

Ocena wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (ang. Patient-reported outcomes, PRO)

Wprowadzenie

Pomiary efektywności klinicznej zwykle odzwierciedlają wyniki ważne dla pacjentów, takie jak objawy, zachorowalność lub umieralność.

Czasem wyniki – takie jak zawał serca, złośliwy proces rozrostowy (rak) czy zgon – może określać i mierzyć inna niż pacjent osoba, korzystając z definicji klinicznej. Coraz powszechniejsza jednak staje się świadomość, że leczenie powinno być nie tylko skuteczne klinicznie i opłacalne, ale także akceptowalne i pożądane przez pacjentów. Pomiary efektywności klinicznej nie informują o samopoczuciu czy funkcjonowaniu pacjenta ani o tym, czego oczekuje od leczenia. Mierzenie tego elementu akceptowalności wymaga dowodów dostarczonych przez pacjentów, do których należą ankiety dotyczące dobrostanu.

W tym celu coraz większy nacisk kładzie się na rozwijanie wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (PRO), które bazują na ich postrzeganiu choroby i leczenia (przygotowano na podstawie definicji Europejskiej Agencji Leków (EMA)). Pomiary wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (ang. Patient-reported outcome measures, PROM) to narzędzia stosowane do gromadzenia danych dotyczących PRO.

Dlaczego wyniki świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów są ważne?

Wyniki świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów są ważne, ponieważ pozwalają spojrzeć na chorobę/leczenie z perspektywy pacjenta. Pomiary kliniczne mogą nie dostarczać takich danych, które mogą być dla pacjenta (i przestrzegania przez niego reżimu leczenia) równie ważne jak pomiary kliniczne. Wyobraźmy sobie na przykład sytuację, w której u pacjenta zostaje rozpoznana przewlekła obturacyjna choroba płuc (POChP). Szybki przegląd badań klinicznych dotyczących leczenia POChP ujawnia następujące informacje:

Tiotropium powoduje zmniejszenie liczby uczestników, u których występuje co najmniej jedno zaostrzenie, w porównaniu z [długo działającymi agonistami beta] (iloraz szans (OR) 0,86; przedział ufności (CI) 95% od 0,79 do 0,93)... Nie odnotowano statystycznie istotnej różnicy dotyczącej wymuszonej objętości wydechowej w ciągu jednej sekundy (FEV(1)) lub wyniku oceny objawów pomiędzy uczestnikami leczonymi tiotropium i LABA.

Co te informacje mówią o samopoczuciu pacjenta w czasie nowego leczenia? Czego można dowiedzieć się o ich możliwościach wykonywania codziennych czynności? Niezbędna jest głębsze zrozumienie znaczenia tych wyników dla pacjenta. Na przykład:

- Czy zaostrzenie to stan wymagający hospitalizacji? Czy też jest to okres kaszlu, który można przetrwać w domu?
- Czy badanie laboratoryjne FEV(1) wpływa bezpośrednio na funkcjonowanie pacjenta?
- Czy wynik oceny objawów informuje o samopoczuciu pacjenta lub jest „obiektywnym” miernikiem objawów?

Inaczej niż w przypadku standardowych wyników klinicznych, PRO dostarczają wyjątkowych informacji o możliwym wpływie leczenia na pacjenta. Osoby o takim samym stanie zdrowia, z takim samym

rozpoznaniem lub chorobą mogą różnie postrzegać swoje samopoczucie i funkcjonowanie, ponieważ zdolność do radzenia sobie z ograniczeniami i niepełnosprawnością, a także inne czynniki, mogą zmieniać poziom zadowolenia z życia. Mierzenie PRO jest ważne, ponieważ mogą one kierować nauki medyczne w stronę większego zainteresowania rzeczywistymi korzyściami osiągalnymi dla pacjentów.

Możliwość mierzenia dobrostanu jako wyniku nabiera znaczenia w sytuacjach klinicznych, których głównym celem leczenia jest dobrostan właśnie, a nie przedłużenie życia lub zmniejszenie zdarzeń związanych z chorobą. Na przykład pacjenci z rozpoznaniem choroby przewlekłej niezagrażającej bezpośrednio życiu mogą najbardziej się martwić o swój stan emocjonalny i możliwości pełnego korzystania z życia. Pacjenci śmiertelnie chorzy mogą bardziej martwić o poziom komfortu życia, możliwość jego przedłużenia i wpływ choroby na ich najbliższych.

Jakie wyniki są ważne? Jak są mierzone?

Wyniki świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów muszą być dokładnie zdefiniowane, tak aby dostarczały informacji ważnych dla chorych. Te informacje muszą być mierzone z maksymalną dokładnością i w taki sposób, aby można było je porównywać z innymi pomiarami. Niedopracowane pojęcia będą powodować mierzenie wyników nieistotnych dla pacjentów (jednak mierzonych dokładnie), a niedopracowane metody pomiaru będą wskazywać wyniki ważne dla pacjentów, ale trudne do interpretacji.

Oznacza to, że ogromne znaczenie ma sformułowanie pytania – nieprecyzyjne pytania będą źródłem nieprecyzyjnych, a przez to bezużytecznych odpowiedzi. Na przykład można pacjenta zapytać „Jak oceniasz swoje samopoczucie w skali od 1 do 10?” (gdzie 1 oznacza źle, a 10 znakomicie). To bardzo nieprecyzyjne.

Dokładniejsze pytania dotyczące dobrostanu psychicznego, na który wpływają możliwości poruszania się, oddychania itd. dostarczą bardziej szczegółowych i konkretnych informacji. Dlatego krytyczne znaczenie ma precyzyjne określenie, co należy mierzyć i jak szczegółowe musi być pytanie.

W przypadku PRO „pojęcie” jest przedmiotem pomiaru, na przykład:

- objaw lub grupa objawów
- oddziaływanie na konkretną funkcję lub grupę funkcji, lub
- grupa objawów lub funkcji, która, jak wykazano, jest miarą powagi stanu zdrowia.

Po uzgodnieniu „pojęcia” pacjentom zadaje się odnoszące się do niego pytania. Określa się je jako „elementy”. Pytanie o elementy zadaje się w celu zrozumienia zmian w obrębie pojęcia.

Na przykład badacze zajmujący się reakcją pacjentów z P0ChP na leczenie mogą zauważyć, że pacjenci wskazują na większe trudności z wykonywaniem zadań rano. Pojęciem, które zdecydowali się mierzyć, jest nasilenie i rozległość objawów porannych, i zdolność pacjentów do wykonywania czynności o tej porze dnia. Elementami służącymi do zdobycia informacji na temat tego pojęcia mogą być przykładowe pytania:

- Czy rano myłeś tylko twarz, czy też całe ciało, brałeś natrysk lub kąpiel?
- Czy ubrałeś się rano?
- Czy wcześniej rano, po przyjęciu leków, chodziłeś po domu?

Odpowiedzi pacjentów mogą być bardzo różne, na przykład:

- Tak, zrobiłem to
- Tak, ale potrzebowałem pomocy
- Nie, nie byłem w stanie

- Nie, nie zrobiłem tego z innego powodu

Można także umożliwić pacjentom odpowiedzenie na pytanie uzupełniające, takie jak „Jak trudne było dla Ciebie wykonanie tej czynności?”

W niektórych wypadkach opiekunowie lub lekarze przygotowują pojęcie połączone z chorobą i grupą pacjentów. Jednak coraz wyraźniej wskazywana jest konieczność uczestnictwa samych pacjentów we wskazywaniu i opracowywaniu pojęć.

Najważniejsze pojęcia mierzone w przypadku wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów

- **Jakość życia związana ze zdrowiem (ang. Health-related Quality of Life, HRQoL)**

HRQoL jest pojęciem wielowymiarowym; przedstawia sformułowaną przez pacjenta ocenę jego stanu zdrowia i leczenia w odniesieniu do codziennego życia, co obejmuje między innymi: funkcjonowanie fizyczne, psychiczne, społeczne, zawodowe, emocjonalne, dobrostan, żywotność, stan zdrowia, itp.

- **Zadowolenie pacjenta**

Ocena leczenia, preferencji pacjenta, systemów opieki zdrowotnej i lekarzy, programów edukacji pacjentów i produktów medycznych.

- **Funkcjonowanie fizyczne**

Ograniczenia fizyczne i dotyczące wykonywania określonych czynności, a w tym: czynności pielęgnacyjne, chodzenie, poruszanie się, seks, upośledzenia.

- **Stan psychiczny**

Afekty pozytywne i negatywne i funkcje poznawcze, a w tym: złość, czujność, poczucie własnej wartości, poczucie dobrostanu, cierpienie, mechanizmy obronne.

- **Oznaki i objawy**

Zgłaszanie fizycznych i psychicznych objawów lub odczuć nieobserwowanych bezpośrednio, a w tym: energia i zmęczenie, nudności, drażliwość.

- **Funkcjonowanie społeczne**

Ograniczenia w pracy lub szkole, uczestnictwo w życiu społecznym.

- **Przestrzeganie reżimu leczenia**

Raporty lub obserwacje dotyczące rzeczywistego stosowania leczenia.

- **Użyteczność**

Użyteczność lub przydatność to inaczej (postrzegana) zdolność jakiegoś dobra do zaspokajania potrzeb i życzeń. W ekonomice zdrowia służy do pomiaru siły preferencji pacjenta. Na przykład określa znaczenie dla pacjenta różnych czynników, takich jak objawy, ból i zdrowie psychiczne. Można obliczyć wpływ nowych metod leczenia na te czynniki, a tym samym na jakość życia. Jest to typowe podejście stosowane przez organy dokonujące oceny technologii medycznych, które doradzają o ewentualnym finansowaniu zabiegów przez (na przykład) rządowe departamenty zdrowia.¹

Sposoby wykonywania pomiarów i interpretacji

Metodologia pomiarów ma wielkie znaczenie w badaniach PRO. Po określeniu i ustanowieniu pojęcia i elementów należy także podjąć decyzje dotyczące:

- sposobu przedstawiania pytań pacjentom,
- czasu przedstawiania pytań pacjentom,
- sposobu rejestrowania odpowiedzi **oraz**

- sposobu interpretowania danych.

PRO są zwykle mierzone za pomocą kwestionariuszy lub ankiet, które:

- pacjenci wypełniają samodzielnie,
- pacjent wypełnia w obecności badacza **lub**
- wypełnia badacz podczas wywiadu osobistego lub telefonicznego.

Różne metody gromadzenia informacji mają swoje wady i zalety. Na przykład, choć zatrudnienie przeszkolonych ankieterów ogranicza błędy i gwarantuje wypełnienie ankiet, zasoby badania lub leczenia mogą być niewystarczające do takich działań.

Najważniejsze jest, aby zastosowane podejścia i metody były nakierowane na spostrzeżenia pacjenta i faktyczne mierzone pojęcia, a nie na ankietera i sposób zadawania pytań. W omawianym powyżej przykładzie dotyczącym POChP objawy poranne można ustalić z większą pewnością, jeśli kwestionariusz zostanie wypełniony rano, a nie później w ciągu dnia.

Badacze opracowujący takie narzędzia/instrumenty muszą podejmować wszelkie działania, aby zapewnić, że mierzą pojęcia ważne dla pacjentów w sposób powtarzalny i zrozumiały. W Tabeli 1 poniżej przedstawiono przegląd ważnych aspektów, które należy uwzględnić w pomiarach wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów.

Aspekty, które należy uwzględnić w pomiarach wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (PROM).

Właściwość	Opis
Wiarygodność	Pomiary są powtarzalne i spójne, muszą rozróżniać zmiany w odpowiedziach i zmiany wynikające z błędów administracyjnych.

Właściwość	Opis
Trafność	
Trafność fasadowa	Mierzy to, co jest przewidziane do zmierzenia
Trafność kryterium	Pomiar aspektów rzeczywiście ważnych dla pacjentów
Trafność treściowa	Stopień, w jakim narzędzie obejmuje wszystkie główne miary mające znaczenie dla pomiaru zjawiska
Trafność teoretyczna	Pomiary odzwierciedlają to, co dzieje się w rzeczywistości
Wrażliwość	Zmiana pomiarów w reakcji na zmianę w ocenie jakości życia warunkowanej stanem zdrowia
Praktyczność	Pomiary są uzyskiwane z łatwością, a narzędziami łatwo administrować.
Możliwość interpretacji	Znaczenie pomiarów jest zrozumiałe dla lekarzy lub badaczy, a nie dla pacjentów i innych osób

Wyniki zgłaszane przez pacjentów, ocena technologii medycznych i zaangażowanie pacjentów

Wiele organów oceniających technologie medyczne polega jedynie na syntezie dowodów jako podstawie rekomendacji dotyczących dostępu do nowych terapii. Ocena technologii medycznych odwołuje się w większości do badań **ilościowych** bazujących na danych klinicznych i doświadczeniach pacjentów dostarczanych przez PROM.

Wyraźnie widać, że zaangażowanie pacjentów prowadzące do wykorzystania PRO powinno mieć miejsce na etapach rozwoju

klinicznego. Jednak po złożeniu wniosku o wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu taki rodzaj zaangażowania może nastroczać zbyt wiele problemów.

Wiele pomiarów PROM zostało sporządzonych bez szerokiego udziału pacjentów.²

Oznacza to, że niekoniecznie mierzą one pojęcia ważne dla pacjentów. Aby zlikwidować tę lukę, grupy pacjentów mają wiele możliwości działania przed, podczas i w trakcie opracowywania PROM:

- **Ocena i sprawdzanie pomiarów PROM** – pacjenci i ich grupy mogą się nauczyć oceniania jakości pomiarów PROM. Uzyskane informacje można następnie przekazać podobnym grupom pacjentom, aby miały świadomość, które skale są właściwe, a które nie. Może to być szczególnie ważne dla pacjentów wyrażających świadomą zgodę na udział w badaniach klinicznych.
- **Identyfikacja potrzeby pomiarów PROM** – istnieją inicjatywy angażujące pacjentów, którzy określają potrzebę pomiarów PROM. Ma to szczególne znaczenie dla firm, które muszą zidentyfikować pomiary na bardzo wczesnym etapie rozwoju leków. Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków także podjęła pewne działania sprawcze w tym obszarze (więcej informacji na stronie <http://www.patientnetwork.fda.gov/>)
- **Tworzenie i ocenianie ram pojęciowych i/lub teoretycznych** – ocena takich narzędzi wymaga badań jakościowych z udziałem pacjentów. Choć w przeszłości konsultowano się z pacjentami, istnieje wyraźna potrzeba współpracy z nimi i umożliwienia im większego wpływu na tworzenie pomiarów PROM.
- **Dostarczanie pojęć dzięki świadomości wyników PRO** – kiedy pacjenci opisują doświadczenia związane z chorobą, pośrednio wskazują najważniejsze dla nich pojęcia związane ze zdrowiem. Organy HTA często próbują znaleźć

pomiary PROM, które pozwoliłyby uchwycić te pojęcia. Pewna świadomość tego, które wyniki PRO już istnieją, może pomóc pacjentom w lepszym opisywaniu doświadczeń i pojęć organom HTA, aby zapewnić, że wyniki PRO zostały uzyskane.

- **Promowanie pomiarów PROM** – grupy pacjentów, które sprawdziły wyniki PROM, mogą także promować je jako część procesów zaangażowania pacjentów w ocenę technologii medycznych.
- **Eksponowanie potrzeb** – pacjenci mogą także wskazywać, które wyniki PROM nie zostały potwierdzone przy udziale pacjentów, lub które pojęcia wymagają uzyskania wyników PRO.
- **Sprawdzanie wyników oceny technologii medycznych** – wiele decyzji dotyczących oceny technologii medycznych uwzględnia dowody ekonomiczne oparte na pomiarach jakości życia związane ze zdrowiem. Pomiary jakości życia związanej ze zdrowiem powinny być ważne dla pacjentów, ponieważ mogą pozwalać rozróżnić dobre i złe decyzje o umieszczeniu w wykazie leków.

Inne materiały i zasoby

- Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (2009). *Wytyczne branżowe. Wyniki świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów: zastosowanie w rozwijaniu produktów medycznych w celu wspomaganie oświadczeń dotyczących zarejestrowanych wskazań do stosowania*. Pobrano 6 stycznia 2016 r. ze strony <http://www.fda.gov/ucm/groups/fdagov-public/@fdagov-drug-s-gen/documents/document/ucm193282.pdf>

Piśmiennictwo

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