Pasientutvalg representative for virkelig, klinisk praksis

KOMMENTAR

FREDERIK EMIL JUUL

E-post: fejuul.medisin@gmail.com

Frederik Emil Juul er lege og stipendiat ved Oslo universitetssykehus, Rikshospitalet.

Ingen oppgitte interessekonflikter.

Eivind S. Skarpsno argumenterer mot representative utvalg og mener slike utvalg er «... unødvendig i klinisk forskning» (1). Undertegnede mener denne påstanden bør nyanseres, og at ønsket til Skarpsno (dessverre) er lite forenlig med virkeligheten.

I en ideell verden vil vi kunne lage et uendelig antall (snevre) randomiserte forsøk, slik at vi kan studere behandlingseffekter i alle homogene undergrupper med potensiell relevans for klinisk praksis. I denne ideelle verdenen kan vi med andre ord detektere effektheterogenitet: hvordan behandlingseffekten varierer mellom undergrupper. Dette fremstår som en fin målsetning, men det er praktisk umulig og etisk diskutabelt å inkludere pasientantallet som er nødvendig for å gjøre alle disse forsøkene.

Derimot kan et randomisert forsøk fra en representativ pasientpopulasjon, med god ekstern validitet, gi oss informasjon om gjennomsnittseffekter i den reelle pasientpopulasjonen. Hvis forsøket er stort, kan det også gi informasjon om effekter i (pre-spesifiserte) undergrupper. Skarpsno har rett i at slike forsøk ikke sier noe om individuelle effekter, men målet om å oppdage individuelle effekter i kliniske studier er urealistisk (2). Selv om gjennomsnittsmennesket ikke finnes (3), er gjennomsnittseffekter fortsatt viktige. Det finnes interessant litteratur om generalisering av funn fra randomiserte forsøk til reelle pasientpopulasjoner (4, 5), men undertegnede erkjenner at en slik generalisering ikke er en triviell øvelse.

Skarpsno spør hvem funnene i en studie med et representativt utvalg er gyldige for. For klinikere er det viktig at randomiserte forsøk veileder beslutninger i klinisk praksis. Det er vanskelig å se for seg hvordan en klinisk studie i et ikke-representativt utvalg kan veilede vår kliniske hverdag. Derimot vil et forsøk i form av en klinisk studie med et representativt utvalg, gi funn som lar seg implementere i virkelig, klinisk praksis.

LITTERATUR:

1. Skarpsno ES. Representative patient selection is unnecessary in clinical research. Tidsskr Nor Lægeforen 2019; 139. doi: 10.4045/tidsskr.19.0047. [PubMed][CrossRef]
2. Senn S. Statistical pitfalls of personalized medicine. Nature 2018; 563: 619–21. [PubMed][CrossRef]

3. Røislien J, Frey Frøslie K. Kari og Ola finnes ikke. Tidsskr Nor Legeforen 2019; 139. doi: 10.4045/tidsskr.18.0824. [PubMed][CrossRef]
 4. Dahabreh IJ, Robertson SE, Tchetgen EJT et al. Generalizing causal inferences from individuals in randomized trials to all trial-eligible individuals. Biometrics 2018; 8: 29 Epub ahead of print. [PubMed][CrossRef]
 5. Pearl J, Bareinboim E. External Validity: From Do-Calculus to Transportability Across Populations. Stat Sci 2014; 29: 579–95. [CrossRef]
-

Publisert: 27. mai 2019. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.19.0328
© Tidsskrift for Den norske legeforening 2020. Lastet ned fra tidsskriftet.no