

Modelmatige benadering van effectmeting

Pieter F. de Vries Robbé¹ en Gert Jan van der Wilt²

Katholieke Universiteit Nijmegen

¹ *Medische Informatiekunde*, ² *Medische Technologie Assessment*

Effect-onderzoek wordt steeds belangrijker om een goede afweging tussen verschillende behandelmethoden te kunnen maken. Het blijkt lastig alle factoren die bij een bepaalde behandeling in beschouwing kunnen worden genomen te overzien en te bepalen welke factoren in een studie moeten worden meegenomen. Causale modellen kunnen behulpzaam zijn bij het in kaart brengen van het betreffende kennisgebied. Door deze modellen systematisch op te bouwen kan een bijdrage worden geleverd aan evaluatiestudies die zullen leiden tot relevante beleidsmatige beslissingen.

Inleiding

Op basis van klachten of aandoening van een patiënt wordt door de behandelaar gekozen voor een behandeling, waarbij verwacht wordt dat deze behandeling een bepaald effect zal hebben. Het te bereiken effect richt zich op de oorzaak van de klachten of op de klachten zelf, maar kan ook gericht zijn op het voorkomen van klachten in de toekomst. Bij het kiezen van een bepaalde behandeling is het verwachte effect een belangrijke factor. Onze kennis over mogelijke effecten halen we uit de literatuur en uit eigen, eerder opgedane, ervaring. Van veel behandelmethoden is echter niet duidelijk wat de kans is dat bij de te behandelen patiënt inderdaad het verwachte effect zal optreden.

De laatste jaren is er een sterke toename van de belangstelling voor het doen van evaluatieonderzoek om meer inzicht te krijgen in het werkelijke effect van bepaalde behandelingsmethoden. Medisch handelen dat is gebaseerd op onderzoek naar de werkelijk optredende effecten wordt aangeduid met de term Evidence-Based Medicine. Met de komst van Evidence-Based Medicine worden alleen, op wetenschappelijk verantwoorde wijze, geëvalueerde behandelmethoden serieus genomen. Dat geldt in het bijzonder voor nieuw te introduceren methoden die veelal kostbaarder zijn dan bestaande behandelmethoden. Beleidsmakers kunnen op basis hiervan beter beslissingen nemen over de beschikbaarstelling van nieuwe behandelingen, terwijl behandelaars meer gefundeerd kunnen kiezen voor een bepaalde behandeling bij een bepaalde patiënt.

Steeds meer zijn ook beleidsmakers geïnteresseerd in het evalueren van reeds veel gebruikte behandelmethoden om zo ondoelmatigheid in het bestaande pakket van voorzieningen op te sporen. Dit door hen gestimuleerde onderzoek wordt veelal aangeduid met de term 'doelmatigheidsonderzoek'. Behandelaars kunnen op grond van dit type onderzoek de kwaliteit van de door hen verleende zorg verhogen.

Goed evaluatie-onderzoek is tijdrovend en kostbaar. Soms blijkt na de studie dat voor degenen die moeten beslissen over het introduceren van een nieuwe behandel-methode, of over het niet langer aanbieden van een bestaande methode, het onderzoek eigenlijk onvoldoende informatie heeft opgeleverd. Hoewel dan een beeld is verkregen over het effect op de gezondheidstoestand van de patiënt kunnen nog veel gegevens ontbreken: bij welke categorieën van patiënten de effecten vooral verwacht worden, de kosten van de behandeling, de vergelijking met andere, gangbare, behandelmethoden, neveneffecten op sociaal en ethisch terrein. Ontbrekende gegevens zorgen ervoor dat over te nemen beslissingen discussie ontstaat betreffende punten die in het onderzoek niet aan de orde zijn geweest.

Eigenlijk moeten behandelaars, en vooral ook beleidsmakers die de beslissingen moeten nemen, eerst aangeven welke behoefte aan informatie zij hebben, omdat ook voor hen de discussies achteraf vaak als een verrassing komen.

Dat betekent dat behoefte bestaat aan een meer systematische methode om het onderzoek zodanig in te richten dat zo min mogelijk risico wordt gelopen dat gegevens naderhand blijken te ontbreken.

Op grond van de ervaring, in de afgelopen jaren opgedaan bij het opstellen en beoordelen van voorstellen voor evaluatiestudies, zijn de auteurs gekomen tot een meer modelmatige benadering van dit type onderzoek.

Methode

Het hiervoor geformuleerde probleem van het ontbreken van relevante informatie voor beslissers (behandelaars, instituten, verzekeraars en overheid) vereist dat het betreffende terrein goed wordt overzien, voordat een beslissing over de opzet van de evaluatiestudie wordt genomen. Alle mogelijke oorzaken van de aandoening en de effecten ervan en van de behandeling dienen in beeld gebracht te zijn. Ook andere behandel mogelijkheden dienen in beschouwing te worden genomen.

Dit 'in kaart brengen' van het terrein van onderzoek kan goed gebeuren door middel van (kwalitatieve) causale modellen (de Vries Robbé, 1992). Andere typen modellen die kunnen worden onderscheiden zijn onder meer het nosologische model, het taxonomische model en het actiemodel. Het nosologische model lijkt in zekere zin op het causale model, voor zover er ziekten en symptomen in voorkomen. In het nosologisch model gaat het echter niet om oorzaak-gevolgrelaties, maar om 'benoemingsrelaties'. Het gaat daarbij om het benoemen van een bepaalde set van symptomen door de set een specifieke naam te geven. De meeste ziekten met een eigen naam kunnen op die wijze met de bij die ziekten typisch voorkomende symptomen worden verbonden. Het taxonomische model wordt gebruikt om de hiërarchie van ziekten

weer te geven zoals in de reeks 'pneumococcenpneumonie – pneumonia – longziekte'. Dit is de kenmerkende ordening in (goede) classificatiesystemen. Het actiemodel bevat de inhoud van richtlijnen en protocollen. De relaties bestaan uit als ... dan-relaties. Wanneer een patiënt bepaalde symptomen of ziekten heeft moet deze een bepaalde behandeling krijgen. Dit type kennis is veelal het resultaat van een goed uitgevoerde effectiviteitsstudie. Causale modellen zijn beschrijvingen met een schematische weergave van oorzaak-gevolg-relaties waarmee het terrein van onderzoek letterlijk 'in kaart wordt gebracht'. Vooral de causale modellen laten zien welke effecten we op korte en langere termijn kunnen verwachten. Ook andere mogelijke oorzaken van deze effecten kunnen in een causaal model worden weergegeven. De schema's zijn uiterst eenvoudig. Ze bestaan uit begrippen, in de vorm van korte teksten, en de veronderstelde causale verbanden, in de vorm van pijlen, er tussen. Eventuele condities kunnen worden aangegeven door een pijl op een pijl. De precieze sterkte van de relatie (statistisch gezien) is voor het doel minder van belang. Het gaat om mogelijke causale verbanden.

Teneinde het terrein van onderzoek in kaart te brengen kan men achtereenvolgens de volgende vragen stellen:

- om welke aandoening gaat het;
- welke oorzaken en gevolgen kent deze aandoening;
- om welke behandeling gaat het;
- welke directe effecten worden van de behandeling verwacht;
- welke effecten worden eigenlijk wenselijk geacht;
- onder welke voorwaarden komen deze effecten tot stand;
- welke andere factoren kunnen deze effecten bevorderen of doen ontstaan;
- welke andere gevolgen kan men van de behandeling en de effecten ervan verwachten;
- ga eventuele andere gerelateerde factoren na voor elk van de hiervoor gevonden begrippen;
- welke relatie bestaat er voor elk van de begrippen met kosten en kwaliteit van leven.

Het aldus opgebouwde causale model is de basis voor overwegingen die moeten leiden tot een weloverwogen keuze van:

- de te onderzoeken behandeloptie(s);
- de te onderzoeken effecten;
- eventuele intermediaire effecten;
- de factoren die onbedoeld dezelfde effecten teweeg kunnen brengen (versturende variabelen);
- de factoren die naast de te evalueren behandelopties invloed hebben op de sterkte van het effect (modificerende variabelen).

De vraag is nu aan de orde waar de gegevens in het model vandaan moeten komen. Daartoe kan het beste eerst de basisliteratuur over de aandoening en de behandeling worden geraadpleegd, met name uit tekstboeken. Overzichtsartikelen kunnen ook

goed bruikbaar zijn. Pas in tweede instantie komen de meer opiniërende artikelen in aanmerking. Vooral artikelen die de mening van 'belangengroepen' weergeven zijn in dit stadium een goede bron. Bij het maken van het model is het goed rekening te houden met het feit dat effecten betrekking kunnen hebben op zowel stoornissen (organisch), beperkingen (functioneel) als handicaps (sociaal). Deze driedeling komt bij uitstek tot uitdrukking in de Classificatie van Stoornissen, Beperkingen en Handicaps (ICIDH, 1993).

Voor onderzoek dat gericht is op keuzen door beleidsmakers dient na het verwerken van literatuur in het model overleg met 'betrokkenen' plaats te vinden. Wie betrokken is moet blijken uit het op de literatuur gebaseerde schema. Zo kan het zijn dat uit de literatuur is gebleken dat bepaalde groepen voor of tegen bepaalde behandelmethoden zijn. Dat geldt zowel voor behandelaars als voor degenen die geacht worden de behandeling te ondergaan. Met representanten van de 'betrokkenen' dienen interviews plaats te vinden. Hierbij gaat het er niet om de geïnterviewden te overtuigen van een bepaalde mening, maar het interview is erop gericht om het schema zodanig aan te vullen dat zo goed mogelijk alle (vermeende) gerelateerde factoren in kaart zijn gebracht.

Voor elk van de te meten grootheden moeten vervolgens de effectmaten worden vastgesteld, d.w.z. de 'maatlat' waarlangs het betreffende effect daadwerkelijk gemeten wordt. Daarbij is het van belang dat relevant geachte verschillen inderdaad kunnen worden uitgedrukt. Dat betekent dat de maatlat die wordt gehanteerd aan bepaalde eisen van gedetailleerdheid moet voldoen. Een zeer gedetailleerde maatlat is ook vaak niet nodig.

Op basis van het causale model kan aldus een beslissing worden genomen over de in een studie te beschouwen behandelopties en de te meten uitkomsten. Zowel de behandelingen als de metingen dienen zodanig gestandaardiseerd te worden uitgevoerd dat eventuele verschillen in de resultaten van een behandeling niet kunnen worden toegeschreven aan verschillen in behandelwijze of verschillen in de wijze waarop de resultaten zijn gemeten.

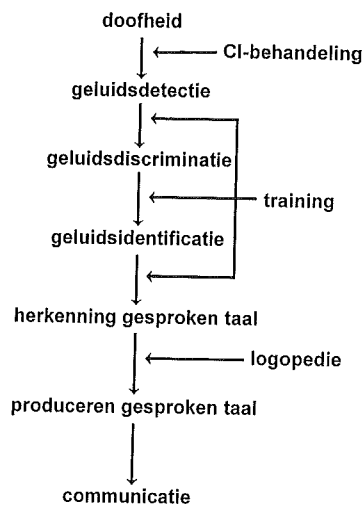
Zowel de bij een bepaalde patiënt uit te voeren behandeling als de in het kader van een studie uit te voeren metingen kunnen in een zogenaamd onderzoekschema worden weergegeven. Dit schema is een tijdschema van de periode dat een patiënt deel uitmaakt van de studie. Dit tijdschema is voor iedere patiënt die in een bepaalde tak van de studie zit hetzelfde.

Alleen wanneer het terrein van onderzoek goed in kaart is gebracht en met argumenten een keuze is gemaakt voor de te onderzoeken behandelingen, de effecten en de effectmaten, kan men verwachten dat de resultaten van het onderzoek (misschien met de nodige uitleg achteraf) zullen worden geaccepteerd en kunnen leiden tot relevante beleidsbeslissingen. Ook voor de individuele behandelaar betekent dit dat dan helderheid bestaat over door hem of haar te nemen beslissingen in de dagelijkse praktijk, hoewel men zich moet realiseren dat elke uitkomst van een evaluatiestudie een beste keuze voor een groep van patiënten betreft. Het blijft aan de behandelaar eventueel

de argumenten aan te dragen waarom in een specifiek geval van deze keuze wordt afgeweken.

Voorbeeld

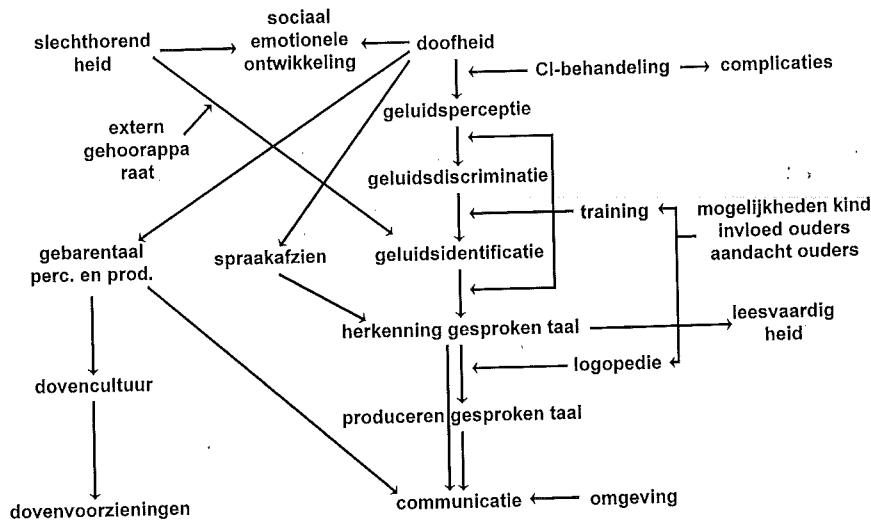
Onderstaand is een voorbeeld gegeven van een causaal model dat is opgebouwd rond de behandeling van doofheid bij kinderen door middel van een cochleair implantaat (CI). Het eerste schema bevat het directe effect van een cochleair implantaat: (verbetering van) de geluidsdetectie. Dat op zich is niet het enige wat we willen bereiken. Het uiteindelijke doel is een verbetering van de communicatie. Dit doel kan alleen bereikt worden met voldoende gehoortraining en logopedie.



Het tweede schema laat zien dat het eigenlijke doel, de communicatie, ook beïnvloed wordt door andere methoden zoals spraakafzien en gebarentaal. In sommige gevallen kan ook een extern gehoorapparaat van invloed zijn. Vervolgens blijken er ook nog andere gevolgen van de aandoening en van het implantaat te zijn. Doofheid kan leiden tot een verminderde sociaal-emotionele ontwikkeling. De CI-behandeling kan leiden tot complicaties. De herkenning van gesproken taal beïnvloedt de leesvaardigheid. Gebarentaal maakt deel uit van de dovencultuur die op haar beurt weer pleit voor voorzieningen voor doven.

Verder worden de communicatie-mogelijkheden nog beïnvloed door de omgeving en worden de gehoortraining en de logopedie beïnvloed door de mogelijkheden van het kind en de invloed en aandacht van de ouders.

Tenslotte kan van elk van de in het schema voorkomende factoren bepaald worden welke een direct effect hebben op de kosten en welke van invloed zijn op de kwaliteit van leven.



Discussie

Het zal duidelijk zijn dat het causale model ook een aantal *alternatieve 'behandel'-methoden* laat zien zoals: gehoorapparaat, spraakafzien en gebarentaal. In een onderzoeksopzet moet goed overwogen worden deze methoden als alternatieve behandelopties mee te nemen, dan wel hun invloed bij de effecten van de te beoordelen CI te meten.

Door de uit de literatuur afgeleide modellen niet voor te leggen aan *betrokkenen* kan het zijn dat delen van het model (vooral 'aan de randen') niet worden ingevuld. Zo komt het stuk over gebarentaal, dovencultuur en dovenvoorzieningen evenals de invloed van de ouders op training en logopedie pas boven water als met *betrokkenen* wordt gesproken.

De beschreven methode geeft geen garantie dat het gehele terrein goed in kaart wordt gebracht. Veel hangt af van de speurzin van de onderzoeker en zijn of haar gedrevenheid om zoveel mogelijk van het probleem in kaart te brengen.

Het causale model kan ook gebruikt worden om na te gaan *welke groepen patiënten* juist wel geïnccludeerd moeten worden in het onderzoek en welke groepen juist niet. In een zogenaamd selectieschema kan de selectie van patiënten worden beschreven. Hierin is aangegeven welke populatie in eerste instantie in beschouwing wordt genomen en welke selecties achtereenvolgens worden gemaakt om de juiste groep over te houden.

Nadat een keuze is gemaakt voor de *te meten grootheden* dient nog bepaald te worden welke *meetinstrumenten* daarvoor gebruikt kunnen en in het onderhavige onderzoek zullen worden. Ook deze keuze is een probleem omdat hiervoor vaak ook weer verschillende alternatieven bestaan (Lottman, 1998).

Tenslotte dient nog een onderzoekschema te worden gemaakt waarin is vastgelegd *op welke momenten vóór en na de behandeling* welke metingen moeten worden

gedaan. Daarbij moet rekening gehouden worden met mogelijke vroege en late effecten van de behandeling. Ook hiervoor kan het causale model gebruikt worden, door de causale relaties van een tijdsfactor te voorzien.

Om het effect van een behandeling te kunnen meten moet de behandelmethode op *gestandaardiseerde wijze* worden uitgevoerd, zodat eventuele verschillen in uitkomsten niet zijn toe te schrijven aan verschillen in de behandeling. Indien het niet gaat om de vergelijking tussen twee (of meer) behandelmethoden zal een controlegroep moeten worden toegevoegd die niet behandeld wordt ten einde een uitspraak over het effect van de behandelmethode te kunnen doen.

Conclusie

Evaluatiestudies worden steeds belangrijker om evidence-based een keuze te kunnen maken tussen verschillende behandelmethoden. Het ontwerp van een evaluatiestudie vereist dat een grondig beeld wordt gevormd van het probleemgebied. Causale modellen geven de mogelijkheid het terrein van onderzoek zodanig in kaart te brengen dat het bespreekbaar wordt met betrokkenen. Overleg met betrokkenen is van groot belang om de resultaten van het onderzoek zodanig volledig te krijgen dat beleidsmensen de relevante beslissingen kunnen nemen.

Literatuur

- ICIDH Internationale classificatie van stoornissen, beperkingen en handicaps (1993) herdruk WHO Geneve 1993. WCC Zoetermeer, ISBN 90-72767-03-9.
- Lottman, P.E.M. (1998) MUST: Multiple sclerosis trial support system. Proceedings ISTAHC 1998, Ottawa.
- Vries Robbé, P.F. de (1992) Formele geneeskunde en kennistechnologie. Oratie KUN, Nijmegen.