

Skąd mamy to wiedzieć? – rola i miejsce Badań nad Wynikami (*Outcomes Research*) w podejmowaniu decyzji dotyczących polityki zdrowotnej

Maria Kołtowska-Häggström

Prezentowana praca przedstawia problem wyboru właściwych źródeł informacji przy podejmowaniu decyzji dotyczących strategii w ochronie zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem Badań nad Wynikami jako nowej dyscypliny zajmującej się analizą i oceną klinicznych, ekonomicznych, jednostkowych i społecznych skutków interwencji medycznych (model ECHO) w odniesieniu do indywidualnego pacjenta, populacji pacjentów i całego społeczeństwa. Źródła informacji medycznej, takie jak randomizowane, kontrolowane badania kliniczne, metaanalizy, badania przeglądowe, badania obserwacyjne, naukowe, kliniczne i statystyczne bazy danych, zostały tutaj omówione w odniesieniu do różnorodnych aspektów podejmowania decyzji medycznych (pozycja decydenta, zakres podejmowanej decyzji oraz ostateczny odbiorca danej decyzji). Dodatkowo artykuł ten prezentuje zasady medycyny opartej na faktach i pojęcia wyniku pochodzącego od pacjenta oraz jakości życia. We wnioskach definiuje on trzy etapy podejmowania decyzji, takie jak: wybór źródła informacji, jej przydatność oraz ocena farmakoekonomiczna.

Wstęp – Pozycja decydenta

Podjęcie decyzji stanowi nieodłączną część życia każdego człowieka, zarówno na poziomie indywidualnym, jak i społecznym. Od prawidłowości tego procesu zależy więc funkcjonowanie nie tylko jednostek, ale i całego społeczeństwa w każdej dziedzinie życia. Dotyczy on też oczywiście tak ważnej kwestii jak ochrona zdrowia. Jeśliby spojrzeć na to zagadnienie z pewną próbą usystematyzowania, to przede wszystkim należy odpowiedzieć na dwa podstawowe pytania: „Kto?” i „Jak?”

Aczkolwiek zasadniczym przedmiotem rozważań tego artykułu jest drugie z postawionych pytań, spróbujmy jednak pokrótce odpowiedzieć na pierwsze z nich. Nie sposób bowiem analizować metod podejmowania decyzji w całkowitym oderwaniu od ich zastosowania, a to z kolei warunkowane jest przecież ce-

lem, w jakim dana decyzja jest podejmowana, jej zakresem, a i pozycją decydenta. A więc kto podejmuje decyzje dotyczące zdrowia i jego ochrony? Przede wszystkim osoba bezpośrednio zainteresowana – pacjent czy potencjalny pacjent, jednym słowem każdy z nas. Poprzez swoje wybory czyni to mniej lub bardziej bezpośrednio. Prowadząc taki czy inny tryb życia, przestrzegając mniej lub bardziej skrupulatnie zaleceń lekarskich, stosując lub nie jakiekolwiek używki – przykładów możnaby mnożyć bardzo wiele. Wszystko to stanowi część podejmowania decyzji o ochronie zdrowia na poziomie całkowicie indywidualnym. I każdy z nas, będąc częścią społeczeństwa, to robi i w tym sensie kształtuje globalny obraz stanu ochrony zdrowia na poziomie państwa. Ale kto jeszcze? Oczywiście lekarze i wszystkie osoby zatrudnione w sektorze ochrony zdrowia. Ich codzienna praca jest jednocześnie ciągiem podejmowanych w tym zakresie decyzji. Dalej producenci środków farmakologicznych i wyposażenia medycznego czy, myśląc szerzej, wszyscy producenci, którzy dostarczają cokolwiek z ochroną zdrowia, nawet w sposób jak najbardziej pośredni, związanego. W końcu ci, którzy płacą – czy to budżet państwa, czy ubezpieczenia społeczne lub zdrowotne. Jednym słowem ogniw jest wiele i każde z nich reprezentuje inny punkt widzenia, kształtuje ochronę zdrowia decyzjami podejmowanymi z całkowicie innych perspektyw. Płatnik naturalną kolejną rzeczą dąży do ograniczania wydatków, lekarz dbać będzie o maksymalną dostępność jak najlepszej jakości środków dla wszystkich swoich pacjentów, natomiast pacjent jest zainteresowany otrzymaniem dla siebie świadczeń na jak najwyższym poziomie. Kto więc podejmuje decyzje w sensie globalnym, takie które przynajmniej teoretycznie powinny spajać wszystkie perspektywy i uwzględniać w jak najszerszym zakresie poszczególne punkty widzenia? Wydaje się, że taki parasol stanowią osoby zarządzające ochroną zdrowia, decydujące o polityce zdrowotnej, pracownicy ministerstwa zdrowia czy wydziałów zdrowia szczebla terenowego. Jednym słowem – politycy. Schematycznie pokazuje to rycina 1.



Rycina 1.

Mechanizmy podejmowania decyzji

W ten sposób dochodzimy do kolejnego pytania: jak decydować, aby podejmować optymalne decyzje, a dzięki temu uzyskać... No właśnie, co uzyskać? Co-fajac się na moment do poprzednich rozważań, nie sposób oprzeć się wrażeniu, że przy tak różnorodnym profilu osób decydujących, bardzo trudno jest jasno określić wspólny cel. Dlatego też spróbujmy skoncentrować się na najbardziej globalnym spojrzeniu, perspektywie polityka decydującego o kierunku polityki zdrowotnej państwa. Wtedy odpowiedź brzmi: „uzyskać jak najlepszy profil zdrowotny całego społeczeństwa, tak aby osiągnąć jak najbardziej prawidłowe jego funkcjonowanie – najwyższą efektywność przy najmniejszych kosztach ponoszonych na ochronę zdrowia”. Innymi słowy najwyższą skuteczność za najniższą cenę. **Medycyna oparta na faktach** (*Evidence Based Medicine*) to proces identyfikacji najbardziej skutecznych metod leczniczych proponowanych przez najnowsze odkrycia naukowe i zastosowanie ich w prowadzeniu indywidualnego pacjenta (Bennett, Glasziou 1997: 277-285). Zgodnie z jej założeniami każda podejmowana decyzja oparta winna być na doświadczeniu, wiedzy i etyce. Wydaje się, że bezpośrednie przełożenie tych założeń na niwę polityki zdrowotnej mogłoby doprowadzić do pewnego uproszczenia, a nawet – być może – nieprawidłowych działań. Pamiętać jednak należy, że doświadczenie i wiedza stanowią różne źródła informacji. Dlatego też, inaczej mówiąc, fundamentalnym elementem procesu podejmowania decyzji jest posiadanie informacji. Informacji, która musi być wiarygodna, rzetelna, prawdziwa, pełna, adekwatna i aktualna. Etyka natomiast reprezentuje, w myśleniu kategoriami medycyny opartej na faktach, pewną formę oceny, oceny moralnej w tym wypadku, stanowiącej tak naprawdę istotny aspekt każdego procesu decyzyjnego, aczkolwiek nie będącej jego jedynym elementem. Mówiąc o decyzjach dotyczących ochrony zdrowia, niewątpliwie wymienić należy też ocenę przydatności, ocenę ekonomiczną czy wreszcie ocenę możliwości. Wszystkie te elementy są niezbędne, aby podjąć prawidłową decyzję, czyli dokonać właściwego wyboru. I tak naprawdę niezależnie od tego kto, na jakim szczeblu, z jakiej perspektywy i w jakim zakresie będzie go dokonywać.

Niemniej jednak powtórzmy, że podstawowym warunkiem podjęcia właściwej decyzji jest posiadanie odpowiednich informacji, spełniających wszystkie wyżej wymienione warunki. I właśnie omówienie poszczególnych sposobów ich uzyskiwania, przegląd różnych źródeł informacji, a także prawidłowe ich wykorzystanie, zgodne z przeznaczeniem i przydatne do podejmowania różnorodnych decyzji, jest przedmiotem zainteresowania tego artykułu.

Źródła informacji

Próbując usystematyzować dostępne źródła informacji, odwołamy się ponownie do medycyny opartej na faktach, aczkolwiek pamiętać należy, że naszym rozważaniom towarzyszą znacznie szersze ramy. Dotyczą one nie tylko indywidualnego pacjenta, ale całej populacji pacjentów, a nawet jeszcze więcej – całego społeczeństwa, inaczej mówiąc: populacji potencjalnych pacjentów. Mówimy bowiem o informacji potrzebnej w podejmowaniu decyzji medycznych, widzianej oczami polityka-stratega ochrony zdrowia. Co powinien on wiedzieć?

Zacznijmy od podstawowego pytania – kogo dotyczyć będą jego decyzje i jakie są konsekwencje wynikające z profilu demograficznego społeczeństwa, dla którego on pracuje? Czy są to przeważnie ludzie starzy, młodzi, jaki jest procent dzieci, ile mieszka kobiet, ilu mężczyzn? Jakie jest zatrudnienie i jakiego rodzaju – czy jest to przemysł, czy raczej sektor usługowo-handlowy? Takich pytań jest wiele i odpowiedzi na nie szukać należy w publicznych urzędach statystycznych.

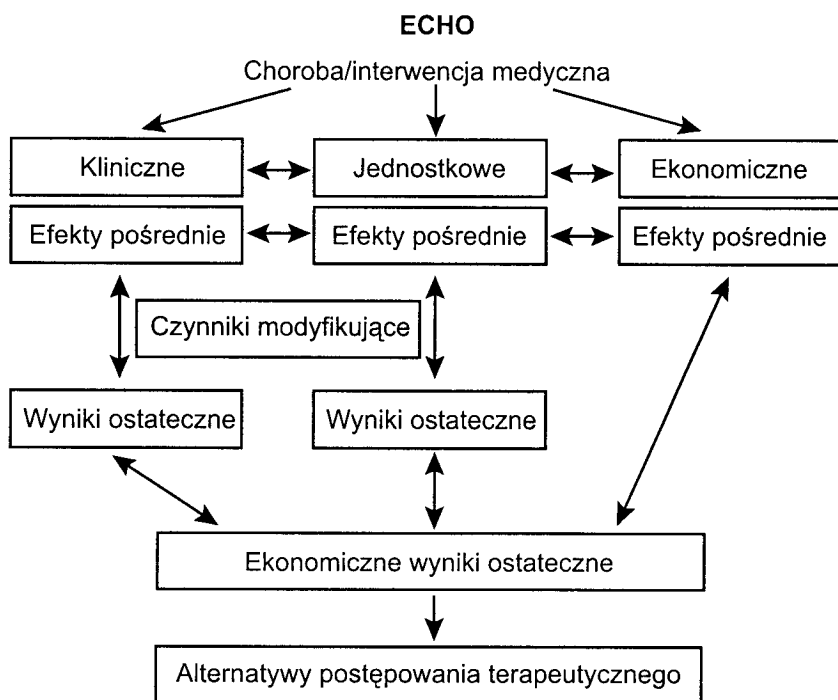
Kolejnym problemem jest zachorowalność (zapadalność na poszczególne choroby). Tu z pomocą przychodzi epidemiologia z jej badaniami naukowymi.

I tak dochodzimy do kwestii, „jak leczyć?”. A te decyzje podejmowane są na podstawie dostępnych dowodów, takich jak: randomizowane badania kliniczne, meta-analizy, ustematyzowane przeglądy badań klinicznych, badania obserwacyjne, ekspertyzy czy wreszcie naukowe bazy danych. Wszystkie one dostarczają informacji dotyczących skuteczności takiego czy innego postępowania medycznego. Na ich podstawie polityk-strateg powinien dowiedzieć się, jaki rodzaj interwencji byłby teoretycznie najskuteczniejszy. Aby jednak ta decyzja była właściwa, niezmiernie ważnym pozostaje dokładne rozpoznanie, w jakich sytuacjach z jakich źródeł należy korzystać. Na przykład randomizowane badanie kliniczne oceni bardzo precyzyjnie skuteczność danego leku w warunkach niemalże laboratoryjnych, w ściśle określonej „czystej” grupie pacjentów, rygorystycznie dobranej i pozbawionej dodatkowych powikłań. Na ile taka ocena może stanowić wyłączne źródło informacji przy podejmowaniu decyzji dotyczących „życia”? To pytanie niech na razie pozostanie pytaniem retorycznym.

Aż w końcu dochodzi do momentu dokonania ostatecznego wyboru i tej decyzji nie można podjąć bez zastosowania analizy farmakoekonomicznej i oceny, jakkolwiek rozumianej, skuteczności leczenia w odniesieniu do jego kosztu. Poprzez porównanie kosztu jednostkowego skuteczności różnych proponowanych przez świat nauki metod leczniczych można wybrać ten najbardziej optymalny. Aby jednak móc go wdrożyć, należy ocenić możliwości i powrócić do pierwszych z zadawanych przez nas pytań, na które odpowiedzi przynoszą badania demograficzne i epidemiologiczne. Już na podstawie tych wstępnych rozważań bardzo łatwo jest się zorientować, że podejmowanie decyzji przez stratega ochrony zdrowia wiąże się z umiejętnym korzystaniem z najrozmaitszych, wielodyscyplinarnych źródeł informacji, z właściwą ich selekcją i odpowiednim zastosowaniem. Wydaje się jednak, że najwięcej niebezpieczeństw czyha przy decydowaniu, na jakich dowodach skuteczności interwencji medycznych należy się oprzeć. I tu z pomocą przyjsć może stosunkowo nowa metoda oceny wyników leczenia, zwana *Badaniami nad Wynikami (Outcomes Research)*.

Badania nad Wynikami to naukowa dyscyplina, zajmująca się analizą i oceną klinicznych, ekonomicznych, jednostkowych i społecznych skutków interwencji medycznych, w odniesieniu do indywidualnego pacjenta, populacji pacjentów i całego społeczeństwa. Koncepcja leżąca u podłoża takiego sposobu przeprowadzania badań naukowych zakłada wyciąganie wniosków na podstawie równoczesnej wieloczynnikowej analizy wszystkich, wyżej wymienionych wyników (Dix Smith et al. 2003: 172-175). Poszczególne elementy są w tej koncepcji ze sobą powiązane, nawzajem na siebie oddziałują, a jednocześnie od siebie zależą. Najlepiej obrazuje to tzw. model ECHO (skrót pochodzący z angielskiego: *economic, clinical, and humanistic outcomes*). W modelu tym występują następujące pojęcia:

1. **Konsekwencje**, rozumiane jako jakiekolwiek skutki wynikające z zastosowania różnych alternatyw terapeutycznych.
2. **Kliniczne efekty pośrednie** – wyniki badań klinicznych, które pośrednio oceniają stan pacjenta (np. pomiar ciśnienia krwi lub wyniki badań laboratoryjnych).
3. **Kliniczne wyniki leczenia** – ostateczne efekty postępowania leczniczego lub jego zaniechania, które są jednocześnie celem tego leczenia. Przykładem tutaj będzie wystąpienie zawału mięśnia sercowego, trwałe inwalidztwo lub hospitalizacja.
4. **Jednostkowe efekty pośrednie** to wszelkie informacje pochodzące bezpośrednio od pacjenta, dotyczące jego opinii na temat postępowania leczniczego lub choroby.
5. **Jednostkowe wyniki leczenia** – dotyczą wpływu leczenia lub choroby na życie pacjenta, jakość tego życia, możliwości funkcjonowania społecznego czy poczucie satysfakcji, zgodnie z oceną pacjenta.
6. **Koszty** – obejmują całość kosztów, zarówno bezpośrednich, jak i pośrednich związanych z różnymi rodzajami postępowania terapeutycznego.
7. **Ekonomiczne wyniki leczenia** – porównanie wszelkich kosztów i konsekwencji, wyrażone na podstawie przeprowadzanych analiz farmakoekonomicznych jako wskaźnik kosztów do konsekwencji.
8. **Czynniki modyfikujące** – wszelkie czynniki, które wpływają na efekty pośrednie lub wyniki ostateczne, takie jak występowanie objawów ubocznych czy stopień przestrzegania zaleceń lekarskich.



Rycina 2.

Analizując opisane wyżej pojęcia, łatwo można zauważyć, że pojawiają się w tej koncepcji dwa istotne podziały. Pierwszy z nich, jakby poziomy (ryc.2), wyróżnia efekty pośrednie i wyniki ostateczne. Taki tok myślenia można zilustrować postępowaniem leczniczym w nadciśnieniu tętniczym, którego konsekwencją są udary mózgu. W takim wypadku poziom ciśnienia tętniczego odpowiada efektowi pośredniemu i stanowi przedmiot zainteresowania przede wszystkim, jeśli nie wyłącznie, klinicyści. Natomiast wystąpienie lub uniknięcie udaru mózgu jest wynikiem ostatecznym, znacznie bardziej istotnym z punktu widzenia społecznego czy państwa. Trywializując, można by powiedzieć, że gdyby nadciśnienie nie doprowadzało do udarów, nie stanowiłoby przedmiotu zainteresowania decydentów polityki zdrowotnej. Innymi słowy nie wysokość ciśnienia tętniczego jest ważna, lecz ilość przypadków udaru mózgu z wszelkimi ich konsekwencjami. W tym podziale godnym odnotowania jest fakt, że ekonomiczne wyniki ostateczne, dla przypomnienia – rozumiane jako wskaźnik kosztów do konsekwencji leczenia, zajmują jakby uprzywilejowane miejsce, decydujące w ostatecznym wyborze przyjętego postępowania terapeutycznego.

Drugi podział, nazwijmy go umownie pionowym (rycina 2), dotyczy bardziej typu, a nie rodzaju badanych wyników, dzieląc je na kliniczne, jednostkowe i ekonomiczne. Wydaje się, że podane wyżej definicje w stopniu wystarczającym wyjaśniają poszczególne pojęcia, aczkolwiek dodajmy kilka słów dotyczących tzw. jednostkowych wyników. W ich definicji leży przede wszystkim źródło, a nie rodzaj informacji, a tym źródłem jest wyłącznie pacjent. Stąd też obecnie wyróżnia się dwa rodzaje: wyniki referowane przez pacjenta (*patient-reported outcomes* – PRO) i ocena wynikającej ze stanu zdrowia jakości życia (*health-related quality of life* HRQOL). Pierwsze z nich są pojęciem istotnie szerszym, definiowanym jako jakakolwiek informacja pochodząca bezpośrednio od osoby lub osób i dotycząca ich życia, stanu zdrowia lub procesu leczniczego (Acquadro et al. 2003: 522-531). Obejmują one nie tylko ocenę stanu zdrowia czy jakości życia, ale też satysfakcji z leczenia i opieki medycznej oraz stopnia przestrzegania zaleceń lekarskich. Są one uzyskiwane poprzez wywiady z pacjentami, ankiety, dzienniczki, wolne wypowiedzi pacjentów czy komentarze na stronach internetowych (Patrick 2003 31: 1-5). Definicja drugiego pojęcia – jakości życia – jest znacznie bardziej kontrowersyjna i podlega ciągłym debatom, których omówienie wykracza znacznie poza ramy tego artykułu. Dlatego też, dla potrzeb przedstawianych rozważań, ograniczmy się do jakości życia wynikającej ze stanu zdrowia, rozumianej jako ocena pacjenta takich czynników psychospołecznych jak ból, dyskomfort, ograniczenie ruchomości i fizycznego poruszania się, trudności w wypełnianiu obowiązków osobistych czy rodzinnych, zmniejszenie dochodów na skutek choroby lub zaburzenia funkcjonowania intelektualnego (Muldoon et al. 1998 316: 542-545).

Już w tym momencie stosunkowo łatwo jest się zorientować, że istnieje nierównomierny stopień zainteresowania poszczególnymi ogniwami w Badaniach nad Wynikami. Inne elementy przykują uwagę klinicyści, a inne płatnika świadczeń medycznych. Natomiast wszystkie one, ze względu na swoją kompleksowość i wielopłaszczyznowość, powinny stanowić cenne źródło informacji dla polityka zajmującego się opieką zdrowotną.

Jakiego rodzaju informacja jest potrzebna przy podejmowaniu jakiegokolwiek decyzji, a zwłaszcza takiej, która dotyczy społeczeństwa i swoimi konsekwencjami, przynajmniej potencjalnie, dotyka każdego człowieka? Grupa pracująca nad

zastosowaniem farmakoekonomiki i ekonomiki zdrowia do podejmowania decyzji medycznych (*Task Force On Use of Pharmacoeconomic/Health Economic Information in Health Care Decision-Making*) w ramach Międzynarodowego Towarzystwa Farmakoekonomiki i Badań nad Wynikami (ISPOR – *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*) zakończyła swoje prace stwierdzeniem, że tylko wnioski z wiarygodnych i odpowiednich badań mogą być zastosowane przy podejmowaniu decyzji medycznych. Wiarygodne to znaczy oparte na rzetelnych, pozbawionych błędów wynikach, a odpowiednie to takie, które są adekwatne do sytuacji, w jakiej dana decyzja jest podejmowana (Drummond et al. 2003 6:407-416). Szczególnie istotna w tym kontekście jest adekwatność źródła informacji i opieranie się na wynikach uzyskanych w porównywalnych warunkach.

Badania nad Wynikami sięgają do rozmaitych źródeł informacji medycznej, do których należą kontrolowane randomizowane badania kliniczne, meta-analizy i prace przeglądowe, badania obserwacyjne, naukowe i statystyczne bazy danych oraz opinie ekspertów.

Za najbardziej wiarygodne źródło oceny skuteczności terapeutycznej leku czy szerzej interwencji medycznej uznane są **kontrolowane, randomizowane badania kliniczne**. Zwłaszcza te, które przeprowadzane są z tak zwaną podwójną ślepą próbą, czyli kiedy w trakcie prowadzenia badania ani pacjent, ani lekarz nie wiedzą, czy dany pacjent otrzymuje substancję czynną, czy też placebo. Celem tych badań jest, jak już wspomniano, ocena skuteczności terapeutycznej danego postępowania medycznego. Aby taka ocena była wiarygodna, należy dokonywać jej w jak najbardziej podobnych warunkach, w możliwie identycznej grupie pacjentów oraz maksymalnie wyeliminować wszelkie dodatkowe – poza badanym – czynniki, mogące wpłynąć na wyniki eksperymentu. Dlatego takie badania zakładają bardzo rygorystyczny dobór pacjentów ze ściśle określonymi kryteriami włączenia i wyłączenia. W efekcie stwarza to warunki niemalże laboratoryjne, w których rzeczywiście można stosunkowo precyzyjnie ocenić skuteczność badanego leku, ale które nie odpowiadają warunkom rzeczywistym.

Podobnie **meta-analizy i prace przeglądowe**, które oceniają efekty lecznicze na podstawie wyników zebranych z wielu podobnych badań klinicznych, należą do powszechnie uznanego, wiarygodnego źródła informacji. Wykonuje się je, aby ilościowo ocenić aktualny stan wiedzy na temat danego sposobu leczenia oraz uzyskać dokładniejszą jego ocenę. Dodatkowo często zwiększają one moc statystyczną badanej próby, zwłaszcza kiedy łączą pojedyncze badania przeprowadzane na stosunkowo małych grupach pacjentów oraz pomagają sprecyzować niejednoznaczne wyniki uzyskane w poszczególnych badaniach (D'Agostino, Weintraub 1995 58: 605-616).

Wydaje się, że zarówno randomizowane badania kliniczne, jak i przede wszystkim meta-analizy i prace przeglądowe stanowią rodzaj podstawy umożliwiającej podejmowanie wszelkich decyzji medycznych, dotyczących wyboru najważniejszego postępowania lekarskiego. Inaczej mówiąc, bez pozytywnej odpowiedzi na pytanie: „czy to działa?”, nikt nie będzie się zastanawiał, „czy tym leczyć?”. A odpowiedzi na to zasadnicze pytanie udzielić mogą tylko opisane wyżej badania kliniczne. Pierwszym więc krokiem przy podejmowaniu decyzji dotyczących stosowanych strategii leczniczych będzie dobór prac na temat ich skuteczności. Dokonując takiej selekcji, należy je ocenić pod kątem:

1. prawidłowej metodologii;
2. jakości wykonania badania;
3. stopnia istotności klinicznej wyników;
4. zastosowania w istniejących warunkach (adekwatność i przydatność w konkretnej sytuacji, której dotyczy podejmowana decyzja) (Altman 1999 51: 36-43).

Innym rodzajem badań szeroko stosowanym w Badaniach nad Wynikami są **badania obserwacyjne**. Są one wykonywane wtedy, kiedy nie można przeprowadzić randomizowanych badań klinicznych lub jako ich uzupełnienie, w celu uzyskania odpowiedzi na pytania leżące poza zasięgiem badań randomizowanych. Na przykład w celu uzyskania oceny rzadko występujących objawów ubocznych działania danego leku, wymagającej wielu lat obserwacji. Innym przykładem jest schorzenie, w którym zaniechanie leczenia (grupa placebo) byłoby nieetyczne. Wtedy z wyboru odwołujemy się do nierandomizowanych badań obserwacyjnych. Dodatkowo warto wspomnieć, że badania obserwacyjne są niezbędne do zdefiniowania pytania naukowego, sformułowania hipotezy, identyfikacji potencjalnej grupy badanej i parametrów najkorzystniejszych do analizy oraz dobrania prawidłowej wielkości próby (Black 1999 51: 44-49). Z punktu widzenia strategii ochrony zdrowia często są one niezastąpionym źródłem wiedzy na temat sytuacji epidemiologicznej, stanu zdrowotności społeczeństwa, jak również zwracają one uwagę na wyłaniające się problemy zdrowotne danej społeczności.

Naukowe, kliniczne i statystyczne bazy danych znajdują szczególne zastosowanie w monitorowaniu szerokiego wachlarza parametrów przede wszystkim w chorobach przewlekłych, w których okres obserwacji musi być bardzo długi, często obejmujący całe życie pacjenta. Bazy danych podzielić można na takie, które prowadzone są zgodnie z precyzyjnym protokołem badania oraz takie, które po prostu gromadzą historie chorób pacjentów, bez żadnych dodatkowych restrykcji. Istnieją też formy pośrednie, gdzie część wymaganych danych jest opisana w protokole, a pozostałe zależą od rutynowego postępowania każdego ośrodka (Kahn 1999 51: 50-57). Niewątpliwą zaletą baz danych, podobnie jak prospektywnych, długotrwałych badań obserwacyjnych, jest ich wielkość i możliwość monitorowania bardzo dużej grupy chorych przez wiele lat. Stwarza to warunki dla oceny odległych wyników leczenia oraz tolerancji stosowanej terapii. Jednocześnie umożliwia identyfikację nietypowych odpowiedzi na leczenie oraz rzadko występujących działań ubocznych, jak również obserwację chorych o sporadycznie spotykanym przebiegu choroby. Ich wadą są trudności w wyeliminowaniu czynników zakłócających zarówno w zakresie doboru pacjentów, jak i modyfikujących efekty leczenia. Dodatkowo często brak grupy kontrolnej utrudnia interpretację wyników. Podsumowując, tego typu badania są i być powinny szczególnie przydatne w końcowej fazie procesu decyzyjnego, albowiem dają możliwość spojrzenia w „prawdziwe życie”, czyli odpowiedź na pytanie: „a jak to jest naprawdę?”. To pytanie stawiać sobie winien każdy decydent ochrony zdrowia, bo przecież wysokowyzyskowane, specjalistyczne ośrodki prowadzące badania zgodnie z kanonami najnowszej medycyny zwykle stanowią w każdym państwie niewielki procent systemu ochrony zdrowia. W skali globalnej liczy się przede wszystkim to, co dzieje się na codzień w gabinetach lekarzy praktyków, tak jak to wygląda w prawdziwym życiu. Dopiero rzetelne poznanie tej strony leczenia daje politykowi ochrony zdro-

wia pełen obraz sytuacji i ewentualnie pozwoli na wprowadzenie właściwych metod czy zmianę niekorzystnych praktyk.

Badania nad Wynikami łączą różne metody poznawcze, tak aby były one użyteczne w podejmowaniu decyzji medycznych. Na tym polega unikalność tego sposobu prowadzenia badań naukowych i opracowywania rezultatów. Dzięki rozszerzeniu horyzontu naukowego na wiele aspektów poznawczych i włączeniu pełnego wachlarza wyników, obejmującego zarówno parametry ściśle kliniczne, jak i epidemiologiczne, farmakologiczne, psychologiczne, socjalne, ekonomiczne, Badania nad Wynikami służyć mogą jako źródło informacji na każdym etapie podejmowania decyzji medycznych. Klinicyście odpowiedzą, czy dane postępowanie terapeutyczne jest skuteczne, i wskażą, jak ocenia je pacjent. Zarządzającemu ochroną zdrowia umożliwią ocenę potrzeb i możliwości, jak też identyfikację najskuteczniejszych metod leczenia, ale równocześnie najbardziej korzystnych z punktu widzenia ekonomicznego. Płatnikowi wskażą rzeczywiste zużycie środków i stopień zapotrzebowania na nie. Społeczeństwu uświadomią najbardziej bolące problemy i być może ukierunkują działania prozdrowotne, tak aby uzyskać jak najkorzystniejszy profil zdrowotny. Wreszcie politykowi ochrony zdrowia pozwolą spojrzeć szeroko na całość zagadnienia, tak aby podejmowane przez niego decyzje były jak najtrafniejsze, zadawały społeczeństwo i odpowiadały globalnym, a nie partykularnym interesom, a jednocześnie jednak mieściły się w zakresie możliwości danego państwa.

Truizmem jest stwierdzenie, że zawsze należy rozpoczynać od jasnego sprecyzowania pytania, co chcę wiedzieć, jakiej informacji poszukuję, co jest mi potrzebne. To pytanie niewątpliwie będzie inne w ustach klinicysty, inne płatnika, jeszcze inne producenta leku, inne pacjenta, inne dyrektora szpitala czy w końcu polityka decydującego o całokształcie polityki zdrowotnej kraju. Następnym krokiem jest ocena potencjalnego źródła informacji, czyli kto jest w stanie na to pytanie mi odpowiedzieć, gdzie odpowiedzi szukać. I w tym momencie trzeba umieć swobodnie się poruszać w tym, chwilami skomplikowanym świecie współczesnego gąszczy informacji, niezapominając, że mimo wszystko istnieje wiele ograniczeń i ogromny margines niepewności, aby uniknąć sytuacji w jakiej znalazł się ichtiolog z anegdoty opowiedzianej przez Artura Eddingtona. Ichtolog ów, badając życie oceanu, zarzucił sieć i wyciągnął różnorakie ryby i inne morskie stworzenia. Jak każdy naukowiec poddał je systematycznej ocenie i doszedł do dwóch wniosków. Jeden stwierdzał, że w oceanie nie ma ryb krótszych niż dwa cale, a drugi, że wszystkie stworzenia morskie mają skrzela. Prawda była jednak taka, że w oceanie jest wiele stworzeń krótszych niż dwa cale i nie wszystkie mają skrzela, tylko po prostu sieć ichtiologa ich nie wylapała. (Abs, Feldt-Rasmussen 2004: 2). Dlatego też ocena przydatności wybranego źródła odpowiedzi jest niezmiernie ważna. Pamiętać należy, aby w naszej sieci znalazło się to, czego poszukujemy i aby ona odzwierciedlała prawdziwy obraz rzeczywistości. Aż w końcu sprawdzimy, czy wykorzystujemy informacje zgodnie z ich przeznaczeniem, w sposób gwarantujący prawidłowość rozumowania. Innymi słowy, czy zastosowanie bardzo precyzyjnie opracowanych danych w zupełnie innych warunkach i dla skrajnie różnej od pierwotnej populacji nie spowoduje całkowitego przeinaczenia skądinąd prawdziwych faktów, a stąd już tylko krok do podjęcia zgubnych decyzji. Wróćmy na moment do omawianych źródeł informacji medycznej. Załóżmy, że podejmowana jest decyzja o wprowadzeniu do leczenia drogiego leku przeciwwrzodowego. Jego sku-

teczność kliniczna została oceniona bardzo wysoko na podstawie randomizowanego badania klinicznego z podwójną ślepą próbą, przeprowadzonego w grupie pacjentów ze średnio zaawansowaną chorobą wrzodową, o średniej wieku 40 lat, ściśle przestrzegających wszelkich zaleceń dietetycznych, niepalących i nie cierpiących na żadne inne schorzenia towarzyszące. Podczas prowadzenia eksperymentu powikłania choroby wrzodowej wymagające hospitalizacji czy interwencji chirurgicznej nie wystąpiły. Lek był dobrze tolerowany, a objawy uboczne wystąpiły u pojedynczych pacjentów i ustąpiły samoistnie. Koszty leczenia sprowadzały się zasadniczo do kosztów leku. Ocena ostatecznych wyników ekonomicznych na podstawie tych danych, mimo wysokiej ceny jednostkowej leku, będzie więc bardzo korzystna. Zarządzający ochroną zdrowia w skali społeczeństwa czy jego części, musi jednak wziąć pod uwagę populację osób znacznie starszych niż 40 lat, pacjentów często nie stosujących się do zaleceń lekarskich czy wskazówek dietetycznych, chorych z całym wachlarzem schorzeń dodatkowych, też wymagających farmakoterapii mogącej całkowicie zmienić skuteczność omawianego leku czy wreszcie tych, u których choroba wrzodowa jest znacznie bardziej zaawansowana. Wtedy często okazuje się, że skuteczność jest znacznie mniejsza, a powikłania częstsze i poważniejsze. Dlatego też dodatkowo pomocy w rozwiązaniu takich sytuacji szukać można, i należy to czynić, w badaniach obserwacyjnych czy bardzo dużych bazach danych, które dostarczają szerszego spojrzenia.

Wnioski

Wydaje się, że proces decyzyjny z punktu widzenia polityka – stratega ochrony zdrowia można sprowadzić do trzech podstawowych kroków:

1. selekcja dowodów skuteczności różnych sposobów postępowania medycznego i tu należy się odwołać do randomizowanych badań klinicznych, meta-analiz czy prac przeglądowych;
2. ocena przydatności wybranych prac w konkretnej sytuacji – tu z pomocą przyjdą badania epidemiologiczne, obserwacyjne, bazy danych, które dostarczają informacji na temat wyników danego postępowania w warunkach codziennego życia, a jednocześnie pozwolą pogłębić wiedzę dotyczącą grupy docelowej, w której potencjalnie dane postępowanie ma zostać zastosowane;
3. analiza farmakoekonomiczna, dająca odpowiedź na pytanie, które postępowanie jest najbardziej efektywne.

Podsumowując, można zatem stwierdzić, że prawidłowy dobór źródeł informacji w połączeniu z właściwym ich wykorzystaniem jest jednym z podstawowych czynników gwarantujących podejmowanie słusznych decyzji.

Informacje o autorce

Mgr Maria Kołtowska-Häggröm, Wydział Farmacji, Uniwersytet w Uppsali;
e-mail: maria.koltowska-haggstrom@pharmacia.com

Bibliografia

Abs, R, Feldt-Rasmussen, U. 2004. *Growth hormone deficiency in adults, 10 Years of KIMS*, Oxford: PharmaGenesis, s. 2.

- Acquadro C, Berzon C et al. 2003. Incorporating the patient's perspective into drug development and communication: an ad hoc task force report of the patient-reported outcomes (PRO) harmonization group meeting at the Food and Drug Administration. *Value in Health*, vol. 6, nr. 5, s. 522-531.
- Altman D.G.. 1999. What randomized trials and systematic reviews can offer decision makers? *Hormone Research*, vol. 51, suppl. 1, s. 36-43.
- Bennett, J.W., Glasziou, P. 1997. Evidence-based practice: What does it really mean? *Dis Manage Health outcomes*, nr 1, s. 277-285.
- Black, N. 1999. What observational studies can offer decision makers? *Hormone Research*, vol. 51, suppl. 1, s. 44-49.
- D'Agostino, R.B., Weintraub, M. 1995. Meta-analysis: A method for synthesizing research. *Clin Pharmacol Therapy*, vol. 58, s. 605-616.
- Dix Smith M, Beger M.L., Bingefors K, Hedblom EC, Pashos CL i GW Torrance. 2003. *Health care cost, quality, and outcomes. ISPOR book of terms*, s. 172-175
- Drummond, M., Brown, R., Fendrick, A.M. et al. 2003. Use of Pharmacoeconomics information – Report of the ISPOR task force on use of pharmaco-economic/health economic information in health care decision making. *Value in Health*, nr 6, s. 407-16.
- Kahn M.G. 1999. Clinical research databases and clinical decision making in chronic diseases. *Hormone Research*, vol. 51, suppl. 1, s. 50-57.
- Muldoon, M.F., Barger, S.D., Flory, J.D. i S.B. Manuck. 1998. What are quality of life measurements measuring? *British Medical Journal*, vol. 316, s. 542-545.
- Patrick, D.L. 2003. Patient-Reported Outcomes (PRO): an organizing tool for concepts, measures and applications. *Quality of Life Newsletter*, nr 31, s. 1-5.