



Pasientene kjenner best egen helse

KRONIKK

STONE ENDEN

Tone Enden (f. 1969) er initiativtager til og partner i PROMiNET og overlege i radiologi ved Seksjon for thorax-, kar- og intervensjonsradiologi, Klinikk for radiologi og nukleærmedisin, Oslo universitetssykehus.

Forfatter har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

TOMM BERNKLEV

Tomm Bernklev (f. 1954) er nestleder av PROMiNET, professor ved Institutt for klinisk medisin, Universitetet i Oslo og Klinikk for kreft, inflammasjon og transplantasjon, Oslo universitetssykehus og forskningssjef ved Sykehuset i Vestfold.

Forfatter har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

LARS-PETTER JELSNESS-JØRGENSEN

Lars-Petter Jelsness-Jørgensen (f. 1975) er partner i PROMiNET, prorektor og professor ved Avdeling for helse og velferd, Høgskolen i Østfold og seniorforsker ved Gastromedisinsk avdeling, Sykehuset Østfold.

Forfatter har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir følgende interessekonflikter:

Han har mottatt forelesningshonorar fra Takeda Pharmaceuticals.

CECILIE DELPHIN AMDAL

Cecilie Delphin Amdal (f. 1969) er leder for PROMiNET ved Avdeling for klinisk forskningsstøtte og overlege i onkologi ved Avdeling for kreftbehandling, Oslo universitetssykehus.

Forfatter har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

Pasientrapporterte utfallsmålinger gir mer relevant klinisk forskning. Slike data må innhentes og håndteres på riktig måte.

Pasientrapporterte utfallsmål (patient reported outcome measures, PROM) i klinisk forskning defineres som rapportering om helsetilstand direkte fra pasienten uten fortolkning av helsepersonell eller studiemedarbeider (1).

De siste årene har det vært en økende bruk av pasientrapporterte data i norske studier. Samtidig har helsemyndighetene oppfordret til bruk av PROM i kliniske studier, i de nasjonale kvalitetsregistrene og i mini-helseteknologiske vurderinger (2, 3) (ramme 1). Nasjonalplanen for helse og omsorg angir at systematisk innsamling av pasientrapporterte utfallsmålinger er viktig for kvalitetsforbedring, forskning og innovasjon (2). Noen av spørreskjemaene som måler helserelatert livskvalitet kan brukes til å utlede og beregne kvalitetsjusterte leveår (quality adjusted life years, QALYs) (4). Dette er en måleenhet for effekt på helse som ofte benyttes i kostnad-nytte-vurderinger når man sammenligner effekten av ulike tiltak både innenfor og på tvers av pasientgrupper.

Ramme 1 Pasientrapporterte utfallsmålinger

PROM (patient reported outcome measures) er forkortelsen for pasientrapporterte utfallsmålinger

Hvorfor pasientrapporterte utfallsmålinger?

Pasientrapporterte utfallsmålinger gir mulighet til å fange opp betydningsfulle aspekter for pasientene, slik som livskvalitet, funksjonsnivå, mestring og symptomkartlegging, som ikke fanges opp av tradisjonelle målemetoder som for eksempel blodtrykk, blodsukkernivå, tumorstørrelse eller lungekapasitet.

Pasientrapporterte utfallsmålinger er relevant i de fleste kliniske studier. Det er spesielt nyttig for å utvikle behandlingstilbud og helsetjenester til de som lever med kreft og kroniske sykdommer, og til den økende gruppen eldre pasienter der livskvalitet og funksjon ofte verdsettes høyere enn livslengde (5, 6). Pasientrapportering er også nyttig for å måle pasientens egen opplevelse av behandlingsrelaterte bivirkninger. Dette skiller seg fra tradisjonelle observerte bivirkninger, hvor kliniker rapporterer type og alvorlighetsgrad. Pasientrapporterte bivirkninger er et forskningsområde som hittil har fått liten oppmerksomhet (7). I kliniske studier kan man ved hjelp av pasientrapporterte data vekte nytten av en behandling opp mot potensielle problemer den påfører pasienten. Spesielt i effektstudier som viser liten eller ingen forskjell i overlevelse eller sykkelighet mellom ulike behandlingalternativer, kan forskjell i pasientrapporterte utfall være avgjørende for valg av behandling. For eksempel kan vi tenke oss en ny behandling som gir en beskjeden økning i gjennomsnittlig overlevelse, kombinert med at pasientene føler seg verre og har store plager fra behandlingen. En slik behandling vil neppe bli besluttet innført.

Tilgjengelige og pålitelige pasientrapporterte data er avgjørende for god kommunikasjon mellom pasienter og helsepersonell om hvilke plager og behandlingseffekter man kan forvente på kort og lang sikt. Relevant og pålitelig informasjon er en forutsetning for samvalg av behandling og for videre oppfølging. Dersom pasientene har økt kunnskap om hva som er vanlig av plager og bekymringer ved en sykdom, kan det gi dem økt mestring som igjen kan redusere forbruk av helsetjenester. Pasientrapporterte utfallsmålinger er også nyttige og relevante ved utarbeiding av kliniske retningslinjer og ved helsepolitiske vurderinger, herunder prioriteringer og organisering av helsetjenestene. I klinisk praksis kan disse målingene brukes til å følge endringer over tid for den enkelte pasient og derved medvirke til bedre behandling av symptomer og funksjonstap.

Manglende kunnskap gir lav kvalitet

Den økte forventningen om bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger i kliniske studier kan være en utfordring for forskere uten kompetanse på feltet. Dette kan resultere i dårlig datakvalitet, upålitelige resultater og feil tolkning. Uten den nødvendige kompetansen er det en fare for at det brukes spørreskjemaer som ikke er validert for den aktuelle pasientgruppen og som ikke er egnet til å besvare forskningsspørsmålet i studien. I en oversiktsartikkel som omfattet 2 285 artikler om utmattelse (fatigue) ved kronisk sykdom, fant man at det var brukt 252 ulike spørreskjemaer, og 150 av disse var kun brukt i én enkelt studie (8).

For livskvalitetsmålinger kan man velge blant ulike generiske spørreskjemaer som måler aspekter på generell helse, og sykdomsspesifikke skjemaer som måler aspekter som er spesielt relevante for den aktuelle tilstanden. Det anbefales som regel at man benytter begge typer. Men hvor mange skjemaer skal man ha med? Rasjonale for disse valgene bør fremkomme allerede i studieprotokollen. Det er også avgjørende at det brukes spørreskjemaer der pasientene har vært med i utviklingen av spørsmålene, slik at man sikrer at de er forståelige og relevante for dem og ikke bare gjenspeiler forskerens eller

klinikerens forståelse og syn på hva som er av betydning.

Riktig valg av måletidspunkt(er) og tiltak som bidrar til høy svarprosent har stor betydning for kvaliteten på pasientrapporterte utfallsmålinger. I tillegg må databearbeidingen og de statistiske analysene være hensiktsmessige. Til slutt må betydningen av forskningsresultatene tolkes riktig; en utregnet verdi fra et skjema har i seg selv ingen intuitiv betydning, og en målbar og statistisk signifikant forskjell trenger ikke være en forskjell som faktisk betyr noe.

Lav kvalitet på dataene gir upålitelige resultater som er uegnet til å endre klinisk praksis (9). I en nylig publisert oversiktsartikkel om eggstokkreft som inkluderte 36 randomiserte studier med pasientrapporterte utfallsmålinger, var det kun ti studier med opplysninger om hvor mange av de inkluderte pasientene som hadde svart på spørreskjema samt årsakene til manglende data (10). Forfatterne konkluderte med at slik mangelfull rapportering gjør det vanskelig for leserne og beslutningstagerne å vurdere resultatenes generaliserbarhet og troverdighet.

På den annen side er det en risiko for at pasientrapporterte utfallsmålinger av god kvalitet og med adekvat rapportering blir vurdert som lite betydningsfulle dersom klinikere og helsemyndigheter ikke har tilstrekkelig kompetanse om slike målinger (11).

Vår erfaring er at norske pasienter er positive til bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger i klinisk forskning, men riktig bruk av deres engasjement oppnås kun dersom det teoretiske rammeverket er kjent og velfundert. Å belaste pasientene med spørreskjemaer som ikke er egnet til å gi svar på forskningsspørsmålet, er uetisk. Mangel på validerte spørreskjemaer for bruk i Norge har vært et problem. Pasientrapporterte utfallsmålinger er for eksempel så langt etablert i kun halvparten (27 av 54) av de nasjonale kvalitetsregistrene (12).

Sterke miljøer i mange land

Internasjonalt finnes det sterke miljøer som bidrar til å styrke vitenskapelige tilnærminger i forskning med pasientrapporterte utfallsmålinger (tab 1). Hos disse finnes veiledning for hvordan pasientrapporterte utfallsmålinger skal angis samt retningslinjer for legemiddelindustrien som også kan være nyttig for kliniske forskere (1, 13). I tillegg har Cochrane-gruppen laget en sjekkliste for kvalitetsvurdering av pasientrapporterte utfallsmålinger i kliniske studier (14).

Tabell 1

Internasjonale ressurser

Miljø	Forkortelse	Nettside
Functional assessment of chronic illness therapy	FACIT	www.facit.org
Consensus-based standards for the selection of health measurement instruments	Cosmin	www.cosmin.nl
International society for quality of life research	ISOQOL	www.isoqol.org
Mapi Research Trust		www.mapi-trust.org

Kunnskap og forskningsstøtte i Norge

I Norge finnes enkelte forskningsmiljøer med høy kompetanse på pasientrapporterte utfallsmålinger, spredt over ulike organ- og sykdomsspesifikke forskergrupper og -programmer. Den spredte kompetansen i disse miljøene er ikke umiddelbart tilgjengelig for andre. For å øke kunnskap om og kvaliteten på bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger i klinisk forskning og i de medisinske kvalitetsregistrene, er det nylig etablert to dedikerte fagmiljøer i Norge som yter service til register- og forskningsmiljøene.

I 2015 ble *Fagsenter for pasientrapporterte data* opprettet innunder Nasjonalt servicemiljø for medisinske kvalitetsregistre og lagt til Helse Bergen (15). Fagsenteret gir råd og veiledning i

bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger og brukertilfredshet med helsetjenesten primært til de nasjonale medisinske kvalitetsregistrene samt til forskere i Helse Vest.

I 2017 ble PROMiNET etablert med økonomisk støtte fra Helse Sør-Øst og organisert innunder regional forskningsstøtte ved Oslo universitetssykehus, med nettverks partnere ved alle sykehusene i regionen (16). PROMiNET gir råd og veiledning i bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger i klinisk forskning og i klinisk praksis til forskere og klinikere i Helse Sør-Øst. Felles målsetninger for miljøene i vest og øst er å øke bruken og forbedre kvaliteten på pasientrapporterte utfallsmålinger i medisinske kvalitetsregistre og klinisk forskning og dermed sikre gyldighet, pålitelighet, endringsfølsomhet og hensiktsmessighet ved norske pasientrapporterte data.

Begge miljøene holder kurs og konferanser og gir veiledning. Gjennom nettbaserte ressurser gjøres oppdatert kunnskap om fagfeltet lettere tilgjengelig med informasjon om validerte spørreskjemaer og målemetoder. Dette kan også være til nytte for forskere i Helse Midt-Norge og Helse Nord hvor det ikke er etablert tilsvarende forskningsstøtte. Brukerrepresentanter er aktive deltagere i fagmiljøene, og brukermidvirkning vektlegges. Det er også potensial for at miljøene kan styrke internasjonal konkurransevne ved større søknader. Ved å bedre planlegging og gjennomføring av kliniske studier i Norge kan disse få større gjennomslagskraft. Dette kan muliggjøre innflytelse og deltagelse i multisenterstudier og annet samarbeid internasjonalt. Fagmiljøene kan også involveres i diskusjoner på et strategisk og politisk nivå hvor det legges økende vekt på bruk av pasientrapporterte utfallsmålinger og brukerinvolvering.

REFERANSER:

1. U.S. Food and Drug Administration. Guidance for industry. Patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims. <http://www.fda.gov/downloads/Drugs/.../Guidances/UCM193282.pdf> (12.2.2018).
2. Meld. St. 16 (2010–2011). Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011–2015). <http://www.regjeringen.no/nb/dep/hod/dok/regpubl/stmeld/2010-2011/meld-st-16-20102011/8/4.html?id=639841> (12.2.2018).
3. HelseOmsorg21. Et kunnskapssystem for bedre folkehelse. <https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/HelseOmsorg21/id764389/> (12.2.2018).
4. Whitehead SJ, Ali S. Health outcomes in economic evaluation: the QALY and utilities. *Br Med Bull* 2010; 96: 5 - 21. [PubMed][CrossRef]
5. Yellen SB, Cella DF, Leslie WT. Age and clinical decision making in oncology patients. *J Natl Cancer Inst* 1994; 86: 1766 - 70. [PubMed][CrossRef]
6. Fried TR, Bradley EH, Towle VR et al. Understanding the treatment preferences of seriously ill patients. *N Engl J Med* 2002; 346: 1061 - 6. [PubMed][CrossRef]
7. Norwegian Symptom Management Network (NORSMAN). 2018. Norwegian Symptom Management Network (NORSMAN). <https://oslo-universitetssykehus.no/avdelinger/akuttklinikken/avdeling-for-forskning-og-utvikling-akuttklinikken/norwegian-symptom-management-network-norsman> (12.2.2018).
8. Hjollund NH, Andersen JH, Bech P. Assessment of fatigue in chronic disease: a bibliographic study of fatigue measurement scales. *Health Qual Life Outcomes* 2007; 5: 12. [PubMed][CrossRef]
9. Fayers PM, Machin D. *Quality of Life: Assessment, analysis and interpretation*. Hoboken, NJ: Wiley, 2000.
10. Mercieca-Bebber R, Friedlander M, Calvert M et al. A systematic evaluation of compliance and reporting of patient-reported outcome endpoints in ovarian cancer randomised controlled trials: implications for generalisability and clinical practice. *Journal of Patient-Reported Outcomes* 2017; 1: 5. [CrossRef]
11. Grimshaw JM, Eccles MP, Lavis JN et al. Knowledge translation of research findings. *Implement Sci*

2012; 7: 50. [PubMed][CrossRef]

12. Nasjonalt servicemiljø for medisinske kvalitetsregistre. Status for nasjonale medisinske kvalitetsregistre 2017.

<https://www.kvalitetsregistre.no/artikkel/status-nasjonale-medisinske-kvalitetsregistre-2017> (12.2.2018).

13. Calvert M, Blazeby J, Altman DG et al. Reporting of patient-reported outcomes in randomized trials: the CONSORT PRO extension. JAMA 2013; 309: 814 - 22. [PubMed][CrossRef]

14. Cochrane methods. Patient Reported Outcomes. <http://methods.cochrane.org/pro/about-us> (12.2.2018).

15. Fagsenter for pasientrapporterte data.

<https://helse-bergen.no/avdelinger/forskings-og-utviklingsavdelinga/helsetenesteutvikling/fagsenter-for-pasientrapporterte-data> (12.2.2018).

16. PROMiNET. 2018. PROMiNET. <http://www.prominet.no> (12.2.2018).

Publisert: 8. mai 2018. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.17.1054

Mottatt 30.11.2017, første revisjon innsendt 31.1.2018, godkjent 12.2.2018.

© Tidsskrift for Den norske legeforening 2019. Lastet ned fra www.tidsskriftet.no