

Patiënt Gerapporteerde Uitkomstmaten voor Meningeoompatiënten studie

Gepubliceerd: 23-12-2016 Laatste bijgewerkt: 14-04-2024

Primaire onderzoeksdoel Het primaire doel van dit onderzoek is het ontwikkelen en valideren van een ziekte-specifieke PROM, die KvL meet in meningeoompatiënten.

Ethische beoordeling	Goedgekeurd WMO
Status	Werving gestart
Type aandoening	Zenuwstelselneoplasmata benigne
Onderzoekstype	Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Samenvatting

ID

NL-OMON43114

Bron

ToetsingOnline

Verkorte titel

PROMM

Aandoening

- Zenuwstelselneoplasmata benigne

Synoniemen aandoening

goedaardige primaire hersentumor, Meningeoom

Betreft onderzoek met

Mensen

Ondersteuning

Primaire sponsor: Leids Universitair Medisch Centrum

Overige ondersteuning: geen

Onderzoeksproduct en/of interventie

Trefwoord: Kwaliteit van leven, Meningeoom, PROM, Vragenlijst

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Deel A: Ontwikkeling van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.

Fase 1: het genereren van KvL issues

- Een uitputtende lijst met KvL issues

Fase 2: opstellen van een item-list

- Een lijst met items in hetzelfde format en tijdsspanne heeft als de EORTC vragenlijsten

Fase 3: uitzetten van een voorlopige versie van de vragenlijst in een kleine groep patiënten

- Scores van de voorlopige vragenlijst
- Resultaten van voorlopige psychometrische analyse (factor analyse, interne consistentie, descriptieve statistiek).
- Voorlopige vragenlijst

Deel B: Validering van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.

Fase 4: uitzetten van de definitieve vragenlijst in een grote groep patiënten.

- Scores van ongeveer 300 patiënten van de voorlopige vragenlijst en normatieve data op basis van deze scores.

- Validiteit, betrouwbaarheid, responsiviteit en interpreteerbaarheid van de vragenlijst.
- Scores van de volgende vragenlijsten: EORTC QLQ-C30 en BN-20 en de SF-36.

Secundaire uitkomstmaten

N.v.t.

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Meningeomen zijn de meest prevalentie tumoren van het centraal zenuwstelsel met een incidentie van 7.86 per 100.000 personen. Deze tumoren ontstaan uit de "arachnoid cap cells" en komen daarom vaak voor op de convexiteit van de schedel / falx cerebri (56%) en de schedelbasis (40%) en minder vaak in het spinale kanaal (minder dan 1%). Afhankelijk van de locatie van de tumor, kunnen patiënten een breed scala aan klachten ervaren in het fysieke (bijv. halfzijdige verlamming), psychologische (bijv. angst en depressie) en sociale domein (bijv. verminderd initiatief). Daarnaast kunnen patiënten bijwerkingen of complicaties ervaren van de behandeling.

Patiënten kunnen als gevolg van deze klachten disfunctioneren op drie verschillende niveaus, zoals beschreven door de World Health Organisation International Classification of Functioning, Disability and Health (ICF, 2001): functieverlies (bijv. visuele problemen), beperkingen in de dagelijkse activiteiten (bijv. het niet kunnen rijden) en beperkingen in de participatie (bijv. niet naar werk, vrienden en familie kunnen rijden). Kwaliteit van Leven (KvL) is een multidimensionale uitkomstmaat die klachten in het fysieke, psychologische en sociale domein en klachten direct veroorzaakt door ziekte en behandeling omvat. KvL is daarom een unieke uitkomstmaat die het functioneren van patiënten meet op alle drie de niveaus.

KvL kan gerapporteerd worden door artsen, naasten en patiënten, maar wordt meestal bepaald middels een patiënt gerapporteerde uitkomstmaat (PROM). Een dergelijke PROM geeft het perspectief van de patiënt weer. Patiënten lijken inderdaad de beste bron van informatie wat betreft hun eigen gezondheid. KvL kan gemeten worden met algemene KvL vragenlijsten (bijv. SF-36, EQ-5D, FACT-G, EORTC QLQ-C30, MDASI) en ziekte-specifieke vragenlijsten (FACT-BR, EORTC QLQ-BN20, MDASI-BT) en kan gebruikt worden zowel in de klinische praktijk als in klinisch onderzoek. In klinisch onderzoek kan KvL dienen als primaire of secundaire uitkomstmaat, wat in combinatie met conventionele uitkomstmaten

gebruikt kan worden om de "net clinical benefit" van verschillende behandelopties te bepalen. Zo kan een behandeling zowel een positief als een negatief effect hebben op verschillende uitkomstmaten en wanneer het effect ervan verschilt voor de verschillende uitkomstmaten, ontstaat de discussie wat het netto effect is van de behandeling. Verder kan een KvL vragenlijst in de klinische praktijk gebruikt worden om 1) de arts-patiënt communicatie te faciliteren, 2) de klachten en problemen van de patiënt te monitoren tijdens het ziektebeloop en 3) als kwaliteitsindicator van de zorg.

Uit de resultaten van een recent systematisch literatuuronderzoek bleek dat bestaande KvL vragenlijsten gebruikt in klinisch onderzoek met meningeoompatiënten niet ontwikkeld/gevalideerd zijn in deze patiëntengroep. Deze review toonde ook aan dat in tegenstelling tot de impressie van artsen en patiënten, er nog te weinig bewijs is om een definitieve uitspraak te doen over het effect van interventies op de KvL van meningeoompatiënten. Daarom is de ontwikkeling en validering van een KvL vragenlijst specifiek voor meningeoompatiënten nodig.

Daar de variatie in symptomen en ziektebeloop van meningeoompatiënten erg heterogeen is, is het lastig voor artsen om tijdens de korte poli bezoeken systematisch de klachten en behoeftes van patiënten in kaart te brengen. Uit een enquête van het Integraal Kankercentrum Nederland blijkt dat meer dan 60% van de patiënten knelpunten ervaart in de arts-patiënt communicatie (patiënten voelen zich ongehoord, er is geen aandacht voor hun psychosociale problemen en patiënten worden niet voldoende betrokken in de beslissingsfase). Het is algemeen bekend dat het routinematig gebruik van PROM's in de klinische praktijk de arts-patiënt communicatie kan faciliteren en waarschijnlijk ook de ervaren obstakels kan verhelpen.

Doel van het onderzoek

Primaire onderzoeksdoel

Het primaire doel van dit onderzoek is het ontwikkelen en valideren van een ziekte-specifieke PROM, die KvL meet in meningeoompatiënten.

Onderzoekopzet

De studieopzet bestaat uit twee delen:

- Deel A: Ontwikkeling van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.
- Deel B: Validering van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.

Voor de ontwikkeling van de meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet, zullen we de richtlijnen van de European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC) gebruiken. De EORTC richtlijnen bestaan uit vier fases: (1) het genereren van KvL issues, (2) opstellen van een item-list, (3) uitzetten van

een voorlopige versie van de vragenlijst in een kleine groep patiënten (4) uitzetten van de definitieve vragenlijst in een grote groep patiënten. In alle fases zullen we een heterogene groep meningeoompatiënten includeren op basis van demografische kenmerken, tumor locatie en moment in het ziektebeloop (voor en na operatie: zowel op de korte als lange termijn). Hiermee verzekeren we dat de vragenlijst relevant is voor alle meningeoompatiënten ongeacht moment in het ziektebeloop. Om de cross-culturele validiteit te verzekeren, includeren we patiënten in 3 landen: Nederland, Italië en de VS.

Deel A: ontwikkeling van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.

Deel A bestaat uit 3 fases: (1) het genereren van KvL issues, (2) opstellen van een item-list, (3) uitzetten van een voorlopige versie van de vragenlijst in een kleine groep patiënten.

Fase 1: het generen van KvL issues

In fase 1 zullen we een uitputtende lijst met KvL issues generen op basis van een systematisch literatuuronderzoek, semi-gestructureerde interviews met patiënten (n=40) en zorgprofessionals (n=18).

1. Een literatuur onderzoek zal gedaan worden om relevante KvL vragenlijsten te vinden voor deze patiëntgroep. De volgende databases zullen doorzocht worden: MEDLINE, Embase, Web of Science, CINAHL, PSYCHINFO, Academic Search Premier, Cochrane and ScienceDirect. Zoekopdrachten zullen gebruikt worden voor meningeomen, vragenlijsten en KvL.
2. Twee onderzoekers zullen de domeinen en issues uit de gevonden vragenlijsten extraheren en op basis van deze domeinen zullen semi-gestructureerde interviews georganiseerd worden.
3. Het doel van deze semi-gestructureerde interviews is drieledig: 1) alle relevante KvL issues te identificeren (het interview gaat door totdat de patiënt geen nieuwe KvL issues meer kan noemen), 2) het bepalen van de relevantie van de gevonden issues in de literatuur 3) het bepalen van de 5 meest belangrijke issues.
4. Op basis van de literatuur en de semi-gestructureerde interviews met patiënten en zorg professionals zullen we een lijst met issues genereren. Deze lijst zal vertaald worden naar het Engels.

Fase 2: opstellen van een lijst met items

1. In fase 2 zal de lijst met KvL issues omgezet worden naar vragen/items in het Engels met hetzelfde format en tijdsspanne als de EORTC vragenlijsten: a) vragen zullen refereren naar de ervaringen van de patiënt van de afgelopen week of maand, op basis van de frequentie van de issues, b) antwoorden zullen geregistreerd worden op een 4 point Likert scale (1 helemaal niet - 4 heel erg), c) vragen die gerelateerd zijn aan het functioneren zullen positief geformuleerd worden en vragen die gerelateerd zijn aan symptomen, zullen negatief geformuleerd worden.
2. De vragen zullen gemaild worden naar de hoofdonderzoekers van elk centrum om tot consensus te komen over de formulering van de vragen.

3. De vragen zullen vervolgens vertaald worden naar het Nederlands en het Italiaans via een forward-backward methode, volgens de richtlijnen van de EORTC.
4. "Cognitive Debriefing" interviews zullen georganiseerd worden met 10 meningeoompatiënten om de construct validiteit van de voorlopige vragenlijst te bepalen en te bepalen of de vragen duidelijk geformuleerd zijn.

Voorlopige beslisregels voor fase 1.

Alle geïdentificeerde issues uit fase 1 zullen opgenomen worden in de voorlopige vragenlijst, met uitzondering van:

- Issues met een gemiddelde relevantie score lager dan 1.5 op de 4 point Likert scale
- Issues die erg op elkaar lijken. De issue met de hoogste gemiddelde relevantie score zal opgenomen worden in de voorlopige vragenlijst.
- Issues die niet in alle drie de landen en culturen bruikbaar en/of van toepassing zijn.

Fase 3: uitzetten van een voorlopige versie van de vragenlijst in een kleine groep patiënten.

Het doel van het uitzetten van de voorlopige vragenlijst in een kleine groep patiënten is om eventuele fouten en problemen in de vragenlijst te identificeren (bijvoorbeeld in de formulering van de vragen en de volgorde van de vragen) en om overbodige en nog missende vragen te identificeren. In deze fase zullen zo'n 120 patiënten deelnemen. Zij worden gevraagd om de vragenlijst in te vullen en de relevantie van elk issue te scoren en aan te geven of de vragen duidelijk geformuleerd zijn. Verder zal er een voorlopige psychometrische analyse uitgevoerd worden. Dit leidt uiteindelijk tot de vragenlijst die in fase 4 gebruikt zal worden.

1. Patiënten vullen de voorlopige vragenlijst in vooraf aan het interview.
2. Patiënten scoren de relevantie van elke vraag op een 4 point Likert scale (helemaal niet - heel erg).
3. Tijdens semi-gestructureerde interviews wordt de volledigheid van de vragenlijst bepaald. Ook wordt bepaald wat de last voor de patiënt is om de vragenlijst in te vullen. Op basis van deze bevindingen zal de vragenlijst eventueel aangepast worden.
4. Voorlopige psychometrische analyses zullen uitgevoerd worden.

Voorlopige beslisregels voor fase 3

Vragen blijven behouden als ze aan 5 van de volgende 7 criteria voldoen:

- Vragen met een minimaal gemiddelde relevantie score van 1.5
- Vragen met een prevalentieratio van boven de 30% (aantal patiënten die de vraag als relevant scoort gedeeld door het totaal aantal patiënten die de vraag gescoord heeft)
- Vragen met een range > 2 punten
- Vragen met een minimaal "floor and ceiling" effect.
- Vragen die niet van toepassing zijn in alle drie de landen.
- Vragen die bedroevend of vervelend kunnen zijn voor de patiënt.
- Vragen met een minimale "response rate" van 95%

Nieuwe vragen worden opgenomen wanneer minimaal 30% van de patiënten de vraag als relevant rapporteert in fase 3. Vragen zullen geherformuleerd worden wanneer minimaal 2 patiënten in fase 3 moeite hebben met de formulering van de vraag.

Deel B: Validering van een meningeoom-specifieke PROM, die KvL meet.

Fase 4: uitzetten van de definitieve vragenlijst in een grote groep patiënten. In fase 4 vullen patiënten uit meerdere centra de vragenlijst op meerdere tijdstippen in (voor elke vraag die opgenomen is in de vragenlijst dienen 10 patiënten de vragenlijst in fase 4 in te vullen) om de validiteit, betrouwbaarheid, responsiviteit en interpreteerbaarheid ("minimal important change") te bepalen volgens de Consensus-based Standards for the selection of health Measurement Instruments (COSMIN) criteria.

1. Patiënten vullen de vragenlijst op drie tijdstippen in: baseline, na 12 weken en na 14 weken (patiënten die de vragenlijst invullen voor de operatie, dienen de vragenlijst niet eerder in te vullen dan één week voor de operatie).
2. Patiënten vullen tevens drie andere vragenlijsten in tijdens het eerste meetmoment om de "concurrent validity" te bepalen: EORTC QLQ-C30 en de hersentumor specifieke vragenlijst (EORTC QLQ-BN20) en de SF-36.
3. Patiënten vullen een debriefing vragenlijst in. Op basis van bevindingen van deze debriefing vragenlijst zal de vragenlijst aangepast worden.
4. Psychometrische analyses zullen uitgevoerd worden op basis van de COSMIN criteria.

Inschatting van belasting en risico

Patiënten kunnen tijdens de semi-gestructureerde interviews geconfronteerd worden met mogelijke klachten en problemen die meningeoompatiënten kunnen hebben. Dit kunnen zij ervaren als een psychologische last. Tevens zal het de patiënten tijd kosten om deel te nemen aan de interviews en de vragenlijsten in te vullen, maar dit is niet substantieel (60 min). Uit onze eerdere ervaringen met het ontwikkelen van KvL vragenlijsten blijkt dat de last voor de patiënt minimaal is en dat patiënten het fijn vinden om hun klachten te bespreken met een zorgprofessional.

Contactpersonen

Publiek

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2 J-11-083

Leiden 2333ZA

NL

Wetenschappelijk

Leids Universitair Medisch Centrum

Albinusdreef 2 J-11-083

Leiden 2333ZA

NL

Locaties

Landen waar het onderzoek wordt uitgevoerd

Netherlands

Deelname eisen

Leeftijd

Volwassenen (18-64 jaar)

65 jaar en ouder

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

Patiënten kunnen alleen geïnccludeerd worden indien zij:

1. klinisch of middels pathologie gediagnosticeerd zijn met een WHO graad 1 meningeoom
2. 18 jaar of ouder zijn
3. vooraf aan deelname aan het onderzoek op papier toestemming geven (informed consent)

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

Patiënten worden geëxcludeerd, indien zij:

1. Een meningeoom hebben door het Neurofibromatose type 2 syndroom
2. Niet vloeiend zijn in het Nederlands, Engels of Italiaans (afhankelijk van het land waarin zij leven)
3. Aan een psychische of fysieke conditie lijden die het begrijpen en invullen van vragen en vragenlijsten belemmert.

Onderzoeksopzet

Opzet

Type: Observationeel onderzoek, zonder invasieve metingen

Blinding: Open / niet geblindeerd

Controle: Geen controle groep

Doel: Anders

Deelname

Nederland

Status: Werving gestart

(Verwachte) startdatum: 06-01-2017

Aantal proefpersonen: 165

Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Goedgekeurd WMO

Datum: 23-12-2016

Soort: Eerste indiening

Toetsingscommissie: METC Leiden-Den Haag-Delft (Leiden)

metc-ldd@lumc.nl

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register

CCMO

ID

NL58154.058.16