



19

INVESTIGACIÓN DE RESULTADOS EN SALUD EN NIÑOS Y ADOLESCENTES

JOSÉ LUIS REVUELTA HERRERO, SILVIA MANRIQUE RODRÍGUEZ,
CRISTINA CALVO REY, CECILIA MARTÍNEZ FERNÁNDEZ-LLAMAZARES

■ 19.1. INTRODUCCIÓN

“Todos los hospitales deberían hacer un seguimiento de los pacientes que atienden hasta determinar si el tratamiento ha sido un éxito, y si no es así, preguntarse por qué, con el objetivo de prevenir fallos semejantes en el futuro”. Esta cita pertenece al cirujano originario de Boston Ernest Amory Codman. A pesar de que se encuentra hoy día de plena actualidad, en realidad data de 1914, lo que pone de manifiesto que la preocupación por los resultados que tienen las intervenciones sanitarias en los pacientes no es algo nuevo y es intrínseca a la actividad asistencial. Recientemente, la medición y análisis de los resultados en salud se ha establecido como una herramienta prioritaria para avanzar hacia el conocido como triple objetivo de los sistemas sanitarios: mejorar la salud de la población, ofrecer una mejor atención sanitaria a los pacientes y reducir los costes de esta atención.

Como ya se ha expuesto en capítulos anteriores de este libro, la investigación de resultados en salud se diferencia de la investigación clínica, principalmente los ensayos clínicos aleatorizados, en que se realiza en condiciones de práctica clínica habitual y pueden tener un horizonte temporal más lejano. Se dirige, por tanto, a determinar la efectividad de las intervenciones sanitarias (por ejemplo, la utilización de un determinado medicamento, la realización de una cirugía con una técnica laparoscópica o la aplicación de un programa de seguimiento del paciente trasplantado pediátrico). La investigación de resultados en salud también se distingue de los estudios puramente fármaco-económicos, los cuales buscan determinar la eficiencia de las intervenciones, aunque también puede integrar costes además de resultados en sus análisis.

Los resultados en salud se han ido incorporando de forma progresiva a la investigación. Esto se debe en parte al desarrollo de una visión más amplia del concepto de salud y que también requiere de la participación del paciente con sus perspectivas. Aunque en áreas como la oncología o las enfermedades autoinmunes es difícil encontrar estudios de investigación en los que no se midan resultados en salud, es cierto que en la investigación en pediatría existe un cierto retraso. En este capítulo se revisarán algunas de las áreas en las que se centra la investigación de resultados en salud en niños y adolescentes:

- Efectividad y costes de las intervenciones sanitarias.
- Preferencias y prioridades de los pacientes.

- Resultados percibidos por los pacientes (*PRO*) y calidad de vida.
- Calidad de la asistencia sanitaria.

La investigación de resultados en salud para que sea verdaderamente útil y nos ayude a incorporar la percepción del paciente sobre el impacto de las intervenciones sanitarias en su salud, nos plantea algunos retos. En el caso de la investigación en niños y adolescentes existen algunas consideraciones previas que son intrínsecas a estas poblaciones y que se han señalado como barreras en algunos casos para el desarrollo de la investigación de resultados en salud en pediatría:

- La relación de dependencia con los progenitores o cuidadores: por ejemplo, a la hora de acceder a los recursos sanitarios, identificar las necesidades y resolverlas, exposición a factores de riesgo, manejo de los estados de salud y enfermedad, y la prevención. No debe olvidarse tampoco el impacto de la familia en la adherencia a las intervenciones sanitarias (tratamiento farmacológico, educación para la salud etc.), así como la capacidad del entorno para dar soporte económico a estas intervenciones.
- Los cambios cognitivos, físicos y sociales que se producen durante la maduración del niño, que ocurren a gran velocidad en comparación con los adultos, y que presentan una gran variabilidad interindividual. La morbilidad generada durante la infancia se manifiesta igualmente durante la adolescencia y, posteriormente, la edad adulta. La evaluación de las intervenciones sanitarias debería tener un horizonte temporal suficiente que permitiera valorar los resultados y los costes a largo plazo.
- Las diferencias epidemiológicas con los adultos. Menos del 5 % de los niños sufren enfermedades como diabetes, enfermedad cardiovascular o artritis, consideradas habitualmente como enfermedades de adultos. Por el contrario, las patologías más comunes en la población pediátrica son agudas y se pueden considerar menores. Las enfermedades graves son poco frecuentes y están relacionadas con patologías congénitas o hereditarias, o con el cáncer (leucemias, linfoma y tumores del sistema nervioso central). Estos pacientes son responsables de una parte importante del gasto puesto que requieren un manejo especializado por parte de equipos multidisciplinarios y que integren distintos cuidados (Forrest, Simpson y Clancy, 1997; Forrest, 2004).
- La importancia del contexto sociocultural en el desarrollo físico, psicológico y social de los niños y adolescentes. Es necesario considerar su entorno: sus padres, su familia, sus compañeros de colegio y el resto de la comunidad. Las relaciones en estos ámbitos tendrán un impacto directo sobre aspectos como el comportamiento, sus capacidades cognitivas, afectivas y su desarrollo social, que son dimensiones que se evalúan en multitud de cuestionarios sobre calidad de vida relacionada con la salud (Matza *et al.*, 2004).

Nuestro sistema sanitario se enfrenta a retos muy importantes, como el envejecimiento de la población o la cronificación de las patologías, que tienen un impacto alto en la sostenibilidad del sistema. Por este motivo, debemos avanzar hacia una asistencia sanitaria basada en resultados y que busque generar valor para los pacientes. Es por esto que necesitamos disponer de medidas, como la calidad de vida relacionada con la salud, que nos permitan incorporar las percepciones de los pacientes. En este sentido, la Convención de Naciones Unidas sobre los Derechos del Niño de 1989, que reconoce el derecho a la salud, refleja en su artículo 12 que la opinión de los niños y los adolescentes debe de ser tenida en cuenta en aquellos aspectos que les afecten.

■ 19.2. EFECTIVIDAD Y COSTES DE LAS INTERVENCIONES SANITARIAS

La principal fuente de que disponemos para conocer la eficacia de las intervenciones sanitarias, es decir los resultados que se obtienen al realizar una determinada intervención sobre una población, son los ensayos clínicos. Sin embargo, sabemos que las condiciones en las que se realizan los ensayos clínicos difieren de la práctica clínica habitual (poblaciones homogéneas de pacientes seleccionados, sin comorbilidades que podrían ser frecuentes en la población general y con niveles de adherencia sobreestimados). Por otro lado, nos encontramos con que la población pediátrica ha sido excluida de los ensayos clínicos de forma sistemática. Los datos sobre dosificación, eficacia y seguridad con frecuencia se extrapolan de los obtenidos en adultos o proceden de estudios de baja calidad. En el campo de los medicamentos, se sabe que los niños presentan características farmacocinéticas y farmacodinámicas que los diferencian de los adultos y que pueden determinar un resultado diferente del binomio beneficio/riesgo estimado para los adultos. Una población especialmente vulnerable son los neonatos, en los que apenas hay investigación. En las últimas décadas las autoridades norteamericana y europea han incorporado diferentes regulaciones con el objetivo de promocionar la investigación de calidad en la población pediátrica. Por su parte, la Unión Europea aprobó los reglamentos 1901/2006 y 1902/2006 para estimular la investigación y el desarrollo de medicamentos pediátricos, promoviendo la disponibilidad de medicamentos autorizados específicamente para esta población. Desde la entrada en vigor de esta legislación, el número de nuevas indicaciones o medicamentos autorizados por el procedimiento centralizado se duplicó con respecto a periodos anteriores (European Medicines Agency y Paediatric Committee, 2016).

A pesar estos esfuerzos, la investigación clínica sigue estando muy por detrás de la realizada en población adulta. Por este motivo, hasta un 79 % de los medicamentos de los medicamentos utilizados en los hospitales se hace fuera de ficha técnica (Shah *et al.*, 2007). Entre las barreras para la realización de ensayos clínicos en niños se encuentran los condicionantes éticos y la baja prevalencia de las enfermedades pediátricas, que encarecen los ensayos y ofrecen finalmente un mercado reducido para la industria farmacéutica. Por otro lado, no debe olvidarse

que como en otros ámbitos, los ensayos clínicos en pediatría muestran un patrón desigual. Reflejan patologías frecuentes en los países desarrollados (como el asma o la migraña, que ofrecen resultados más rentables para la industria) y olvidan otras patologías (por ejemplo, la malaria) que son más prevalentes en países subdesarrollados y responsables en realidad de la mayor carga de enfermedad pediátrica (Bourgeois *et al.*, 2012).

Todos estos aspectos no hacen sino subrayar la importancia que deben tener los estudios de efectividad, es decir, aquellos que buscan determinar el efecto que tienen las intervenciones sanitarias en condiciones de práctica clínica, en la población pediátrica. Sin embargo, es habitual que la evidencia sobre las intervenciones en esta población sea limitada incluso aunque su aplicación esté muy extendida (Moyer y Butler, 2004). Algunas de las barreras para la realización de este tipo de estudios ya se han descrito anteriormente:

- La dificultad para alcanzar tamaños muestrales suficientemente grandes que permitan obtener resultados significativos.
- El alto coste de estos estudios, puesto que frecuentemente se necesitan tiempos de seguimiento altos para conseguir una visión global del resultado de una intervención sanitaria y no solo una fotografía instantánea.
- El problema de que la investigación tiene como objetivo principal prevenir o curar una determinada enfermedad, no a mejorar la calidad de vida en global.
- La falta de referencias bibliográficas y metodológicas para la investigación en resultados en salud en niños y adolescentes, puesto que la mayoría se ha realizado en patologías propias de los adultos.

Metodológicamente, este tipo de estudios presentan una serie de requerimientos que se describen con acierto en el trabajo de Kaplan *et al.*, (2001):

Definición de la intervención sanitaria: puede incluir aspectos específicos como un fármaco, un procedimiento quirúrgico o un test diagnóstico y otros más complejos, como el impacto de un programa de atención al paciente diabético pediátrico que integre diferentes medidas y profesionales (médicos, farmacéuticos, enfermería y trabajadores sociales). Esta definición debe ser lo más concisa y precisa posible.

Elección del resultado en salud: La OMS definió resultado como un “cambio en la salud de un individuo, un grupo de personas o una población que se atribuya a una determinada intervención o serie de intervenciones”. En la práctica se distingue entre tres tipos de resultados: resultados clínicos, económicos y humanísticos. Los resultados clínicos son los más frecuentemente utilizados en los ensayos clínicos y otros tipos de estudios, e incluyen resultados de pruebas diagnósticas o analíticas, sintomatología, evolución de la enfermedad, efectos adversos de las intervenciones etcétera. El objetivo de algunos tipos de intervenciones sanitarias (por ejemplo, un programa de educación nutricional en familias de niños con obesidad) no es siempre

el niño, por lo que si se incluyen los padres u otros familiares, deben incluirse medidas de resultados apropiadas para reflejar los cambios de la intervención en este grupo.

Elección del grupo control: Desafortunadamente los ensayos clínicos aleatorizados pragmáticos son poco frecuentes y la mayoría de la investigación en efectividad se realiza con diseños no experimentales (mayoritariamente observacionales no controlados). Dado que no se utiliza placebo, el control es el tratamiento considerado estándar y su elección es fundamental para la aplicabilidad de las conclusiones del estudio.

Ajuste de riesgos: Los distintos perfiles de pacientes deben tenerse en cuenta a la hora de realizar comparaciones para que sean significativas. Se deben ajustar los resultados con las variaciones en las características de los pacientes que pueden darse, por ejemplo, entre dos hospitales que atiendan casos con diferente severidad o casuística (*case-mix*).

En definitiva, podemos concluir que la calidad de los estudios de efectividad y el interés de las conclusiones van a depender de los siguientes aspectos:

- El conocimiento de cómo las variables subrogadas se relacionan con los resultados en salud que realmente nos interesan.
- La procedencia de los datos (historia clínica, bases de datos, programas de prescripción farmacológica o registros de dispensación) y las limitaciones que tienen.
- La consideración de las posibles limitaciones (sesgos a la hora de la selección de la población, obtención de datos, etc.).

El interés de los costes para la determinación de los resultados económicos en salud se ha revisado ampliamente en otros capítulos de este libro. Muchas de las dificultades a la hora de definir los costes directos e indirectos tienen que ver con las particularidades de la población pediátrica descritas en la introducción. Por ejemplo, en el caso de una enfermedad crónica en un niño, deberá tenerse en cuenta el impacto económico en términos de productividad a lo largo de toda su vida. Este concepto de productividad no se debe limitarse a la capacidad de trabajo en la edad adulta, sino como una pérdida potencial de educación, desarrollo cognitivo, conductual o social que tendrá impacto cuando sea adulto. Las necesidades (cuidadores, terapeutas, tratamientos farmacológicos etc) y la dependencia respecto a los progenitores se modificarán durante el proceso de crecimiento y maduración del niño, por lo que se deben tener en cuenta las diferentes etapas a la hora de asignar los costes (Ungar, 2007).

■ 19.3. PREFERENCIAS Y PRIORIDADES DE LOS PACIENTES

Los estudios de preferencias y prioridades de los pacientes comparten con la medición de resultados en salud referidos por los pacientes el objetivo de que

la atención sanitaria gire realmente en torno al paciente, haciéndose consciente de sus necesidades y ofreciéndole soluciones que le sean valiosas. Sin embargo, tienen un enfoque diferente que se debe al origen económico de los métodos que aplicados en los estudios de preferencias de los pacientes. Mientras que los estudios de resultados reportados por los pacientes reflejan los resultados obtenidos en un dominio particular, las metodologías de preferencias de los pacientes buscan dilucidar las prioridades y deseos de los pacientes de forma transversal en varios dominios. De esta forma, el valor de un determinado resultado en salud dependería de las prioridades y preferencias de los pacientes.

Fundamentalmente, existen dos metodologías para la realización de estudios de preferencias de los pacientes:

- *Método de las preferencias reveladas*: en las que el investigador estima el valor que para los pacientes tiene un determinado aspecto mediante la observación de su comportamiento en condiciones de práctica clínica habituales.
- *Método de las preferencias expresadas*: en los que el investigador plantea diferentes escenarios hipotéticos sobre los que los sujetos participantes en el estudio ofrecen sus preferencias. Como ya se ha revisado en este libro, existen fundamentalmente dos tipos de estudios: disponibilidad a pagar y análisis de conjunto (conjoint analysis). El análisis de conjunto es una técnica que permite estimar el impacto que un determinado atributo tiene sobre el valor global de una intervención sanitaria.

Los niños y adolescentes y sus padres pueden tener perspectivas distintas sobre el impacto de las intervenciones sanitarias sobre su calidad de vida, u opiniones diferentes sobre cuáles son los resultados más relevantes para ellos respecto de los profesionales sanitarios y los gestores. Este hecho ha sido puesto de manifiesto en diferentes estudios, como el de Kramer *et al.*, que mostró que los padres y los pediatras tenían percepciones diferentes sobre el proceso diagnóstico en niños con fiebre sin foco que acudían a un servicio de urgencias. Los padres concedían más importancia al dolor o la incomodidad de sus hijos, a la vez que relativizaban el riesgo de complicaciones poco frecuentes pero más graves (por ejemplo: pérdida de la capacidad auditiva por meningitis bacteriana) frente a la realización de pruebas diagnósticas molestas (hemograma, radiografía o sonda urinaria) (Kramer *et al.*, 1990).

La toma de decisiones clínicas se basa en la valoración del beneficio frente al riesgo de una determinada intervención sanitaria y también está influenciada por las perspectivas de los niños, los padres y los profesionales sanitarios. Este es el caso de las decisiones terapéuticas en el campo de la oncología pediátrica. La baja incidencia de las enfermedades oncohematológicas pediátricas hace que en muchas ocasiones no exista una evidencia lo suficientemente sólida que permita hacer recomendaciones robustas. Pueden existir grupos de riesgo que aún no estén

definidos y que modifiquen el resultado de las intervenciones sanitarias. Por otro lado, al contrario que en los adultos, el objetivo principal es la curación, lo cual se alcanza en un porcentaje alto de pacientes. Sin embargo, es habitual la aparición de toxicidades que pueden condicionar su supervivencia o calidad de vida a largo plazo. El trabajo de Tomlinson *et al.* (2011) sobre la utilización de quimioterapia paliativa frente a los cuidados de soporte en pacientes oncológicos pediátricos puso de manifiesto las diferencias existentes entre los profesionales sanitarios y los padres. A pesar de la opinión más favorable de los profesionales sanitarios sobre los cuidados paliativos de soporte, los padres preferían la utilización de quimioterapia incluso aunque pudiera reducir la calidad de vida de los niños. El estudio concluye que la esperanza de la curación, a pesar del estadio, pesaría sobre otros factores como la supervivencia o la calidad de vida (Tomlinson *et al.*, 2011). Por el contrario, el estudio de Knowles *et al.* (2001) mostró que existía un acuerdo significativo entre padres y profesionales sanitarios a la hora de valorar diferentes estados de salud en niños con cardiopatías congénitas, lo que pone de manifiesto que es posible que los profesionales, los pacientes y los padres se encuentren alineados (Knowles *et al.*, 2007).

En este sentido, la Organización Mundial de la Salud recomienda que las perspectivas de los pacientes deben incluirse en las guías de práctica clínica (Schünemann, Fretheim y Oxman, 2006). La toma en consideración de estas perspectivas se considera que aumenta la satisfacción de los pacientes con los cuidados, favorece la toma de decisiones por los padres y permite a los gestores sanitarios priorizar intervenciones sanitarias en función de los valores de los pacientes (Sung y Regier, 2013).

Finalmente, reseñar algunas consideraciones que deben tenerse en cuenta a la hora de realizar e interpretar los estudios en este ámbito:

- Los valores pueden no ser estáticos a lo largo de toda la enfermedad, y variar en función de la edad, el pronóstico o la situación clínica.
- Los pacientes pediátricos pueden presentar deficiencias a la hora de expresar información sobre su estado de salud o dificultades para comprender el balance beneficio riesgo de una intervención sanitaria. Además, los aspectos culturales, religiosos o educativos pueden influir también en este ámbito.

■ 19.4. RESULTADOS PERCIBIDOS POR LOS PACIENTES Y CALIDAD DE VIDA

■ 19.4.1. ¿Qué son los resultados percibidos por los pacientes?

Como se ha desarrollado previamente a lo largo de este libro, los resultados se pueden clasificar en clínicos (supervivencia, recidiva, pruebas diagnósticas), eco-

nómicos (costes, ahorro) y humanísticos (percepción sobre el estado de salud). Los resultados pueden ser observados, si la comunicación la hacen los clínicos o los investigadores, o referidos por el paciente. La FDA definió un PRO (del inglés *patient reported outcome, PRO*) como cualquier informe del estado de salud de un paciente que procede directamente del paciente, sin interpretación de la respuesta por parte de un clínico u otro profesional (U.S. Department of Health and Human Services *et al.*, 2009). En pediatría también es habitual hablar de resultados referidos por los cuidadores más cercanos (en inglés: *proxys*), que actúan poniéndose en lugar del paciente. Su uso debería estar limitado a las situaciones en las que los resultados no se puedan obtener de los pacientes directamente.

Los PRO nos pueden aportar información sobre diferentes aspectos relacionados con la salud (Deshpande *et al.*, 2011):

- Sintomatología: frecuencia y severidad de los síntomas, siendo especialmente interesantes aquellos que no se pueden medir, que son subjetivos o psicológicos.
- Estatus funcional: capacidad para realizar actividades específicas para evaluar el funcionamiento cognitivo o físico y evaluar la gravedad de la discapacidad.
- Estilos de vida y conductas para la salud: por ejemplo, hábitos de vida saludables o adherencia al tratamiento.
- Impacto de la enfermedad en la calidad de vida, calidad de vida relacionada con la salud
- Satisfacción del paciente con los cuidados (por ejemplo, los tratamientos farmacológicos) y la experiencia del paciente.

Otro concepto relacionado es la calidad de vida relacionada con la salud (en inglés *health related quality of life, HRQoL*), que incluye todos aquellos aspectos que tienen impacto sobre la salud de una persona, y formaría parte de un concepto más amplio que es la calidad de vida.

■ 19.4.2. ¿Por qué medir resultados percibidos por los pacientes?

Existe evidencia científica que muestra que las percepciones de los profesionales sanitarios sobre la gravedad de los síntomas que sufre un paciente pediátrico pueden no concordar con lo referido por los propios pacientes. Por ejemplo, el estudio de Hockenberry *et al.* (2003) en pacientes pediátricos oncológicos que estaba recibiendo tratamiento con quimioterapia, mostró una escasa concordancia entre lo comunicado por los pacientes, los padres y los profesionales sanitarios respecto a la gravedad de la fatiga (Hinds *et al.*, 1999). Otro estudio mostró diferencias entre adolescentes y sus padres a la hora de valorar la calidad de vida relacionada con la

salud, de forma que estos últimos valoraban como peor el estado de salud de sus hijos adolescentes que los propios pacientes (Huang *et al.*, 2009). Como clínicos, estos ejemplos nos hacen pensar que, obviando la información comunicada por los propios pacientes, es posible que no estemos respondiendo a sus necesidades. Es por esto que la medición de PRO ocuparía un lugar fundamental en el triple objetivo de los sistemas sanitarios que se había comentado al inicio del capítulo.

■ 19.4.3. ¿Cómo medir resultados percibidos por los pacientes?

La medición de resultados percibidos por el paciente se realiza mediante cuestionarios que incluyen una o varias dimensiones (bienestar psicológico, función física, relaciones sociales, función cognitiva...) y deben cumplir una serie de requisitos psicométricos que permitan garantizar la calidad de la información recogida. Entre estos criterios se incluyen la fiabilidad (la capacidad de medir con precisión un determinado concepto), la validez, la sensibilidad y la capacidad de ser utilizado en condiciones de la vida real.

De forma general, los conceptos que se incluyen en los instrumentos para niños y adolescentes son similares a los que se utilizan en los dirigidos a la población adulta. Sin embargo, los intentos de aplicar estos instrumentos para adultos en la población pediátrica han ofrecido resultados deficientes que ponen de manifiesto la necesidad de adaptarlos. Es cierto que la investigación de resultados en salud en niños y adolescentes plantea algunos retos, pero utilizando instrumentos adecuados, existe evidencia que indica que los niños son capaces de comunicar aspectos concretos sobre su salud desde los siete años y, posiblemente, incluso desde los cinco años (Eiser y Morse, 2001). Sin embargo, no debe obviarse que se han identificado varios factores que pueden tener influencia en la validez de estas respuestas. Entre ellos se encuentra una particularidad de la población pediátrica y es que los niños y los adolescentes presentan diferentes niveles de comprensión y expresión de conceptos abstractos en función de su desarrollo cognitivo. La edad, con variaciones interindividuales, e incluso el género pueden ser factores determinantes en este nivel de desarrollo. El documento de buenas prácticas que elaboró ISPOR en 2013 sobre la medición de PRO en pacientes pediátricos revisa la evidencia disponible en cuatro grupos de edad, si bien reconoce que los puntos de corte son artificiales y que debería hacerse una evaluación individualizada de las capacidades cognitivas del niño y su capacidad para expresar conceptos, más o menos abstractos sobre su estado de salud (Matza *et al.*, 2013):

- Niños menores de cinco años: afirma que no existe evidencia que soporte el uso de la información comunicada por el propio paciente, por lo que deberán utilizarse variables clínicas o las observaciones realizadas por los progenitores o profesionales implicados.

- Niños entre cinco y siete años: existen resultados dispares sobre la medición de PRO en este rango de edad. Aunque los niños de esta edad son capaces de expresar de forma sencilla información sobre el dolor o las náuseas, pueden tener problemas de léxico y comprensión conceptos abstractos más complejos. Existen cuestionarios, tanto generales como específicos, que pretenden cubrir esta población. Por ejemplo, el instrumento *Pediatric Quality of Life Inventory* (PedsQL), que se revisará más adelante, incluye este grupo de edad con buenos resultados en cuanto a validez interna. Sin embargo, otros instrumentos no han mostrado esta robustez a la hora de aplicarse en este rango de edad
- Niños entre ocho y once años: a diferencia del punto anterior, existen trabajos que han demostrado que los niños incluidos en este rango de edad presentan una buena capacidad de comprensión para la mayoría de los conceptos relacionados con la salud, que son similares a los alcanzados en edades más avanzadas. Siempre que se pueda asegurar la correcta comprensión de los conceptos del instrumento elegido, se recomienda la utilización de los datos referidos por los propios pacientes en este rango de edades.
- Adolescentes entre doce y dieciocho años: el reto en este grupo es definir qué información es realmente relevante para esta población. Aunque en algunos aspectos se pueden asemejar a los adultos, algunos estudios han puesto de manifiesto que existen diferencias en la información que deben abarcar los dominios. Dada la heterogeneidad de este rango de edad, se recomienda la utilización de cuestionarios apropiados para los adolescentes evitando la aplicación directa de instrumentos dirigidos a adultos sin realizar una validación previa.

Otro aspecto que puede influir en las propiedades psicométricas de los instrumentos es el formato del cuestionario. Respecto a la forma de administración, se distingue entre cuestionarios autoaplicados y los realizados por un entrevistador. En principio, los preferibles son los primeros, puesto que evitan que el entrevistador pueda introducir sesgos. Los cuestionarios administrados por un entrevistador pueden ser una opción razonable cuando la capacidad de comprensión (discapacidad intelectual, analfabetismo o bajo nivel cultural) o de cumplimentación del cuestionario del sujeto pueda estar comprometida (por ejemplo, discapacidad visual o incapacidad de concentración en niños con trastorno por déficit de atención e hiperactividad). Igualmente, el tiempo necesario para completar el cuestionario también es un factor a tener en cuenta. En este sentido, el nivel de comprensión lectora es un punto clave y debe considerarse en el contexto de la población de estudio. A la hora de diseñar un cuestionario puede ser necesario traducir la jerga médica a conceptos que los niños puedan entender más fácilmente (por ejemplo: la sensación de náuseas podría expresarse como “tener el estómago revuelto” y el dolor abdominal como “dolor de tripa”). Si el cuestionario es autoaplicado deben adaptarse igualmente las instrucciones para completarlo y las respuestas, no solo los enunciados. La mayoría de los cuestionarios utilizan escalas ordinales crecientes

(tipo Likert), escalas con expresiones faciales o, menos frecuentemente, escalas visuales analógicas. Existe consenso sobre la utilidad de las escalas Likert en este tipo de estudios, si bien parece que los niños más pequeños (de cuatro a seis años) tienen tendencia a marcar respuestas más polarizadas, por lo que se recomienda utilizar ilustraciones que sirvan como ayuda. El periodo de tiempo sobre el que se hace la evaluación, un parámetro definido por cada cuestionario, es otro factor a tener en cuenta. Mientras que los niños de ocho años son capaces de recordar datos de forma fiable de hasta cuatro semanas, niños más pequeños pueden tener problemas con periodos superiores a una semana (Matza *et al.*, 2013). Por todos estos motivos, la adecuación del formato de los cuestionarios a la población debe comprobarse antes de la realización de un estudio.

Existen discrepancias sobre la utilización de la información proporcionada por los representantes (progenitores o cuidadores cercanos) frente a la comunicada por los propios pacientes en niños y adolescentes. Esta concordancia puede depender de factores como el dominio que se está estudiando (es mayor para los dominios que implican funcionalidad y menor para los más subjetivos), la edad del niño o la presencia o ausencia de enfermedad. Además, parece razonable pensar que la información procedente de estos cuidadores cercanos estará sesgada por el impacto que les produce a ellos mismos la circunstancia de su hijo (Matza *et al.*, 2013; Janssens *et al.*, 2015). Tanto la EMA como la FDA indican en sus documentos de recomendaciones que los *PRO* deberían recogerse directamente del paciente, siendo conscientes de las dificultades que esto tiene en algunos grupos de edad (U.S. Department of Health and Human Services *et al.*, 2009; Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) y European Medicines Agency (EMA), 2016 y European Medicines Agency, Paediatric Committee, 2016). Como se ha comentado, la calidad de vida relacionada con la salud es multidimensional, y aunque algunas dimensiones son las mismas que en adultos (función física, relaciones sociales, bienestar psicológico etc.), los aspectos concretos que abarcan son diferentes. De la propia definición de calidad de vida relacionada con la salud se desprende que es subjetiva, por lo que debería medirse desde la perspectiva del paciente.

■ 19.4.4. Tipos de instrumentos:

Cuestionarios genéricos: abarcan aspectos variados del estado de salud, por lo que incluyen la mayoría de las dimensiones. Se pueden utilizar tanto en pacientes como en la población general, por lo que permiten realizar comparaciones. Habitualmente son menos sensibles a los cambios en el estado de salud, por lo que pueden no ser los más útiles para evaluar el impacto de una intervención sanitaria. Algunos ejemplos de instrumentos genéricos son KIDSCREEN o PedsQL. Existen repositorios como biblioPRO¹ donde se pueden encontrar cuestionarios tanto genéricos como específicos.

¹ www.bibliopro.org

KIDSCREEN es un instrumento multidimensional desarrollado en trece países europeos para la evaluación del estado de salud y el bienestar subjetivo en niños y adolescentes (de 8 a 18 años) sanos o con enfermedades crónicas. Consta de tres cuestionarios:

- El cuestionario KIDSCREEN-52 abarca 10 dimensiones (bienestar físico, bienestar psicológico, estados de ánimo, autopercepción, autonomía, relación con los padres y vida familiar, recursos económicos, amigos y apoyo social, entorno escolar y aceptación social) en 52 preguntas.
- El cuestionario KIDSCREEN-27 es una versión resumida del anterior, que abarca 5 dimensiones en 27 preguntas, por lo que el tiempo necesario para completarlo es menor.
- El cuestionario KIDSCREEN-10 se deriva a su vez del cuestionario anterior y está formado por 10 preguntas. Su utilidad principal es como herramienta de cribado poblacional.

Entre las ventajas de KIDSCREEN están el ser cuestionarios transculturales, por lo que pueden servir para comparar países diferentes, y que ha demostrado una validez y fiabilidad aceptables. Todos los cuestionarios están disponibles en una versión para los padres y otra para los niños.

El instrumento PedsQL, por el contrario, fue desarrollado en Estados Unidos y se dirige a niños y adolescentes de 5 a 12 años tanto sanos como con patologías agudas y crónicas. El cuestionario genérico (*23-item PedsQL Generic Core Scales*) dispone de dos versiones, una para la autoadministración por los niños (de 5 a 18 años) y otra para los padres (2-18 años). Es multidimensional, abarcando el funcionamiento físico, emocional, social y escolar. También se han desarrollado múltiples módulos específicos de cada patología (artritis, asma, diabetes, cáncer y enfermedades cardíacas) que complementan el cuestionario genérico. Cabe destacar que ha demostrado tener una fiabilidad y validez adecuadas, y se encuentra disponible en multitud de idiomas, entre ellos el castellano.

Los cuestionarios de utilidad son también genéricos, de forma que muestran las preferencias de los pacientes por distintos estados de salud que oscilan entre el 0 (la muerte) y el 1 (el mejor estado de salud). Estos instrumentos se han utilizado para el cálculo del año de vida ajustado por calidad (AVAC). Algunos ejemplos de cuestionarios adaptados para su uso en población pediátrica son el EQ-5D-Y y el Health Utility Index Mark 2 (HUI2).

El cuestionario EQ-5D-Y es una adaptación del instrumento EQ-5D para niños y adolescentes entre ocho y quince años. Consta de una parte descriptiva en la que se analizan cinco dimensiones (movilidad, autocuidado, actividades de la vida cotidiana, dolor, y sentimientos de tristeza, ansiedad o depresión) en una escala de tres niveles (sin problemas, algunos problemas o muchos problemas). La puntuación obtenida se complementa con una escala visual analógica en la que el encuestado

debe valorar su estado de salud entre el peor estado de salud que se pueda imaginar (cero puntos) y el mejor (cien puntos) en el día de realización del cuestionario. También existen versiones del cuestionario para cuidadores cercanos.

El instrumento HUI2 fue desarrollado originalmente para evaluar resultados y secuelas en individuos que hubiesen sufrido enfermedades oncohematológicas en la infancia. Evalúa siete dimensiones (sensaciones, movilidad, emociones, capacidad cognitiva, autocuidado, dolor y fertilidad) con escalas de entre tres y cinco niveles (desde “funcionamiento normal para su edad” a “completamente incapaz”). Se diferencia del EQ-5D-Y en que busca determinar la capacidad para funcionar en estos dominios, en lugar de valorar el desempeño en estas áreas.

Cuestionarios específicos: se centran en aspectos de un problema de salud en particular (por ejemplo: epilepsia) o una intervención sanitaria (por ejemplo: pacientes en tratamiento con quimioterapia). Se utilizan frecuentemente en el contexto de los ensayos clínicos porque permiten demostrar los beneficios de una determinada intervención (son sensibles) y sirven para comparar poblaciones con el mismo problema de salud. Pueden ser instrumentos tanto multidimensionales como unidimensionales. Se han desarrollado multitud de cuestionarios específicos de patologías, algunos de los cuales se encuentran recogidos en la tabla 1.

Tabla 1.

EJEMPLOS DE CUESTIONARIOS ESPECÍFICOS DE PATOLOGÍAS

Nombre cuestionario	Edad (años)	Informantes	Dominios
<i>Alergia:</i>			
Pediatric Allergic Disease Quality of Life Questionnaire (PADQLQ)	6-16	Niños	Actividades, emociones, síntomas.
<i>Asma:</i>			
Childhood Asthma Control Test for children (C-ACT)	4-11	Niños y padres	Control del asma.
	12-18	Niños	
About my Asthma (AMA)	6-12	Niños	Calidad de vida relacionada con la salud.
Childhood Asthma Questionnaires (CAQs)	CAQ-A: 4-7	Niños	A: calidad de vida, angustia.
	CAQ-B: 8-11		B: calidad de vida (actividades), calidad de vida (actividades pasivas), angustia, gravedad de los síntomas.
	CAQ-C: 12-16		C: calidad de vida (actividades), calidad de vida (actividades sociales), angustia, gravedad de los síntomas, reactividad.

Tabla 1. (continuación)

EJEMPLOS DE CUESTIONARIOS ESPECÍFICOS DE PATOLOGÍAS

Nombre cuestionario	Edad (años)	Informantes	Dominios
Asma:			
Pediatric Asthma Quality of Life Questionnaire (PAQLQ)	7-17	Niños	Sintomatología, función emocional, limitaciones en la actividad.
Cáncer:			
Escala de Calidad de Vida para Niños Oncológicos (ECVNO)	6-18	Niños	Aislamiento social, carencias emocionales, sufrimiento emocional, obstáculos para relacionarse.
Pediatric Oncology Quality of Life Scale (POQOLS)	3-18	Padres	Función física y restricciones, angustia, respuesta al tratamiento activo.
Enfermedad inflamatoria intestinal:			
Impact Questionnaire (IMPACT)	9-18	Niños	Función intestinal, imagen corporal, deterioro social/funcional, daño emocional, tratamientos y pruebas, deterioro global.
Epilepsia:			
Impact of Childhood Neurologic Disability Score (ICND)	2-18	Padres	Comportamiento, funciones físicas y neurológicas, funciones, aprendizaje cognitivo, epilepsia.
Obesidad:			
Sizing me up	5-18	Niños	Función física, función emocional, burla y marginación, atributos positivos, rechazo social.
Sizing them up		Padres	Función física, función emocional, burla y marginación, atributos positivos, rechazo social, tiempo de la comida, colegio, adaptación y desarrollo del adolescente.
Impact of weight on quality of life-Kids (IWQOL-Kids)	11-19	Niños	Bienestar físico, autoestima corporal, vida social, relaciones familiares.

Fuentes: Adaptado de Matza *et al.*, (2004) y Solans *et al.*, (2008).

DISABKIDS es un instrumento elaborado en siete países europeos dirigido a niños con enfermedades crónicas. Consta de varios cuestionarios: DISABKIDS-37, DISABKIDS-12 y DISABKIDS-Smilely. El cuestionario DISABKIDS-37 consta de 37 puntos que evalúan seis dimensiones (independencia, emociones, inclusión social, exclusión social, limitaciones físicas y tratamientos). Existen versiones tanto para la aplicación a cuidadores cercanos como para los pacientes. El cuestionario DISABKIDS-12 es una versión abreviada del anterior, evaluando en 12 puntos las seis dimensiones anteriores. Mientras que los cuestionarios anteriores están dirigidos a

niños y adolescentes de ocho a dieciséis años, el cuestionario DISABKIDS-Smiley se puede utilizar en niños de entre cuatro y siete años. Se trata de una versión del cuestionario original adaptada al nivel cognitivo de esta población, en la que las respuestas se ofrecen en forma de caras representando emociones. Por último, este instrumento también consta de cuestionarios específicos para algunas patologías como la artritis reumatoide, el asma, la dermatitis atópica, la parálisis cerebral, la fibrosis quística, la diabetes infantil y la epilepsia.

Finalmente, reseñar que existen cuestionarios desarrollados específicamente para subpoblaciones (por ejemplo: adolescentes) que por su espectro se pueden ser igualmente genéricos o específicos. Este es el caso del instrumento *Youth Quality of Life* (YQoL), que es un cuestionario genérico multidimensional dirigido a adolescentes entre once y dieciocho años sanos o con enfermedades crónicas. Se trata de un cuestionario autoaplicado, del que también se encuentra disponible una versión reducida (YQoL-SF), y que abarca cuatro dominios: relaciones sociales, identidad personal, entorno (“oportunidades y obstáculos”) y calidad de vida global.

■ 19.4.5. ¿Cómo elegir el instrumento adecuado?

En las últimas décadas se ha producido un crecimiento exponencial del número de instrumentos para la medida de calidad de vida relacionada con la salud en niños y adolescentes, especialmente de cuestionarios específicos, lo que dificulta su elección. Hay varios puntos que deben tenerse en cuenta.

En primer lugar, la selección del instrumento debe hacerse teniendo en cuenta el objetivo del estudio y la población elegida. Como ya se ha comentado, los cuestionarios específicos son más sensibles que los genéricos, por lo que son los preferidos a la hora de evaluar los cambios ocurridos en el estado de salud o el impacto de las intervenciones sanitarias. En la práctica, es habitual que en un mismo estudio se utilicen tanto cuestionarios genéricos como específicos de la patología con el objetivo disponer de información complementaria. La realización de estudios multicéntricos internacionales plantea el reto de la adaptación de los cuestionarios a los distintos idiomas y culturas, que como ya se ha comentado es un aspecto importante en la validez de los resultados. La mejor opción en estos casos es utilizar cuestionarios que hayan sido desarrollados a la vez en varios países. Como se ha comentado, deberá priorizarse la recogida de datos comunicados por los propios pacientes frente a los comunicados por los cuidadores siempre que sea posible. Muchos instrumentos tienen cuestionarios dirigidos tanto a cuidadores como pacientes. La recogida de ambos tipos de cuestionarios podría aportar información complementaria.

En segundo lugar, los cuestionarios deberían elegirse teniendo en cuenta las dimensiones que abarcan y que estas tengan relación con el objetivo del estudio. No hay que perder la perspectiva de lo que se está evaluando, principalmente por-

que los instrumentos habitualmente incluyen aspectos subjetivos (salud percibida) y objetivos (capacidad funcional) que no deben intercambiarse. Un ejemplo de esto es la llamada “paradoja del discapacitado”, que han puesto de manifiesto diversos estudios que muestran cómo individuos con una capacidad funcional muy disminuida por enfermedades crónicas refieren un nivel alto de calidad de vida (Rosenbaum *et al.*, 2007). Muchos de los aspectos de la población que condicionan la elección del instrumento ya han sido comentados anteriormente, y entre los que se encuentran su comprensión lingüística, desarrollo cognitivo y discapacidades. No debe olvidarse el importante impacto que tiene el contexto social, económico y cultural en el que se desarrollan las medidas, y que tienen influencia sobre la participación o las propias respuestas.

Finalmente es necesario tener en cuenta las características psicométricas del instrumento. La mayoría de ellos aportan información sobre validez y consistencia interna. Sin embargo, la existencia de evidencia publicada sobre la sensibilidad o la correlación test-retest de los cuestionarios es menos frecuente (Solans *et al.*, 2008).

■ 19.4.6. *Patient-reported outcomes measurement information system (PROMIS)*

Es una iniciativa desarrollada por los National Institutes of Health (NIH) norteamericanos que tiene como objetivo proporcionar una base de datos con preguntas (*ítems*) sobre PRO en diferentes dominios dirigidas a pacientes crónicos adultos, adolescentes y niños. Esta base de datos, accesible de forma gratuita², contiene medidas destinadas a niños entre ocho y diecisiete años, y también para niños desde cinco años en adelante para ser contestadas por cuidadores cercanos. Inicialmente ofrecía cuestiones genéricas que evaluaban el bienestar físico, mental y social, que podían ser utilizados para la realización de medidas que abarcaban varios dominios y subdominios (fatiga, movilidad, intensidad del dolor, ansiedad, relaciones sociales...) y que permitían su uso en diferentes patologías al mismo tiempo. Esta base de datos se puede utilizar para como escalas o test breves (si solo se utilizan cuestiones pertenecientes a un único dominio), para la realización de perfiles de salud (si se incorporan combinaciones de cuestiones procedentes de diferentes dominios en un mismo instrumento) o como banco de preguntas para elaborar un test adaptativo informatizado (*computer adaptive test, CAT*). Para la población pediátrica existen tres instrumentos de perfiles de salud, PROMIS-25, PROMIS-37 y PROMIS-49, que se diferencian en el número de preguntas de cada dominio que incluyen. También existen los perfiles globales de salud PROMIS centrados en la función física y cognitiva que constan de siete o nueve preguntas únicamente. Los tests adaptativos informatizados utilizan un banco de cuestiones de la librería PROMIS para construir una prueba personalizada, de forma que cada pregunta se selecciona en base a lo respondido anteriormente por el encuestado según un algoritmo, de forma que se alcanzan altos grados de fiabilidad y eficiencia.

² www.healthmeasures.net

■ 19.4.7. Experiencias midiendo resultados percibidos por el paciente en la práctica clínica diaria

Experiencia KLIK ePROfile: se trata de un proyecto llevado a cabo en cuatro hospitales pediátricos de Ámsterdam en el que participaron niños y adolescentes con artritis juvenil idiopática. Los pacientes (8-18 años) o sus padres (0-7 años) recibían un enlace a la página web KLIK³ donde podían completar un cuestionario electrónico de recogida de PRO. Los instrumentos utilizados fueron TAPQOL (niños entre 0-5 años) y PedsQL (resto de edades). Los clínicos podían utilizar estas respuestas en la consulta para hacer un seguimiento de los resultados. La implantación de la medición de PRO en estos pacientes pediátricos mejoró la comunicación entre los profesionales, los niños y sus padres (Haverman *et al.*, 2013).

Experiencia en el Cincinnati Children's Hospital Medical Center: desde 2011 este hospital pediátrico tiene un programa institucional de medición de PRO como parte de la actividad clínica. La recogida de resultados tiene lugar en las consultas, de forma que los pacientes pueden rellenar los cuestionarios en los dispositivos electrónicos disponibles. Tanto los instrumentos (genéricos o específicos de una patología) como la frecuencia se han consensuado con el equipo clínico, de forma que los pacientes son notificados de la necesidad de rellenar los cuestionarios cuando acuden a la consulta. Los resultados se integran en la historia clínica electrónica, por lo que están disponibles para que el profesional sanitario y el paciente puedan discutir sobre ellos (Gerhardt *et al.*, 2018).

■ 19.4.8. Resultados percibidos por el paciente en el contexto de los ensayos clínicos

Si bien es cierto que las decisiones regulatorias y de financiación de los medicamentos en el pasado se han tomado teniendo como referencia los resultados de eficacia y seguridad demostrados en los ensayos clínicos, la tendencia actual es a incorporar otras medidas para la toma de estas decisiones. En este contexto surge el interés por demostrar el valor de los medicamentos, especialmente en los innovadores, de forma que se perciban como una inversión y no como un gasto. La FDA presentó en 2009 una guía con recomendaciones para la utilización de resultados en salud referidos por los pacientes en los procesos de desarrollo y autorización de los medicamentos, que incluye un apartado específico para niños y adolescentes (U.S. Department of Health and Human Services *et al.*, 2009). Igualmente, la EMA ha elaborado una guía que ofrece recomendaciones sobre la utilización de PRO en el desarrollo de fármacos oncológicos (Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) y European Medicines Agency (EMA), 2016; European Medicines Agency y Paediatric Committee, 2016).

Los beneficios para la industria farmacéutica de incluir resultados en salud durante el proceso de desarrollo del medicamento son claros: poner en valor el

³ www.hetklikt.nu

producto y favorecer su acceso al mercado en un contexto de reducción de costes y disponibilidad de alternativas. Sin embargo, la adopción de estas estrategias en los ensayos clínicos pediátrica es lenta. Para los profesionales sanitarios, gestores e incluso para los propios pacientes supone avanzar en el conocimiento del impacto de las intervenciones sanitarias en la calidad de vida de los pacientes pediátricos, es decir, determinar la relación las variables subrogadas (por ejemplo, parámetros analíticos) y su significancia clínica (impacto en la calidad de vida del paciente).

■ 19.5. LOS RESULTADOS PERCIBIDOS POR LOS PACIENTES Y LA CALIDAD EN PEDIATRÍA

Este capítulo finaliza recordando nuevamente al cirujano Ernest Codman que, después de graduarse en Harvard y ejercer como cirujano durante varias décadas, fundó el Comité para la Estandarización Hospitalaria asociado al Colegio Americano de Cirujanos en 1910. El objetivo de este comité era recoger y estudiar resultados en salud de centros hospitalarios y evaluar cómo se podían mejorar.

Desde entonces, los clínicos nos hemos ido familiarizando con los indicadores de calidad centrados en los procesos o en la actividad (reingresos, mortalidad, porcentaje de niños vacunados), que responden a la visión de estas organizaciones tan complejas que son los sistemas sanitarios. Sin embargo, nuestro compromiso debe ser con la mejora de la vida de los pacientes. Esto significa que deberíamos conocer el impacto de nuestras intervenciones sobre, por ejemplo, el dolor, la función física o el desarrollo social del niño. En el momento actual, y teniendo presente el triple objetivo de los sistemas sanitarios, numerosas instituciones han reconocido la necesidad de incorporar los resultados referidos por los pacientes a los procesos de mejora continua. Esta información podría servir para ofrecer una información más transparente a los pacientes, de forma que puedan efectuar decisiones sobre su salud de una forma más fundamentada. Por otro lado, estos datos serían una fuente de información de gran utilidad para los clínicos que permitiría reducir la variabilidad clínica no justificada. Finalmente, estas medidas podrían ser utilizadas por los gestores como herramienta para planificar y asignar los recursos del sistema sanitario eficientemente.

La recogida de resultados referidos por los pacientes es un proceso laborioso y existen pocas experiencias de recogida rutinaria y sistemática de *PRO*. El National Health Service inglés (NHS), a través de su iniciativa NHS *PROM* Programme, promueve la recogida de mediciones de resultados referidos por los pacientes en artroplastia de rodilla y cadera desde 2009, con el objetivo de determinar el impacto de estas intervenciones sanitarias incluyendo la perspectiva de los propios pacientes. Igualmente están trabajando en recoger de forma sistemática resultados referidos en enfermedades crónicas como la EPOC. Algunos ejemplos de experiencias en la recogida de *PRO* sistemática son los registros nacionales suecos de calidad en reumatología y nefrología pediátricas (Nilsson, Orwelius y Kristenson, 2016). En el caso

norteamericano, existe la Children's Health Insurance Program Reauthorization Act (abreviada como CHIPRA), que desde 2009 promovió la elaboración por parte del Department of Health and Human Services de indicadores de calidad de la asistencia sanitaria a niños y adolescentes. A pesar de que esta ley requería que estos indicadores abarcaran los distintos ámbitos de la calidad asistencial, la versión de 2018 incluye veintiséis indicadores de los que veinticinco son indicadores de actividad o cobertura sanitaria (por ejemplo: porcentaje de niños inmunizados o visitas a urgencias) y solo uno recoge la experiencia del paciente. En España, comunidades autónomas como la de Madrid o Cataluña disponen de observatorios de resultados en salud. Sin embargo, incluyen pocos indicadores específicos para la población pediátrica (porcentaje de niños inmunizados o satisfacción con el pediatra asignado).

Algunas de las barreras para la incorporación de este tipo de medidas al ámbito de la gestión sanitaria y los programas de mejora de la calidad ya se han expuesto en este capítulo: dudas sobre la calidad de la información recogida en la población pediátrica, abundancia de instrumentos o el coste de realizar estas medidas. Otras limitaciones que se han descrito son:

- Privacidad y uso de los datos recogidos: por un lado, la recogida y uso posterior de los datos debería cumplir tanto lo recogido en la Ley Orgánica de Protección de Datos y la Ley 41/2002 de Autonomía del Paciente. Respecto al uso de la información referida por los pacientes, no puede limitarse al cálculo de indicadores. En nuestra opinión, no sería éticamente admisible recoger toda esta información y no incorporarla al proceso clínico para ofrecer al paciente una mejor atención sanitaria.
- Falta de consenso sobre la estandarización de estas medidas de resultados: por el momento siguen existiendo discrepancias sobre la terminología en resultados en salud, las metodologías más adecuadas para la obtención de datos y su interpretación para obtener conclusiones significativas (Shaller, 2004).

Esta falta de consenso es el punto de partida del International Consortium for Health Outcomes Measurement (ICHOM), una organización que trabaja en la elaboración de conjuntos estandarizados de medidas de resultados en salud enfocados en las patologías responsables de la mayor carga de la enfermedad. Según su visión, la utilización de indicadores basados en resultados referidos por los pacientes permitiría identificar buenas prácticas y disminuir la variabilidad clínica, de forma que se ofrezca una atención sanitaria en el valor. En la preparación de estos estándares de medidas se tienen en cuenta las perspectivas de los gestores sanitarios, de los clínicos y de los pacientes para seleccionar los resultados que son más relevantes. En el ámbito pediátrico, actualmente están disponibles dos conjuntos de medidas de resultados para patologías congénitas como son la queilosquisis (labio leporino) y el paladar hendido, y la microsomía hemifacial, de los que ya existen algunas experiencias de implantación y uso (Bittar *et al.*, 2018). También existe un

set de medidas dirigido a las mujeres que comprende el proceso del embarazo y el parto. Incluye tanto medidas de mortalidad y morbilidad materno-infantiles, como de satisfacción de la madre con la experiencia del parto y los cuidados recibidos, lactancia o depresión posparto. Todos estos conjuntos de medidas se encuentran disponibles en la web del ICHOM⁴.

La recogida de PRO integrada en la asistencia sanitaria es un proceso laborioso que precisa del compromiso de los profesionales sanitarios y de las organizaciones con la calidad. Se han identificado numerosas barreras, entre las que se pueden destacar la falta de integración de las medidas de PRO en los sistemas de historia clínica, la carga de trabajo de los profesionales sanitarios y la falta de estímulos económicos a la hora de implantar estas mejoras. Sin embargo, existe evidencia de que la recogida rutinaria de este tipo de medidas mejora el control de los síntomas, la calidad de la atención sanitaria y la comunicación entre los profesionales sanitarios y el paciente (Chen, Ou y Hollis, 2013; Valderas *et al.*, 2008).

■ 19.6. CONCLUSIONES

- La investigación de resultados en salud en la población pediátrica busca conocer el impacto de las intervenciones sanitarias en condiciones de práctica clínica en niños y adolescentes. Los resultados pueden tener carácter clínico, económico o humanístico.
- Las percepciones de los profesionales sanitarios sobre la gravedad de los síntomas, el funcionamiento físico o cognitivo de los pacientes, o el impacto de una enfermedad en la calidad de vida son diferentes a las que tienen los propios pacientes.
- Los resultados percibidos por los pacientes pediátricos se pueden medir con cuestionarios validados y con formatos adecuados a los diferentes niveles de comprensión y expresión que tienen los niños y adolescentes.
- Aunque existen experiencias de medición de resultados en salud percibidos por los pacientes en condiciones de práctica clínica, existen algunas barreras para su implantación generalizada.
- La investigación de resultados en salud es una fuente de información muy valiosa para llevar a cabo la transformación que precisa el sistema sanitario, involucrando aún más a los pacientes en las decisiones sobre su salud y ofreciendo servicios orientados a una atención sanitaria basada en el valor.

■ REFERENCIAS

BITTAR, P. G., CARLSON, A. R., MABIE-DE RUYTER, A., MARCUS, J. R. y ALLORI, A. C. (2018). Implementation of a standardized data-collection system for comprehensive appraisal of cleft care. *Cleft Palate Craniofacial Journal*, 55(10), pp. 1382-1390.

⁴ www.ichom.org

- BOURGEAIS, F. T., MURTHY, S., PINTO, C., OLSON, K. L., IOANNIDIS, J. L. y MANDL, K. D. (2012). Pediatric versus adult drug trials for conditions with high pediatric disease burden. *Pediatrics*, 130(2), pp. 285–292.
- CHEN, J., OU, L. y HOLLIS, S. J. (2013). A systematic review of the impact of routine collection of patient reported outcome measures on patients, providers and health organisations in an oncologic setting. *BMC Health Services Research*, 13, p. 211.
- COMMITTEE FOR MEDICINAL PRODUCTS FOR HUMAN USE (CHMP) y EUROPEAN MEDICINES AGENCY (EMA) (2016). Appendix 2 to the guideline on the evaluation of anticancer medicinal products in man. Disponible en: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2016/04/WC500205159.pdf
- DESHPANDE, P. R., RAJAN, S., SUDEEPTHI, B. L. y ABDUL NAZIR, C. P. (2011). Patient-reported outcomes: A new era in clinical research. *Perspectives in Clinical Research*, 2(4), pp. 137–144.
- EISER, C. y MORSE, R. (2001). Quality-of-life measures in chronic diseases of childhood. *Health Technology Assessment*, 5(4), pp. 1–157.
- EUROPEAN MEDICINES AGENCY y PAEDIATRIC COMMITTEE (2016). 10-year Report to the European Commission. General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation. Descargado de https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/paediatrics/2016_pc_report_2017/ema_10_year_report_for_consultation.pdf.
- FORREST, C. B. (2004). Outcomes research on children, adolescents, and their families: directions for future inquiry. *Medical Care*, 42(4 Suppl), pp. III19-III23.
- FORREST, C. B., SIMPSON, L. y CLANCY, C. (1997). Child health services research. Challenges and opportunities. *Journal of the American Medical Association*, 277(22), pp. 1787–1793.
- GERHARDT, W. E., MARA, C. A., KUDEL, I., MORGAN, E. M., SCHOETTKER, P. J., NAPORA, J., BRITTO, M. T. y ALESSANDRINI, E. A. (2018). Systemwide Implementation of Patient-Reported Outcomes in Routine Clinical Care at a Children's Hospital. *Joint Commission Journal of Quality and Patient Safety*, 44(8), pp. 441-451.
- HAVERMAN, L., VAN ROSSUM, M. A. J., VAN VEENENDAAL, M., VAN DEN BERG, J. M., DOLMAN, K. M., SWART, J., KUIJPERS, T. W. y GROOTENHUIS, M. A. (2013). Effectiveness of a web-based application to monitor health-related quality of life. *Pediatrics*, 131(2), pp. e533-543.
- HINDS, P. S., HOCKENBERRY-EATON, M., GILGER, E., KLINE, N., BURLESON, C., BOTTOMLEY, S. y QUARGNENTI, A. (1999). Comparing patient, parent, and staff descriptions of fatigue in pediatric oncology patients. *Cancer Nursing*, 22(4), pp. 277-288.
- HOCKENBERRY, M. J., HINDS, P. S., BARRERA, P., BRYANT, R., ADAMS-MCNEILL, J., HOOKE, C., RASCO-BAGGOTT, C., PATTERSON-KELLY, K., GATTUSO, J. S. y MANTEUFFEL, B. (2003). Three instruments to assess fatigue in children with cancer: the child, parent and staff perspectives. *Journal of Pain and Symptom Management*, 25(4), pp. 319-328.
- HUANG, I. C., SHENKMAN, E. A., LEITE, W., KNAPP, C. A., THOMPSON, L. A. y REVICKI, D. A. (2009). Agreement was not found in adolescents' quality of life rated by parents and adolescents. *Journal of Clinical Epidemiology*, 1;62(3), pp. 337–346.
- JANSENSSENS, A., ROGERS, M., THOMPSON COON, J., ALLEN, K., GREEN, C., JENKINSON, C., TENNANT, A., LOGAN, S. y MORRIS, C. (2015). A systematic review of generic multidimensional patient-reported outcome measures for children, part II: evaluation of psychometric performance of English-language versions in a general population. *Value in Health*, 18(2), pp. 334–345.
- KAPLAN, S. H., GREENFIELD, S., CONNOLLY, G. A., BARLOW, S. E. y GRAND, R. (2001). Methodologic issues in the conduct and interpretation of pediatric effectiveness research. *Ambulatory Pediatrics*, 1(1), pp. 63–70.
- KNOWLES, R. L., GRIEBSCHE, I., BULL, C., BROWN, J., WREN, C. y DEZATEUX, C. (2007). Quality of life and congenital heart defects: comparing parent and professional values. *Archives of Disease in Childhood*, 92(5), pp. 388–393.

- KRAMER, M. S., MACLELLAN, A., CIAMPI, A., ETEZADI-AMOLI, J. y LEDUC, D. G. (1990). Parents'vs physicians' utilities (values) for clinical outcomes in potentially bacteriemic children. *Journal of Clinical Epidemiology*, 43(12), pp. 1319–1325.
- MATZA, L. S., PATRICK, D. L., RILEY, A. W., ALEXANDER, J. J., RAJMIL, L., PLEIL, A. M. y BULLINGER, M. (2013). Pediatric patient-reported outcome instruments for research to support medical product labeling: report of the ISPOR PRO good research practices for the assessment of children and adolescents task force. *Value in Health*, 16(4), pp. 461–479.
- MATZA, L. S., SWENSEN, A. R., FLOOD, E. M., SECNIK, K. y LEIDY, N. K. (2004). Assessment of health-related quality of life in children: a review of conceptual, methodological, and regulatory issues. *Value in Health*, 7(1), pp. 79–92.
- MOYER, V. A. y BUTLER, M. (2004). Gaps in the evidence for well-child care: a challenge to our profession. *Pediatrics*, 114(6), pp. 1511–1521.
- NILSSON, E., ORWELIUS, L. y KRISTENSON, M. (2016). Patient-reported outcomes in the Swedish National Quality Registers. *Journal of Intern Medicine*, 279(2), pp. 141–153.
- ROSENBAUM, P. L., LIVINGSTON, M. H., PALISANO, R. J., GALUPPI, B. E. y RUSSELL, D. J. (2007). Quality of life and health-related quality of life of adolescents with cerebral palsy. *Developmental Medicine and Child Neurology*, 49(7), pp. 516–521.
- SCHÜNEMANN, H. J., FRETHEIM, A. y OXMAN, A. D. (2006). Improving the use of research evidence in guideline development: 10. Integrating values and consumer involvement. *Health Research Policy and Systems*, 4, p. 22.
- SHAH, S. S., HALL, M., GOODMAN, D. M., FEUER, P., SHARMA, V., FARGASON, C., HYMAN, D., JENKINS, K., WHITE, M. L., LEVY, F. H., LEVIN, J. E., BERTOCH, D. y SLONIM, A. D. (2007). Off-label drug use in hospitalized children. *Archives of Pediatrics and Adolescent Medicine*, 161(3), pp. 282–290.
- SHALLER, D. (2004). Implementing and using quality measures for children's health care: perspectives on the state of the practice. *Pediatrics*, 113(1 Pt 2), pp. 217–227.
- SOLANS, M., PANE, S., ESTRADA, M. D., SERRA-SUTTON, V., BERRA, S., HERDMAN, M., ALONSO, J. y RAJMIL, L. (2008). Health-related quality of life measurement in children and adolescents: a systematic review of generic and disease-specific instruments. *Value in Health*, 11(4), pp. 742–764.
- SUNG, L. y REGIER, D. A. (2013). Decision making in pediatric oncology: evaluation and incorporation of patient and parent preferences. *Pediatric Blood Cancer*, 60(4), pp. 558–563.
- TOMLINSON, D., BARTELS, U., GAMMON, J., HINDS, P. S., VOLPE, J., BOUFFET, E., REGIER, D. A., BARUCHEL, S., GREENBERG, M., BARRERA, M., LLEWELLYN-THOMAS, H. y SUNG, L. (2011). Chemotherapy versus supportive care alone in pediatric palliative care for cancer: comparing the preferences of parents and health care professionals. *Canadian Medical Association Journal*, 183(17), pp. E1252-1258.
- UNGAR, W. J. (2007). Paediatric health economic evaluations: a world view. *Healthcare Quality*, 10(1), pp. 134–146.
- U.S. DEPARTMENT OF HEALTH AND HUMAN SERVICES, FOOD AND DRUG ADMINISTRATION, CENTER FOR DRUG EVALUATION AND RESEARCH (CDER), CENTER FOR BIOLOGICS EVALUATION AND RESEARCH (CBER) y CENTER FOR DEVICES AND RADIOLOGICAL HEALTH (CDRH) (2009). *Guidance for Industry Patient-Reported Outcome Measures: Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims*. Recuperado de: <https://www.fda.gov/downloads/drugs/guidances/UCM193282.pdf>
- VALDERAS, J. M., KOTZEVA, A., ESPALLARGUES, M., GUYATT, G., FERRANS, C. E., HALYARD, M. Y., REVICKI, D.A., SYMONDS, T., PARADA, A. y ALONSO, J. (2008). The impact of measuring patient-reported outcomes in clinical practice: a systematic review of the literature. *Quality of Life Research*, 17(2), pp. 179–193.