UNIWERSYTET MEDYCZNY IM. KAROLA MARCINKOWSKIEGO W POZNANIU

KATEDRA I ZAKŁAD FARMAKOEKONOMIKI I FARMACJI SPOŁECZNEJ

ul. Rokietnicka 7
60-806 Poznań

tel. 61 845 26 83
fax 61 845 26 81
e-mail: farmakoekonomika@ump.edu.pl

Poznań 14.04.2022

Ocena

rozprawy doktorskiej w formie opublikowanego cyklu prac
Pani mgr inż. Katarzyny Młyńczak
realizowana w Katedrze i Zakładzie Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej
Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego w Warszawie
w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu
w dyscyplinie nauki o zdrowiu
pt. **„Właściwości psychometryczne kwestionariuszy generycznych do oceny jakości życia związanej ze zdrowiem".**

Promotor pracy: dr hab. n. med. Dominik Golicki

Koniec XX i początek XXI wieku to oprócz niezaprzeczalnych postępów terapeutycznych w obszarze medycyny, również czas kiedy coraz dokładniej zaczęto przyglądać się szeroko pojętym standardom leczenia, które uzyskujemy w wyniku nie tylko ewaluacjami poszczególnych procedur medycznych, ale również (a może nawet w znaczącym odsetku) ocenianych za pomocą specjalnie do tego celu przeznaczonych kwestionariuszy. Sytuacja taka jest bezpośrednio związana ze wzrostem zainteresowania oceną jakości życia związanej bezpośrednio z „jakością" zdrowia pacjentów. To ostatnie – czyli sama jakość życia jest cechą bardzo trudną do jednoznacznej oceny przede wszystkim z powodu znaczących trudności pomiarowych (brak bezpośredniej – jednoznacznej i powtarzalnej metody oznaczeń).

Dlatego do pośredniej formy tego rodzaju badań wykorzystuje się kwestionariusze specyficzne dla danej jednostki chorobowej, ale dużo częściej i szerzej używamy kwestionariuszy ogólnych (generycznych) oceniających wyniki w kilku obszarach m.in. społecznych, fizycznych i psychicznych (nie zawsze równocześnie i w podobnym zakresie).

W tym momencie warto wspomnieć, iż kwestionariusze tego typu są projektowane zasadniczo do wykorzystania przede wszystkim w zdefiniowanych grupach (populacjach) docelowych, co nie zawsze jest tożsame z jednostką chorobową. Dlatego muszą one być poddane tzw. walidacji (najczęściej na kilku poziomach), co pozwala na ocenę ich przydatności / rzetelności wyników w określonej sytuacji medycznej w odniesieniu do konkretnej populacji. Podlega to oczywiście ocenie zgodnie z wymogami COSMIN przynajmniej (najczęściej) 3 obszarów: trafności (validity), rzetelności (reliability) i ich czułości (sensitivity).

Wspomniane 3 obszary w rzeczywistości są dość szerokie, gdyż tak naprawdę dotyczą m.in, stosunku wyniku leczenia pacjenta do poniesionych kosztów (tzw. wartość) – zgodnie z value-based healthcare (VHBC), czyli koncepcji systemu ochrony zdrowia opartej na wartości. Z drugiej strony obszar wyników zdrowotnych raportowanych przez pacjenta (Patients Reported Outcomes Measures – PROM) wraz z obecnym od lat standardem oceny

jakości życia w odniesieniu do zdrowia (HRQoL), gdzie właśnie zastosowanie kwestionariuszy jest podstawą rzetelnych i powtarzalnych wyników badań (tzw. wiarygodność kwestionariusza – walidacja). W tym momencie należy zaznaczyć, iż tylko odpowiednio „zwalidowany" (wiarygodny) kwestionariusz może być podstawą wiarygodnych badań konkretnej sytuacji medycznej (klinicznej). Dlatego wspomniana wcześniej „trafność" wskazuje właśnie na prawidłowość (możliwość) wykorzystania tego narzędzia w ocenie. W drugim kroku „rzetelność" wykorzystanego testu (kwestionariusza) wskazuje na powtarzalność i zgodność poszczególnych ocen wykonywanych przez niezależne ośrodki stosujące to samo narzędzie (tzw. rzetelność testu-retestu). I ostania równie istotna rzecz – „czułość" – czyli tzw. zdolność pomiarowa różnic, tak istotna we wszystkich badaniach, nie tylko przy użyciu kwestionariuszy. W tym przypadku najczęściej mamy do czynienia z oceną efektu sufit/podłoga (ceiling/floor effect), czyli oceny górnego i dolnego pułapu czułości, często wspieranej (z różnym powodzeniem) przez tzw. informatywność (informativity power).

Do najczęściej stosowanych kwestionariuszy generycznych tego typu w Polsce zaliczamy EQ-5D i SF-12 (SF-12v2) oraz pełny SF-36. Ich zastosowanie oraz struktura jest ogólnie znana w środowisku wykorzystującym tego typu narzędzia w naszym kraju. Została ona również dość dokładnie opisana w przedstawionych do oceny pracach jak również w opracowaniu doktorskim (m.in. właściwości psychometryczne).

Autorka w celu rozprawy doktorskiej podjęła się analizy właściwości psychometrycznych kwestionariusza EQ-5D oraz analizy właściwości kwestionariusza SF-12 – w populacji polskiej. Dodatkowo Doktorantka postawiła sobie za cel analizę **psychometryczną kwestionariusza EQ-5D w obszarze cukrzycy (cel poboczny – dodatkowy).**

Biorąc powyższe pod uwagę stwierdzam, że zagadnienia, które porusza w swojej pracy Doktorantka Pani mgr inż. Katarzyna Młyńczak są bardzo istotne – szczególnie w aspekcie pewnej grupy badań farmakoekonomicznych i efektywności klinicznej w aspekcie badań ankietowych z użyciem walidowanych generycznych narzędzi badawczych.

Przedstawiona do oceny praca stanowi zbiór 3 prac opublikowanych tylko w roku 2021 o łącznym Impact Factor IF=9,550 (na rok 2020) i 270 pkt. MNiSW (na datę sprawdzalności 9 luty 2021 roku). Prace te zostały wcześniej zrecenzowane i uznane naukowo (w 3 różnych czasopismach). Dotyczyły one badań na populacji 3978 respondentów z Polski – ocena kwestionariusza EQ-5D-5L (praca nr 1), 3896 pacjentów na terenie RP – ocena kwestionariusza SF-12v2 (praca nr 2) oraz pracy dotyczącej cukrzycy z wykorzystaniem (oceną) kwestionariusza EQ-5D-5L - 2974 respondentów na terenie kraju (praca nr 3), co daje łączną sumę populacji badanej powyżej 10.000 (10.848 osób).

Na bibliografię pracy (w ramach jej opisu) składają się 62 pozycje piśmiennictwa, w tym również pozycje internetowe z podanym czasem dostępu. Odnośniki literaturowe pojawiają się w pracy zgodnie z tekstem opisu rozprawy.

Liczba pozycji w poszczególnych publikacjach: publikacja 1 – 86 pozycji; publikacja 2 – 51; pozycja 3 – 44 pozycje, co daje łącznie liczbę 181 pozycji.

We wstępie opisu dzieła, Doktorantka przedstawiał w skróconej formie zasady oceny jakości życia i pomiarów wyników zdrowotnych standaryzowanych dokonywanych przy życiu kwestionariuszy generycznych na terenie RP.

W wstępie niniejszego opracowania Doktorantka zwróciła uwagę zarówno na koncepcje oceny systemu ochrony zdrowia w oparciu o wartość, jak i wyników zdrowotnych powiązanych

m.in. z jakością życia pacjentów (element bardzo subiektywny w ocenie pacjentów), przechodząc płynnie przez aspekty standaryzacji i walidacji używanych obecnie najczęściej kwestionariuszy badawczych, wskazując na ich wiarygodność oraz właściwości psychometryczne, na których się przede wszystkim skupiła. Doktorantka uwzględniła również spójność wewnętrzną, jak i ich rzetelność z powtarzalnością w populacji polskiej. Na 3 stronach opracowania Autorka dokonała porównania najważniejszych informacji dotyczących ocenianych kwestionariuszy: a) EQ-5D (wersja 3L i 5L), b) SF-12 - z uwzględnieniem przede wszystkim aspektów psychometrycznych tych arkuszy.

W części nazwanej celem pracy doktorskiej wyjaśniono podstawowe założenia ocenianej dysertacji zgodne z opisem powyżej.

Następnie Autorka przedstawia streszczenia polskojęzyczne opublikowanych prac (5 stron) oraz **Dyskusję, podsumowanie i wnioski** w jednym rozdziale (6 stron). W tej części pracy Autorka bardzo rzetelnie i na tyle szczegółowo na ile pozwoliły ramy opracowania (doskonale uzupełnione załączonymi pracami oryginalnymi) dyskutuje swoje osiągniecie naukowe z innymi pracami.

Wskazuje tutaj przede wszystkim na ograniczenia badań dotyczące analizy rzetelności oraz responsywności podchodząc równie krytycznie do swoich badań jak i badań innych autorów.

W rzeczywistości jest to jednak forma przedstawienia skrótu dyskusji z poszczególnych prac niż dyskusja całościowa z uwzględnieniem tychże prac (z czego to wynika?).

W podsumowaniu końcowym Autorka ujęła aż 6 bardzo rozbudowanych punktów wynikowych, które są rzeczywiście dobrym podsumowaniem (szczególnie po wnikliwym wczytaniu się z treści prac oryginalnych), jednak jako forma końcowa (zdaniem Recenzenta) zbyt obszernych.

Recenzent niestety nie odnalazł wniosków (końcowych), czego można się było spodziewać po tytule na stronie 25.

W tym miejscu chciałbym podkreślić, iż przeprowadzone badania mają – w opinii Recenzenta – charakter innowacyjny zarówno w formie zebrania danych w postaci logicznie uporządkowanego opracowania, jak podjętej tematyki – generycznych kwestionariuszy – aspekt psychometryczny - bardzo potrzebnej (nie zawsze poprawnie rozumianej), aktualnej i mam nadzieję pożytecznej (wykorzystanej) dalej dla rozwijania efektywnego leczenia pacjentów.

Z obowiązku Recenzenta chciałbym zwrócić uwagę na zauważone podczas czytania ocenianej dysertacji pewne nieścisłości (poza wspomnianymi wcześniej uwagami do dyskusji podczas obrony):

1. Recenzenta ciekawi powód różnicy w ilości piśmiennictwa pomiędzy złożonymi do oceny w postaci dysertacji prac, a ilością publikacji użytych w opisie niniejszego dzieła (62 vs. 181) – różnica 3-krotna?
2. Wnioski końcowe – podsumowujące praktycznie nie zostały umieszczone w pracy – można je jedynie „wyłuskać" z wniosków końcowych prac (Conclusions), ale te są na taka formę za obszerne.
3. Brakuje w opisie wyników najważniejszych rycin, czy też tabel ułatwiających czytanie opracowania – jest to oczywiście tylko sugestia, ale wydaje się istotna dla przejrzystości całości dysertacji.
4. Recenzentowi w polskiej wersji opracowania zabrakło danych dotyczących opracowań statystycznych, które oczywiście są w wersjach prac oryginalnych.

5. Drobne błędy edytorskie omówienia pracy doktorskiej w żaden sposób nie wpływają na jej wartość merytoryczną.

Niezależnie od wskazanych powyżej pewnych sugestii i zapytań Recenzenta, samą dysertację oceniam wysoko. Pragnę podkreślić, iż przedstawiona do oceny dysertacja w formie zwartych publikacji monografii wykazuje moim zdaniem niezaprzeczalną wartość poznawczą przedstawionego zagadnienia potencjalnych i praktycznych właściwości psychometrycznych kwestionariuszy generycznych w aspekcie jakości życia pacjentów w odniesieniu do efektów zdrowotnych.

Na podstawie przedstawionych powyżej dowodów oceniana praca spełnia warunki stawiane rozprawom w art. 13 jeszcze ustawie z 14 marca 2003 o stopniach naukowych i tytule naukowym oraz o stopniach i tytule w zakresie sztuki [Dz.U.2017 poz.1789 z późn. zm.), dlatego wnioskuję do Rady Dyscypliny Nauk o Zdrowiu Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego o przyjęcie rozprawy oraz dopuszczenie Pani mgr inż. Katarzyny Młyńczak do dalszych etapów postępowania o nadanie stopnia doktora.

Łączę wyrazy szacunku i poważania

Kierownik
Katedra i Zakład Farmakoekonomiki
i Farmacji Społecznej
dr hab. Krzysztof Kus