

Ricerca quantitativa e qualitativa a supporto dell'HTA

Introduzione

Lo sviluppo di tecnologie (farmaco/trattamento/dispositivo) si basa in modo considerevole sulla ricerca: la raccolta di informazioni o di dati per produrre nuova conoscenza. Tutto ciò è guidato dal bisogno di fornire evidenze per:

- le agenzie di regolamentazione riguardo alla sicurezza e al potenziale beneficio (efficacia) di una nuova terapia, e
- i pagatori riguardo all'efficacia di una nuova terapia nel mondo reale insieme a informazioni sul costo e sull'uso previsto della terapia.

La ricerca utilizzata nello sviluppo di farmaci o in qualsiasi altra disciplina (come l'antropologia, la sociologia, l'astronomia, la chimica) può essere classificata come "qualitativa" o "quantitativa".

Cos'è la ricerca quantitativa?

La ricerca quantitativa, come implica il nome stesso, si occupa dei risultati quantificabili delle osservazioni. Dati quantitativi sono qualsiasi dato in forma numerica come statistiche, percentuali ecc. Un tipo familiare di ricerca quantitativa per la maggioranza delle persone è la statistica applicata alla popolazione, dove le percentuali di certi tipi di persone (ad esempio, 30% donne, 10% disoccupati ecc.) sono utilizzati per aiutare i legislatori e altri a prendere decisioni che riguardano la popolazione, Le informazioni

biostatistiche (come la prevalenza, in termini percentuali, di infarti) è utilizzata in medicina per aiutare gli operatori sanitari e gli amministratori a prendere decisioni riguardo ai piani sanitari.

Tipi comuni di ricerca quantitativa nello sviluppo di tecnologia sanitaria sono le sperimentazioni, spesso sotto forma di studi controllati randomizzati, i quali cercando di comprendere gli effetti di una nuova tecnologia a confronto con altri trattamenti o (raramente) nessun trattamento. Vengono misurate e prese in considerazione le caratteristiche dei pazienti così come la dose e la frequenza della nuova terapia. I pazienti vengono osservati e vengono raccolti dati importanti come i cambiamenti nei parametri misurabili della malattia interessata (endpoint), possibili effetti collaterali (eventi avversi) e dati soggettivi come i punteggi relativi al dolore. Si suppone che tali osservazioni riflettano in modo imparziale la realtà e siano predittive per il futuro. Ad esempio, se in sperimentazioni ripetute un nuovo farmaco riduce gli infarti a confronto con un comparatore, si suppone che ciò probabilmente si verificherà con lo stesso tipo di farmaco in pazienti simili in una situazione di mondo reale (a differenza di una situazione più controllata durante uno studio).

Cos'è la ricerca qualitativa?

La presa in considerazione degli eventi che si sono verificati in un certo luogo e tempo (ricerca quantitativa) può aiutarci a comprendere cosa potrebbe accadere in futuro. Tuttavia, ciò fornisce minime informazioni sui sentimenti o sulle motivazioni. La ricerca qualitativa può fornire maggiori informazioni sui modi in cui un paziente reagisce a un evento negativo (come un ricovero in ospedale) o gestisce un nuovo regime di trattamento.

Ad esempio, la ricerca quantitativa può fornire pochissime

informazioni riguardo a fattori come:

- valori o organizzazioni sociali o culturali
- relazioni paziente-medico
- stigma **oppure**
- conflitti con visioni religiose o culturali.

Una nuova tecnologia contraccettiva può impedire gravidanze, ma potrebbe essere indesiderabile in popolazioni che hanno forti motivazioni culturali o religiose. Per comprendere quanto la tecnologia contraccettiva è desiderabile per i pazienti e per la società, è necessario che venga studiata utilizzando un diverso approccio di ricerca. A riguardo, può essere utile la ricerca qualitativa.

La ricerca qualitativa è importante perché offre una comprensione più complessiva e sostenibile di come o perché una popolazione potrebbe utilizzare una nuova terapia o di come le persone si sentiranno a utilizzarla. La ricerca qualitativa è principalmente ricerca esplorativa: è stata descritta come “un approccio sistematico, soggettivo per descrivere le esperienze di vita e dare loro significato”.¹

Questo tipo di ricerca è un modo per ottenere conoscenze delle ragioni e delle motivazioni sottostanti e per scoprire gli attuali pensieri od opinioni degli individui. Fornisce informazioni riguardo a un problema o contribuisce a sviluppare idee o ipotesi per potenziali ricerche quantitative. Mentre un singolo paziente potrebbe sentire fortemente che i pagatori debbano fornire accesso a un nuovo farmaco, i pagatori devono prendere in considerazione ciò che la società desidera nel suo insieme. È possibile che le credenze, gli atteggiamenti o i sentimenti di quel singolo paziente non riflettano le credenze della società.

Metodi quantitativi a confronto con metodi qualitativi a confronto con metodi misti

Gli approcci di ricerca quantitativi e qualitativi possono essere complementari l'uno all'altro e possono persino sembrare simili. Ad esempio, l'utilizzo di un questionario può essere visto come una ricerca qualitativa ma può essere in realtà quantitativa, secondo il modo in cui l'indagine è ideata.

Se il ricercatore chiede ai rispondenti di rispondere su una scala (ad esempio, dare una risposta da 1 "fortemente in disaccordo" a 5 "fortemente in accordo"), questa è una forma di ricerca quantitativa. Se la risposta è aperta e i pazienti non sono limitati a una scala o a una scelta di risposte, la ricerca è qualitativa. Tuttavia, come illustrato nello sviluppo degli outcome riferiti dai paziente (patient-reported outcomes, PRO), le scale e altre misurazioni di outcome forniti da ricercatori vengono meglio sviluppate tramite metodi qualitativi che coinvolgono i pazienti.

La ricerca non dev'essere interamente qualitativa o interamente quantitativa. Una forma comune di ricerca viene detta ricerca con "metodi misti" in cui vengono utilizzati approcci qualitativi e quantitativi. I ricercatori combinano appositamente dati quantitativi e qualitativi invece di analizzarli separatamente. Sebbene vi siano molte definizioni di cosa esattamente costituiscono i "metodi misti", una definizione popolare li descrive come un approccio o una metodologia che:

- si focalizza su domande di ricerca che richiedono conoscenze apprese in un contesto di vita reale, prospettive su molteplici livelli e influenze culturali;
- impiega una rigorosa ricerca quantitativa che valuta

l'entità e la frequenza di costrutti e una rigorosa ricerca qualitativa che esplora il significato e la comprensione di costrutti;

- utilizza molteplici metodi (come studi clinici interventistici e interviste di approfondimento);
- integra o combina appositamente tali metodi per ricavare i punti di forza di ciascuno di essi e
- inquadra le indagini entro posizioni filosofiche e teoriche.²

La Tabella 1 delinea le differenze chiave tra ricerca quantitativa e qualitativa.

Tabella 1: Caratteristiche della ricerca quantitativa e qualitativa

Ricerca quantitativa	Ricerca qualitativa
Considerata "scienza dura"	Considerata "scienza molle"
Oggettiva	Soggettiva
Ragionamento deduttivo utilizzato per sintetizzare dati	Ragionamento induttivo utilizzato per sintetizzare dati
Focus: conciso e ristretto	Focus: complesso e ampio
Teoria dei test	Sviluppa teoria
Base di conoscenza: relazioni di causa ed effetto	Base di conoscenza: significato, contesto
Elemento di base per l'analisi: misurazioni e analisi statistica	Elemento di base per l'analisi: parole, narrazione
Singola realtà che può essere misurata e generalizzata	Realtà multiple che cambiano continuamente con l'interpretazione individuale
Adattata da Keeler (2010) ¹	

Metodi qualitativi

I metodi qualitativi di raccolta dei dati variano tra tecniche non strutturate o semi-strutturate. Alcuni metodi comuni includono gruppi di focalizzazione (discussioni di gruppo), interviste individuali e partecipazione/osservazioni. La dimensione del campione è di solito piccola e coloro che rispondono sono selezionati per soddisfare una certa quota. Le interazioni tra ricercatori e partecipanti alla ricerca sono alla base dei metodi di ricerca qualitativa. La comprensione che deriva dal "significato" o dal "perché" oppure dal "come" non proviene dal comportamento osservato, ma da cosa viene detto e fatto dai partecipanti, o da cosa viene percepito dal ricercatore. I ricercatori qualitativi possono inoltre raccogliere dati da documenti o altre risorse scritte. Oltre a raccogliere dati che riflettono i pensieri e le espressioni, è stato detto che la ricerca qualitativa possiede caratteristiche diverse rispetto alla ricerca quantitativa. Ad esempio, quello che si apprende oggi in un gruppo specifico non può essere generalizzato o può mutare nel corso del tempo.

Le differenze nell'importanza relativa percepita delle caratteristiche e dei principi per la ricerca qualitativa così come gli obiettivi generali della ricerca stessa hanno portato a differenti tipi generali di ricerca qualitativa. Ciò è simile per la ricerca quantitativa, dove studi sperimentali (come gli studi controllati randomizzati) e studi non sperimentali (come gli studi clinici osservazionali) sono stati sviluppati per obiettivi esclusivi.

Al di là degli effetti clinici: Ricerca qualitativa per il processo decisionale e l'HTA

I processi di HTA tentano di fornire ai decisori le migliori informazioni possibili (accurate ed esaurienti). Al fine di

fornire informazioni accurate ed esaurienti, nella ricerca quantitativa per i processi di HTA, predomina l'utilizzo di sintesi (come metanalisi, metanalisi di rete, creazione di modelli) e di stime critiche (come checklist della qualità). Sono stati sviluppati approcci simili alla sintesi di ricerca qualitativa. Tali approcci cercano di elaborare riscontri provenienti dalla ricerca qualitativa utilizzando un metodo orientato in modo simile alla ricerca quantitativa, permettendo quindi che nel processo di HTA i dati qualitativi siano valutati insieme alla ricerca quantitativa.

In che modo i metodi qualitativi si adattano ai processi di HTA?

La ricerca quantitativa può fornire una forte evidenza dei bisogni e dei punti di vista dei pazienti e aiutare i decisori e gli sviluppatori di farmaci a comprendere tali bisogni e punti di vista. Può inoltre essere usata per orientare decisioni più ampie a livello sociale su come distribuire le limitate risorse disponibili. Le seguenti possono essere alcune domande importanti per la ricerca e per le decisioni riguardo al rimborso:

- Dobbiamo occuparci maggiormente delle persone gravemente ammalate o dei più anziani rispetto agli altri?
- In che modo dovremmo valutare le tecnologie che riducono le interazioni con i medici e con le persone che prestano le cure?
- Vi sono motivi che aiutano a spiegare l'utilizzo sub-ottimale dei farmaci nella pratica?

La ricerca quantitativa può aiutarci a comprendere:

- quante persone sono affette da una malattia;
- qual è il carico economico di una malattia;
- quante persone potrebbero trarre benefici da uno specifico medicinale;

- qual è il valore del beneficio;
- con quale frequenza il farmaco può essere utilizzato una volta che ad esso venga fornito l'accesso.

Questi sono tutti aspetti importanti da considerare quando si prende una decisione.

L'elenco che segue fornisce solo alcuni esempi in cui la ricerca qualitativa può avere un ruolo.

Sviluppo di farmaci

- Di quali malattie è importante occuparsi
- Qual è il bisogno di nuovi farmaci
- Quali risultati sono importanti
- Sviluppo di misure degli outcome riferiti dai pazienti (Patient Reported Outcome Measures, PROM) e di misure di qualità della vita correlate alla salute (Health-related Quality of Life, HRQoL)

Rimborso e processo decisionale

- Apporto considerevole di opinioni di pazienti
- Determinazione del bisogno di un medicinale corrente
- Identificazione di possibili problemi con alternative
- Considerazione dei valori sociali per guidare i processi decisionali

Implementazione e impatto

- Valutazione dei motivi per un'aderenza sub-ottimale
- Possibilità di ottimizzazione delle esperienze dei pazienti
- Determinazione di altri fattori da prendere in considerazione

Riferimenti bibliografici

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