Validación del cuestionario del estudio sobre Resultados, Cargas y Experiencias Notificados por los Pacientes (PROBE)

M. Skinner[1,2], C. Chai-Adisaksopha[3], B. O'Mahony[4,5], D. Noone[6,7], R.Curtis[8], N. Frick[9], M. Nichol[10], D. Page[11], J. Stonebraker[12], A. Iorio[2,3] del grupo del estudio sobre Resultados, Cargas y Experiencias Notificados por los Pacientes (PROBE, por sus siglas en inglés)

[1]Institute for Policy Advancement Ltd, Washington DC, United States; [2]McMaster University, Department of Health Research Methods, Evidence, and Impact, Hamilton, Canada; [3]McMaster University, Department of Medicine, Hamilton, Canada; [4]Irish Haemophilia Society, Dublin, Ireland; [5]Trinity College Dublin, Dublin, Ireland; [6]Health Decisions Consultants, Dublin, Ireland; [7]European Haemophilia Consortium, Brussels, Belgium; [8]Factor VIII Computing, Berkeley, United States; [9]National Hemophilia Foundation, New York City, United States; [10]University of Southern California, Sol Price School of Public Policy, Los Angeles, United States; [11]Canadian Hemophilia Society, Montreal, Canada; [12]North Carolina State University, Poole College of Management, Raleigh, United States

Antecedentes

Existe una necesidad sustancial de mejorar la capacidad de recolectar e interpretar datos relevantes sobre los resultados notificados por los pacientes para respaldar la investigación centrada en el paciente y la atención óptima de personas con hemofilia.

Objetivos

- Implementar la recolección estructurada de datos provenientes de resultados notificados por los pacientes en diferentes países para construir una base sólida de evidencia para investigación comparativa de la eficacia, la toma de decisiones basada en evidencia y la promoción. (Fig. 1)
- Examinar las propiedades de medición del cuestionario PROBE y la validez de implementar PROBE para evaluar el estado de salud entre personas con hemofilia y participantes que no presentan trastornos de sangrado en diferentes regiones. (Fig. 2))

Métodos

- Recolección de datos de abril de 2015 a febrero de 2017
- 2101 encuestas recolectadas en todas las etapas del estudio en 24 países
- Registro de ensayos clínicos: NCT02439710

Resultados

- Se determinaron resultados importantes para personas con hemofilia y parámetros a tener en cuenta para la medición. (Tabla 1)
- El cuestionario PROBE consiste en cuatro secciones principales (información demográfica, problemas de salud general, problemas de salud relacionados con la hemofilia y calidad de vida relacionada con la salud).

Conclusiones

- El cuestionario PROBE evalúa resultados importantes para pacientes en personas con hemofilia y participantes de control, con un corto tiempo de finalización demostrado utilizando versiones impresas y versiones electrónicas.
- PROBE demostró la viabilidad de involucrar a diversas comunidades de pacientes en la generación estructurada de una investigación de resultados en el mundo real en todas las etapas.
- Los resultados demuestran que es válido implementar el cuestionario PROBE para evaluar los resultados notificados por los pacientes y el estado de salud entre personas con hemofilia y participantes que no presentan trastornos de sangrado en diferentes regiones.
- La propiedad grupal conocida de PROBE permitirá su uso en futuros ensayos clínicos, estudios longitudinales, estudios de evaluación de tecnología de salud, atención clínica de rutina o registros.

Figura 1

Objetos intermedios

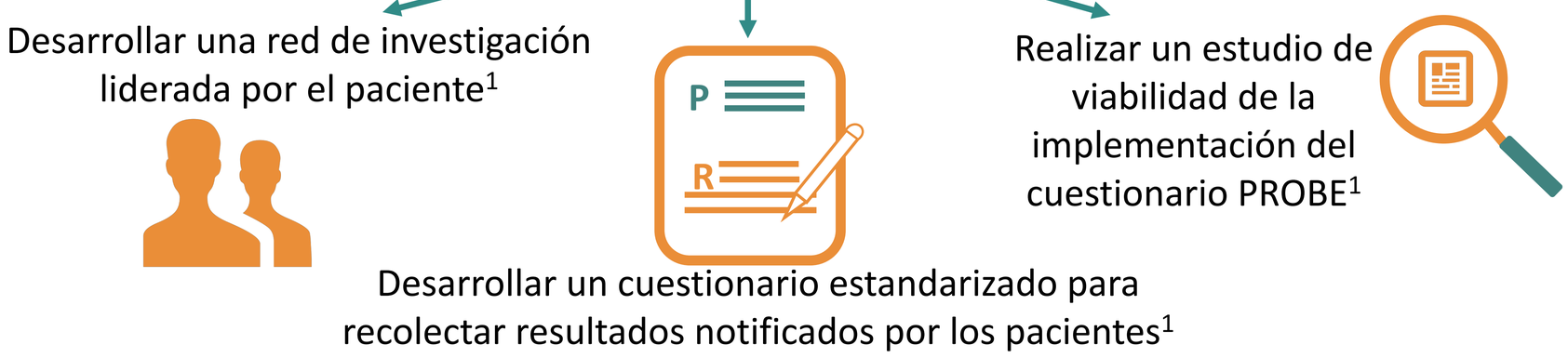

Figura 2

Estudios de validación del cuestionario PROBE

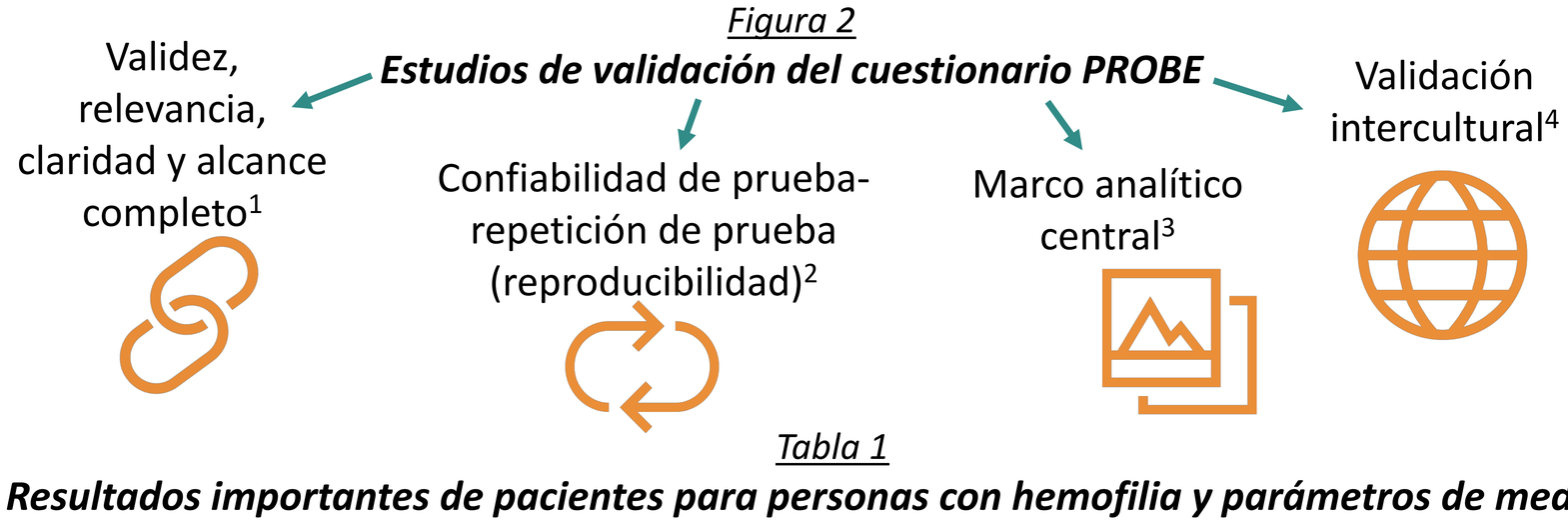

Tabla 1

Resultados importantes de pacientes para personas con hemofilia y parámetros de medición

Resultados de importancia	Parámetros
Carga reducida de vivir con hemofilia	
Vida, familia	Vida familiar, estado civil, hijos, estado de salud actual (calidad de vida relacionada con la salud)
Educación/escuela, empleo	Asistencia, rendimiento educativo, duración del empleo, subempleo
Actividades	Impacto en la vida diaria, actividades de la vida diaria, problemas de movilidad, necesidad de ayuda
Complicaciones reducidas asociadas a la hemofilia y el tratamiento	
Enfermedad de las articulaciones	Estado de las articulaciones
Dolor, depresión/ansiedad	Dolor (crónico, agudo, interferencia con la actividad, momento oportuno, medicamentos), depresión
Otras comorbilidades, VIH/VHC, obesidad	Utilización de recursos, mortalidad, longevidad

Referencias bibliográficas

1. Skinner MW, et al. *Pilot and Feasibility Studies*. (2018) 4:58. doi: 10.1186/s40814-018-0253-0
2. Chai-Adisaksopha C, et al. *Haemophilia*. (2019) 25:75-83. doi: 10.1111/hae.13649
3. Chai-Adisaksopha C, et al. *BMJ Open (*2018) 8:e021900. doi: 10.1136/bmjopen-2018-021900
4. Chai-Adisaksopha C, et al. *Haemophilia*. (2019) 25:365-372. doi: 10.1111/hae.13703

Agradecimientos

We thank the participating patient organizations: Fundación de la Hemofilia (Argentina) Cordoba Chapter; Hemophilia Foundation Australia (Australia); Federaçao Brasileira de Hemofilia (Brazil); Canadian Hemophilia Society (Canada); Association Française des Hémophiles (France); Deutsche Hämophiliegesellschaft (Germany); Magyar Hemofilia Egyesulet (Hungary); Irish Haemophilia Society (Ireland); Federazione delle Associazioni Emofilici (Italy); National Hemophilia Network of Japan (Japan); Federación de Hemofilia de la República Mexicana (Mexico); Nederlandse Vereniging van Hemofilie- Patiënten (The Netherlands); Haemophilia Foundation of New Zealand (New Zealand); Haemophilia Foundation of Nigeria (Nigeria); Polish Hemophilia Society (Poland), Federación Española de Hemofilia (Spain); The Haemophilia Society (United Kingdom); National Hemophilia Foundation (United States); Asociación Venezolana para la Hemofilia (Venezuela) and Vietnamese Hemophilia Association (Vietnam).

PROBE is an independent investigator led research project with grant / research support from: Bayer, CSL, Novo Nordisk, Roche, Sanofi, Sobi, Takeda and collaboration of the US National Hemophilia Foundation and McMaster University.

www.probestudy.org ▼ info@probestudy.org

PROBE®

Patient Reported Outcomes Burdens and Experiences Study