



4

RESULTADOS EN SALUD PERCIBIDOS Y COMUNICADOS POR LOS OBSERVADORES: ¿QUÉ SON Y CÓMO SE MIDEN?

JAVIER SOTO ÁLVAREZ, MERCEDES MADERUELO

■ 4.1. CONCEPTO Y CIRCUNSTANCIAS EN LAS QUE DEBERÍAN EMPLEARSE

Dentro de la evaluación de los resultados clínicos (*clinical outcome assessment*) de los medicamentos y productos sanitarios, los resultados comunicados por los observadores (*observer-reported outcome assessment*) es una fuente adicional importante para poder conocer el beneficio terapéutico producido por un medicamento u otra tecnología sanitaria, en especial en situaciones donde el propio paciente no puede comunicar sus percepciones y vivencias por sí mismo, siendo complementaria a la evaluación de resultados en salud producidos por los clínicos (*clinician-reported outcome assessment*) y los propios pacientes (*patient-reported outcomes assessment*) (Powers *et al.*, 2017).

Por lo tanto, la medición de los resultados comunicados por un observador se basa en una medida de signos y síntomas que presentan los pacientes, así como actividades, comportamientos y verbalizaciones relacionadas con los pacientes, que son percibidas y valoradas por personas que no son el propio paciente, ni un profesional sanitario (médico, enfermera, farmacéutico, etc.). Habitualmente, el observador que percibe y comunica estos resultados relacionados con el paciente es un familiar (padres, hermanos, abuelos, etc.), un cuidador (en patologías con elevada discapacidad o con problemas cognitivos importantes) u otra persona que observa al paciente de manera habitual (maestros, entrenadores, cuidadores, cancheros, etc.), y son personas que no necesitan una formación y especialización sanitaria. Este tipo de medición de resultados en salud es muy importante para aquellos pacientes que no pueden comunicar por sí mismos las percepciones que tienen de la enfermedad que padecen o cómo les afectan los tratamientos pautados para el manejo de su enfermedad, tales como los neonatos, niños pequeños, sordomudos, pacientes con funciones superiores mermadas, pacientes con patología degenerativa del sistema nervioso central (SNC), pacientes con un grado importante de discapacidad, etc. (Walton *et al.*, 2015).

Hay tres circunstancias en las que debería emplearse la medición de los resultados comunicados por un observador:

1. Cuando un paciente no puede comunicar aspectos de su salud relacionados con la enfermedad que padece y los resultados percibidos de los tratamientos administrados, o si puede, los datos que van a proporcionar no

van a ser fiables y creíbles para tomar decisiones terapéuticas, como por ejemplo población pediátrica por debajo de 10 años, pacientes con enfermedades mentales o con afectación cognitiva importante, como por ejemplo, pacientes con enfermedad de Alzheimer avanzada, pacientes con otras enfermedades degenerativas del SNC, pacientes con patología psiquiátrica no bien controlada, etc.

2. Cuando los datos que van a recoger y medir los observadores van a ser de fácil recogida y no van a requerir una formación importante en temas sanitarios, pero van a ayudar de manera muy importante al profesional sanitario a valorar el control de la enfermedad de forma rutinaria y a tomar decisiones terapéuticas importantes, ya que esta información va a ser totalmente complementaria con la que éstos van a recopilar.
3. Cuando el resultado a evaluar va a ser recogido de manera más fiable por un observado que tenga una relación fluida y continua con el paciente más que por un profesional sanitario, como, por ejemplo, actividades y comportamientos que van a ser distintos día a día, o actividades que se van a producir solo durante algún momento a lo largo del día (en la escuela, mientras duerme, por la mañana a primera hora, etc.).

■ 4.2. FASES DEL DESARROLLO DE INSTRUMENTOS PARA MEDIR RESULTADOS EN SALUD COMUNICADOS POR UN OBSERVADOR

Este tipo de cuestionarios se componen de instrucciones, una serie de preguntas y unas opciones de respuesta, con una explicación sencilla para contestar. Los *ítems* se agrupan, habitualmente, en dimensiones que miden diferentes aspectos de la enfermedad que padece el paciente evaluado. El número y tipo de dimensiones e *ítems* incluidos dependen del propósito del instrumento, el modelo conceptual en el que se ha basado y de algunas consideraciones prácticas, tales como el tiempo disponible para su administración y lo que va a tardar en rellenarlo el observador.

El desarrollo de un instrumento nuevo para medir los resultados comunicados por un observador, comprende cinco fases diferentes, totalmente complementarias entre ellas (Benjamin *et al.*, 2017; Deshpande *et al.*, 2011):

- Identificación de los conceptos a incluir en el cuestionario, que va a constar de las siguientes fases: 1) revisión de la literatura; 2) entrevista a profesionales sanitarios expertos en la enfermedad y a posibles observadores del paciente que padece esta enfermedad (padres, hermanos, cuidadores, maestros, etc.); 3) análisis cualitativo de toda la información recopilada, lo que va a ayudar a generar las dimensiones e *ítems* que tendrá el nuevo instrumento.
- Generación de los *ítems* a incorporar en el cuestionario, para lo que será necesario elaborar un marco conceptual preliminar, así como definir un elen-

co provisional de *ítems* a incorporar en el instrumento, lo que va a permitir disponer al final de una primera versión del cuestionario, donde se habrán incluido todas aquellas dimensiones e *ítems* que se consideren importantes para valorar los resultados que se produzcan.

- Análisis de los *ítems* incorporados en el instrumento con el fin de valorar las posibles duplicidades y repeticiones de conceptos en distintos *ítems*, para lo que será necesario que esta primera versión del cuestionario sea cumplimentada por grupo de observadores, de tal manera que al final solo queden en la versión definitiva del instrumento aquellas preguntas que sean relevantes, claras y que sean útiles para el objetivo final del cuestionario.
- Refinamiento del nuevo instrumento una vez se hayan eliminado aquellos *ítems* que miden cosas similares y son redundantes, y se esté seguro de que encaja con el marco conceptual definido al inicio del proceso; en este paso será necesario que un grupo de clínicos expertos en la enfermedad lo revisen por si hubiera preguntas dudosas y, posteriormente, que un grupo de observadores lo revisen y estén de acuerdo.
- Validación de las propiedades psicométricas del nuevo instrumento, con el fin de estar seguros que mide lo que tiene que medir, para lo que es necesario valorar las propiedades de medición del cuestionario, tales como: 1) viabilidad, que se refiere a que el tiempo empleado en la cumplimentación del mismo no sea excesivo, que el cuestionario es sencillo, entendible y fácil de rellenar y que, además, su corrección e interpretación de los resultados es fácil; 2) fiabilidad, esto es que el cuestionario es preciso y estable, y que sus resultados se pueden reproducir si se realizasen mediciones en condiciones similares; esta propiedad va a indicar si la medición está libre de errores aleatorios, ya que la fiabilidad es una medida de la capacidad del cuestionario para conocer si una variable fluctúa como resultado de un error en la medida o cambio real. Para su valoración, se emplean habitualmente tres métodos diferentes: fiabilidad test-retest (va a explorar la estabilidad temporal o reproducibilidad), fiabilidad intra e inter observador (mide la concordancia de un observador consigo mismo o la concordancia entre 2 observadores independientes) y fiabilidad interna (o consistencia interna), que hace referencia a la estabilidad de las puntuaciones entre los *ítems* del instrumento; 3) validez, que nos dice el grado en que un cuestionario mide aquello para lo que está destinado, por lo que un nuevo instrumento será válido según su capacidad para medir realmente los resultados que percibe el observador. Hay varios tipos de validez, como la validez de contenido (valora si el cuestionario abarca todas las dimensiones de la enfermedad que se quiere medir), la validez de constructo (grado en que una medida particular se relaciona con otra de manera consistente) y la validez de criterio (correlación del instrumento con alguna otra medida de la variable a estudiar que se considera estándar); 4) sensibilidad al cambio, que es la capacidad del cuestionario para detectar cambios en la percepción del observador cuando mejora o empeora la

enfermedad evaluada (o alguno de sus síntomas y signos) después de un tratamiento, o en la evolución de la misma.

■ 4.3. PROPIEDADES IDEALES DE LOS INSTRUMENTOS PARA MEDIR RESULTADOS PERCIBIDOS Y COMUNICADOS POR LOS OBSERVADORES

Las propiedades ideales de un instrumento para medir resultados percibidos y comunicados por los observadores son las siguientes:

- Ser específico del concepto que se quiere medir.
- Estar basado en un modelo de punto final.
- Debería tener equivalencia conceptual.
- Debería estar basado en un modelo conceptual bien definido.
- Debería contener el número óptimo de *ítems* y dimensiones.
- Debería ser fácil de rellenar y no llevar mucho tiempo, así como disponer de propiedades de medida adecuadas.
- Debería tener evidencias apropiadas del modelo conceptual y excelentes propiedades psicométricas.
- Debería mantener la confidencialidad del observador.
- Debería ser reproducible.

■ 4.4. PRINCIPALES CARACTERÍSTICAS DE LOS INSTRUMENTOS EXISTENTES PARA VALORAR LOS RESULTADOS COMUNICADOS POR LOS OBSERVADORES

La mayoría de los cuestionarios existentes para evaluar los resultados comunicados por los observadores se ha desarrollado en enfermedades raras y en la edad pediátrica, con el fin de emplearse en los programas de investigación clínica de estas enfermedades (Geister *et al.*, 2017; Edwards *et al.*, 2018; Stacpoole *et al.*, 2018; Lewis *et al.*, 2018; Pascoal *et al.*, 2018).

En la génesis de todos estos instrumentos, se han seguido las siguientes fases:

- Entrevistas a padres y niños que padecen la enfermedad diana para obtener información sobre la enfermedad y los *ítems* y dimensiones más importantes a tener en cuenta en su evaluación, lo que va a ser clave a la hora de elaborar en contenido del cuestionario.

- Una vez elaborada la primera versión del instrumento, los padres y un grupo de clínicos expertos en la enfermedad (que han participado en el proyecto) revisan esta primera versión para valorar la comprensión y relevancia de los *ítems* y dimensiones incluidas, así como la factibilidad del mismo; de esta manera, se van a identificar *ítems* que presentan un lenguaje problemático que podría generar confusión cuando se contesten por los observadores, lo que va a motivar que se tengan que modificar estos *ítems*.
- Desarrollar un estudio piloto con un grupo de observadores para evaluar las propiedades de medición del nuevo instrumento, lo que va a garantizar que el cuestionario mide lo que tiene que medir y que presenta unas buenas propiedades psicométricas.

■ 4.5. CONCLUSIONES

Hasta ahora, no ha sido habitual medir los resultados en salud percibidos por los observadores de un paciente que padece una enfermedad y que no puede expresar directamente los resultados que el percibe y siente de su enfermedad; por este motivo, habitualmente esta información no se ha tenido en cuenta a la hora de decidir modificaciones terapéuticas en el manejo de su enfermedad. Sin embargo, medir los resultados en salud a través de observadores va a ser clave para que se pueda tener en cuenta las percepciones de los pacientes sobre su enfermedad y los tratamientos recibidos, en aquellas situaciones en que los pacientes no pueden transmitir directamente estos resultados en salud, bien por su edad (niños pequeños) o por padecer problemas cognitivos que impidan que los puedan comunicar adecuadamente, como, por ejemplo, pacientes con enfermedades neurodegenerativas.

Un resultado en salud medido y comunicado por un observador es una medida basada en la observación de alguien que no es un profesional sanitario (puede ser uno de los padres, el marido, el hermano, un cuidador, un maestro, etc.), que normalmente va a observar al paciente de manera regular y a diario, por lo que puede aportar información muy valiosa de como el propio paciente percibe su enfermedad y los tratamientos prescritos (un buen ejemplo es un niño pequeño que cuando tiene dolor es incapaz de transmitirlo, pero un observador puede ver cuando llora, y lo puede transmitir como un resultado derivado del dolor que padece).

Aunque pueda parecer que los resultados en salud comunicados por los observadores puede ser similar a los resultados obtenidos a través de un *proxi*, la diferencia está en que cuando es un *proxi* el que comunica los resultados, este se pone en lugar del paciente y describe los resultados como si él fuera el paciente que sufre la enfermedad (es algo totalmente subjetivo), mientras cuando es un observador el que comunica los resultados, simplemente observa lo que le sucede al paciente y como este se comporta (es una actividad totalmente objetiva, sin ningún componente subjetivo).

Dado que cada vez es más importante disponer de resultados en salud comunicados por los pacientes y, teniendo en cuenta que cada vez va a haber más pacientes que no van a poder transmitir sus resultados percibidos con garantías, en el futuro es de esperar que cada vez se empleen más los resultados en salud obtenidos a través de observadores, en un intento por disponer de datos que representen al paciente.

■ REFERENCIAS

- BENJAMIN, K., VERNON, M. K., PATRICK, D. L. *et al.* (2017). Patient-reported outcomes and observer-reported outcome assessment in rare disease clinical trials. An ISPOR COA emerging good practices task force report. *Value Health*, 20(7), pp. 838-855.
- DESHPANDE, P. R., RAJAN, S., SUDEEPTHI, B. L. *et al.* (2011). Patient-reported outcomes: A new era in clinical research. *Perspect Clin Res*, 2(4), pp. 137-144.
- EDWARDS, T. C., EMERSON, J., GENATOSSIO, A. *et al.* (2018). Initial development, and pilot testing of observer-reported outcomes (ObsROs) for children with cystic fibrosis ages 0-11 years. *J Cyst Fibros*, 17(5), pp. 680-686.
- GEISTER, T. L., BRUSNELL, D. M., YANG, J. *et al.* (2017). Initial psychometric validation of the questionnaire on pain caused by spasticity (QPS). *Health and Quality of Life outcomes*, 15, p. 229.
- LEWIS, S., DEL MURO, C., BLOCK, S. L. *et al.* (2018). Development of a novel observer-reported outcome measure for the assessment of respiratory syncytial virus (RSU) infection symptoms in pediatric clinical trials. *J Patient Rep Outcomes*, 2, p. 9.
- PASCOAL, C., BRASIL, S., FRANCISCO, R. *et al.* (2018). Patient and observer reported outcome measures to evaluate health-related quality of life in inherited metabolic diseases: a scoping review. *Orphanet J Rare Dis*, 13(1), p. 215.
- POWERS, J. H., PATRICK, D. L., WALTON, M. K. *et al.* (2017). Clinician-reported outcome assessment of treatment benefit: report of the ISPOR clinical outcome assessment emerging good practices task force. *Value Health*, 20 (1), pp. 2-14.
- STACPOOLE, P. W., SHUSTER, J., THOMPSON, J. L. P. S. *et al.* (2018). Development of a novel observer reported outcome tool as the primary efficacy outcome measure for a rare disease randomized controlled trial. *Mitochondrion*, 42, pp. 59-63.
- WALTON, M. K., POWERS, J. H., HOBART J. *et al.* (2015). Clinical outcome assessments: conceptual foundation-report of the ISPOR clinical outcomes assessment emerging good practices for outcomes research task force. *Value Health*, 18(6), pp. 741-752.