu (lekarz wyszukuje dowody wspierające wyniki uzyskane na Etapie 1)
3. Ocena jakości dowodu (lekarz zapewnia, że jakość i wiarygodność są wysokie)
4. Wykorzystanie dowodu do podjęcia decyzji klinicznej (na podstawie Etapów 1-3 lekarz i pacjent wspólnie podejmują przemyślaną decyzję dotyczącą leczenia)
5. Ocena procesu (lekarz i pacjent ocenią, czy osiągnięto zamierzony wynik i w razie potrzeby zmodyfikują odpowiednio decyzję dotyczącą leczenia)

W przykładzie na początku wybór lekarza jest zgodny z zasadami medycyny opartej na faktach, a także z decyzją pacjenta). Decyzja lekarza obejmuje świadome, jawne i rozsądne wykorzystanie najlepszego w obecnym momencie dowodu, a także doświadczeń pacjenta, podczas decydowania o sposobie zapewnienia pacjentowi najlepszego leczenia.

Zaangażowanie pacjenta w proces podejmowania decyzji odgrywa ważną rolę w tworzeniu nowych zasad dotyczących wytycznych leczenia. Obejmuje ono czytanie, rozumienie i działanie na podstawie informacji dotyczących zdrowia; współpracę z

lekarzami w celu oceny i wyboru odpowiednich opcji leczenia oraz przedstawienie opinii o wynikach. Pacjenci są aktywni na wszystkich poziomach dotyczących dowodów.

Ocenianie dowodów pod kątem medycyny opartej na faktach

Aby ocenić jakość dowodu, zebrane informacje są dzielone zgodnie z różnymi poziomami wiarygodności. Piramida na rycinie poniżej przedstawia różne poziomy wiarygodności i ich relatywną ważność.

Poziomy wiarygodności są przydatne podczas oceniania jakości dowodu.

Opinie redakcji medycznych i ekspertów

Jest to dowód oparty na opiniach panelu ekspertów służących do wypracowania powszechnej praktyki medycznej.

Serie przypadków lub raporty

Serie przypadków są to badania opisowe dotyczące jednej niewielkiej grupy osób. Stanowią dodatki lub uzupełniania do raportów dotyczących przypadków. Raport dotyczący przypadku to szczegółowy opis oznak, objawów, rozpoznania, leczenia i badań kontrolnych u danego pacjenta.

Badanie kliniczno-kontrolne

Badanie kliniczno-kontrolne jest obserwacyjnym badaniem retrospektywnym (wykorzystującym dane historyczne) porównującym pacjentów cierpiącym na daną chorobę z osobami zdrowymi. Następstwa takie jak rak płuc są zwykle badane za pomocą badań kliniczno-kontrolnych. W tym celu przeprowadza się rekrutację osób palących (grupa narażona) i niepalących (grupa nienarażona), i obserwuje się je przez jakiś czas. Różnice występowania raka płuc pomiędzy grupami są następnie dokumentowane, umożliwiając wyodrębnienie ocenianej zmiennej („zmienna niezależna” – w tym wypadku palenie) jako przyczyny „zmiennej zależnej” – w tym wypadku raka płuc.

W tym przykładzie statystycznie istotny wzrost zachorowalności na raka płuc w grupie palących w porównaniu z grupą niepalących będzie traktowany jako dowód na rzecz istnienia relacji przyczynowej pomiędzy paleniem a rakiem płuc.

Badanie kohortowe

Zgodnie ze współczesną definicją „kohorta” w badaniach klinicznych to grupa osób o określonych cechach, które są obserwowane w celu określenia wyników związanych ze zdrowiem.

Badanie Framingham Heart Study jest przykładem badania kohortowego prowadzonego w celu uzyskania odpowiedzi na pytanie epidemiologiczne. Badanie Framingham rozpoczęło się w 1948 roku i trwa nadal. Jego celem jest zbadanie wpływu kilku czynników na zachorowalność na choroby serca. Pytanie, na które badanie ma dać odpowiedź, brzmi: Czy takie czynniki jak wysokie ciśnienie krwi, palenie, nadwaga, cukrzyca, ćwiczenia itd. mają związek z rozwojem choroby serca? W celu zbadania każdego zagrożenia (np. palenia) badacze przeprowadzili rekrutację kohorty palaczy (narażonej) i kohorty niepalących (nienarażonej). Kohorty są następnie obserwowane przez określony czas. Różnice w zachorowalności na chorobę serca pomiędzy kohortami przy końcu wyznaczonego okresu zostają udokumentowane. Kohorty są dopasowywane pod kątem wielu innych zmiennych, takich jak:

- Status ekonomiczny (na przykład wykształcenie, dochody i zawód)
- Stan zdrowia (na przykład występowanie innych chorób)

Oznacza to, że można wyodrębnić ocenianą zmienną („zmienną niezależną" – w tym wypadku palenie) jako przyczynę „zmiennej zależnej" – w tym wypadku choroby serca.

W tym przykładzie statystycznie istotny wzrost zachorowalności na choroby serca w grupie palących w porównaniu z grupą niepalących będzie traktowany jako dowód na rzecz istnienia relacji przyczynowej pomiędzy paleniem a rozwojem choroby serca. Wyniki badania Framingham Heart Study w ciągu wielu lat dostarczyły przekonujących dowodów, że choroby sercowo-naczyniowe są w większości skutkiem narażenia na możliwe do zmierzenia i zmodyfikowania czynniki ryzyka oraz że poszczególne osoby mogą kontrolować stan zdrowia serca za pomocą: starannej obserwacji diety i stylu życia ludzi oraz zmiany przyjmowania tłuszczów nasyconych, cholesterolu oraz palenia; redukcji masy ciała lub wdrożenia aktywności fizycznej oraz regulowania poziomu stresu i ciśnienia krwi. Obecną wiedzę o relacjach pomiędzy pewnymi czynnikami ryzyka i

chorobą serca zawdzięczamy badaniu Framingham Heart Study.

Innym przykładem badania kohortowego prowadzonego od wielu lat jest Narodowe Badanie Rozwoju Dziecka (ang. National Child Development Study, NCDS), największe spośród badań kohortowych obejmujących osoby urodzone w Wielkiej Brytanii. Największym badaniem dotyczącym kobiet jest Badanie Zdrowia Pielęgniarek. Rozpoczęło się w 1976 roku i objęło 120 000 kobiet. Dane z badania były analizowane pod kątem wielu różnych schorzeń i wyników.

Randomizowane badanie kliniczne

Randomizowane badanie kliniczne to jedno z badań, w których pacjentów przydziela się do różnych ramion badania za pomocą randomizacji. Oznacza to, że grupy leczenia są wybierane losowo za pomocą oficjalnego systemu, a każdy uczestnik ma równe szanse znalezienia się w każdym z ramion.

Metaanaliza

Metaanaliza jest systematycznym przeglądem danych opartym na statystyce, przeciwstawiającym i łączącym wyniki z różnych, ale pokrewnych badań, stanowiącym próbę identyfikacji wzorców, niezgodności i innych relacji między wieloma badaniami. Metaanaliza może zapewniać wnioski mocniejsze niż indywidualne badania, ale może także zawierać błąd systematyczny wynikający z publikacji.

Badanie wyników

Badanie wyników to szerokie określenie bez spójnej definicji. Krótko mówiąc, badania wyników polegają na śledzeniu wyników opieki medycznej – wpływu procesu opieki zdrowotnej na zdrowie i dobre samopoczucie pacjentów. Innymi słowy, badanie wyników klinicznych ma za zadanie monitorowanie, zrozumienie i poprawę działania leczenia medycznego na określonego pacjenta lub populację. Zmierza do opisywania badań, które koncentrują się

na skuteczności interwencji instytucji zdrowia publicznego i usług zdrowotnych, a więc wyników tych usług.

W centrum uwagi często znajdują się pojedyncze osoby – a więc kliniczne punkty końcowe (wyniki ogólne) najodpowiedniejsze dla pacjenta lub populacji. Takimi punktami końcowymi mogą być jakość życia lub poziom bólu. Badanie wyników może się jednak skupiać również na skuteczności opieki zdrowotnej w oparciu o różne wskaźniki, m.in. opłacalność, stan zdrowia, obciążenie chorobą (wpływ problemu zdrowotnego)

Różnica pomiędzy medycyną opartą na faktach oraz badaniem wyników leży w punkcie zainteresowania: O ile głównym punktem zainteresowania medycyny opartej na faktach jest zapewnienie pacjentowi najlepszej opieki zgodnie z dowodami klinicznymi i doświadczeniem, o tyle zainteresowanie badania wyników koncentruje się na wcześniej zdefiniowanych punktach końcowych. W badaniu wyników klinicznych te punkty końcowe to zwykle właściwe klinicznie punkty końcowe.

Przykłady punktów końcowych właściwych dla badania wyników

Rodzaj punktu końcowego	**Przykład**
Miara fizjologiczna (biomarker)	Ciśnienie krwi
Kliniczny	Niewydolność serca
Objawy	Kaszel
Funkcjonowanie i opieka	Pomiar funkcjonowania, na przykład zdolność do wykonywania codziennych zajęć, oceny jakości życia

W badaniu wyników, istotnymi punktami końcowymi często są objawy lub środki funkcjonalne i środki opieki – elementy uważane za ważne przez pacjenta otrzymującego leczenie. Na przykład pacjent z zakażeniem otrzymujący penicylinę może być bardziej zainteresowany ustąpieniem gorączki i poprawą samopoczucia niż wpływem penicyliny na rzeczywisty poziom

zakażenia. W tym przypadku ich objawy oraz samopoczucie są uważane za bezpośrednią ocenę stanu zdrowia – inaczej mówiąc cele, na których skupia się badanie wyników. Prawdopodobnie pacjent interesuje się także możliwymi działaniami ubocznymi penicyliny, a także kosztem leczenia. W przypadku innych chorób, takich jak rak, ważnym dla pacjenta wynikiem klinicznym jest ryzyko śmierci.

Jeśli czas trwania badania jest długi, badania wyników mogą użyć pojęcia „substytutu punktu końcowego". O zastępczym punkcie końcowym mówimy, jeśli do mierzenia wyniku zostanie użyty marker – działa jako substytut punktu końcowego skuteczności klinicznej. Wyobraźmy sobie badanie kliniczne, w którym efekt leczenia penicyliną jest mierzony za pomocą zmniejszenia stężenia specjalnego białka (tzw. białka c-reaktywnego), które jest zawsze obecne we krwi. U zdrowego człowieka stężenie tego białka we krwi jest bardzo niskie, ale poważnie wzrasta po ostrym zakażeniu. Mierzenie stężenia białka c-reaktywnego jest zatem bezpośrednim sposobem mierzenia zakażenia w organizmie – w tym wypadku białko służy jako biomarker zakażenia. Biomarker jest możliwym do zmierzenia wskaźnikiem stanu choroby. Pozostaje w związku z ryzykiem progresji choroby lub z prawdopodobną odpowiedzią na zastosowane leczenie. W codziennej praktyce pobiera się od pacjenta próbkę krwi, w której mierzy się stężenie biomarkera.

Należy podkreślić, że w przypadku zastępczych punktów końcowych przeznaczonych do wykorzystania w celach rejestracyjnych, marker powinien wcześniej zostać potwierdzony lub poddany walidacji. Należy dowieść, że zmiany dotyczące biomarkera korelują (odpowiadają) z klinicznym wynikiem dotyczącym danej choroby i efektem leczenia.

Inne materiały i zasoby

- World Health Organisation (2008). *Where are the patients in decision-making about their own care?* Retrieved 31

August, 2015, from http://www.who.int/management/general/decisionmaking/WhereArePatientsinDecisionMaking.pdf

A2-1.10-v1.3