

National PRO-opsamling - patienter med myelomatose



Lene Kongsgaard Nielsen

Afdelingslæge, ph.d. og lektor

Quality of Life Research Center, Hæmatologisk Afdeling, Odense Universitetshospital

Afdeling for Blodsygdomme, Regionshospitalet Gødstrup

Institut for Klinisk Medicin, Aarhus Universitet

Klinisk Institut, Syddansk Universitet

Myelomatose (knoglemarvskræft)

- Kronisk kræft i knoglemarven (plasmacellerne)
- Osteolytiske knoglesygdom, øget infektionsrisiko, nyre- og/eller knoglemarvspåvirkning
- Forbedret median overlevelse
- Høj symptombyrde og reducerede funktioner (=livskvalitet)

Kyle et al., Blood, 2008;111(6):2962-72

Becker et al., 2011;183:25-35

Ludwig et al., J Clin Oncol. 2010;28(9):1599-605

Rajkumar et al. The Lancet Oncol. 2014;15(12):e538-48

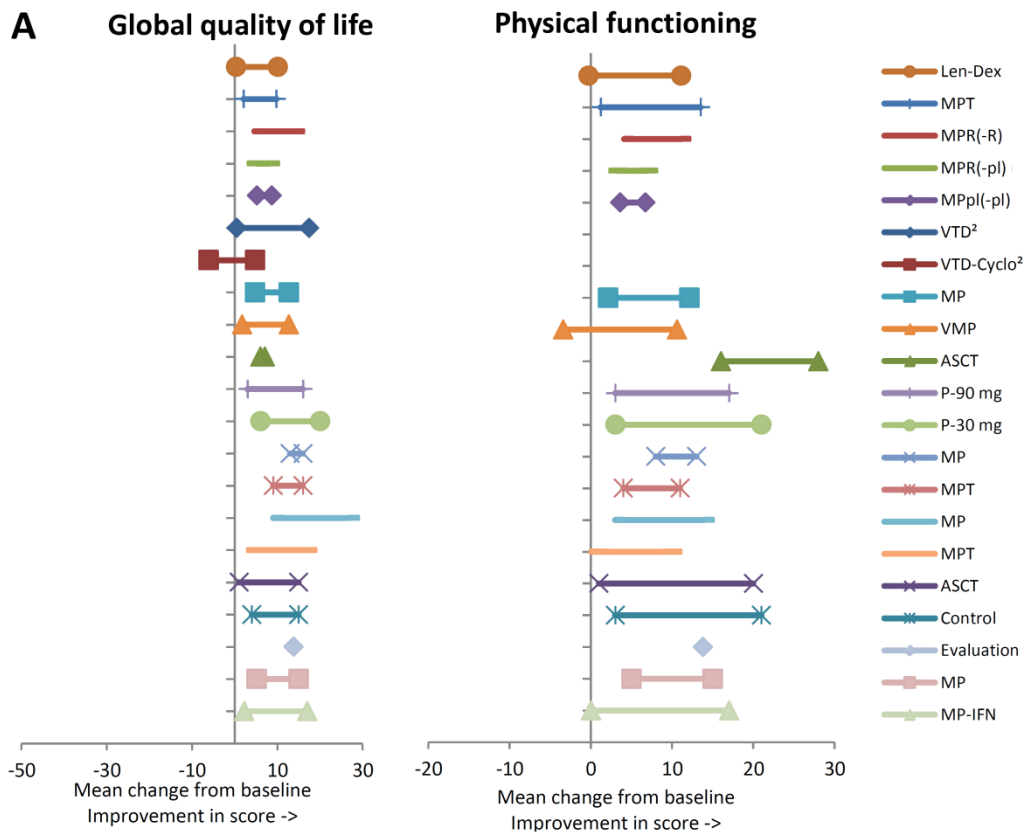
Kumar et al., Leukaemia. 2014;28(5):1122-8

Ramsenthaler et al., Eur J Haematol. 2016;97(5):416-29

Johnsen et al., Eur J Haematol. 2009;83(2):139-48,

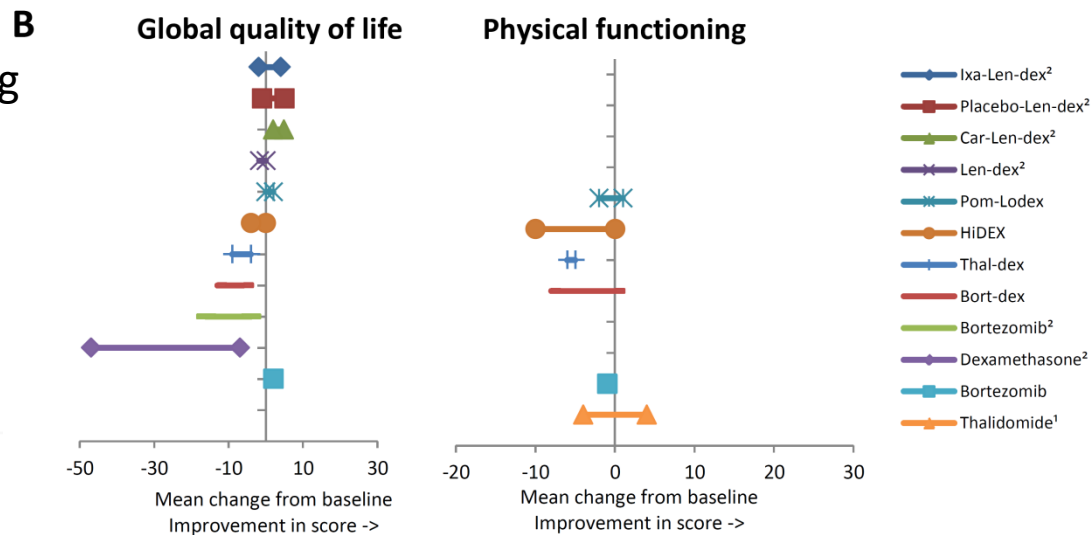
Jorden et al., Supportive care in cancer. 2014;22(2):417-26

Primær-
behandling



Patienter med myelomatose rapporterer forbedring i global livskvalitet og fysisk funktion under primær behandling og stabil/foringelse i global livskvalitet og fysisk funktion under relaps behandling

Relaps-
behandling



Nielsen et al. Eur J Haematol. 2017;99(1)3:17

Motivation for national PRO studie

- Beskrivelse symptombyrde og funktioner i den generelle population af patienter med myelomatose mhp. identifikation af livskvalitetsforberedende tiltag
- Efterspørgsel efter evidensbaseret viden omkring ændringer i livskvalitet
- Praktisk set-up for PRO data indsamling

Livskvalitet hos danske patienter med myelomatose



National spørgeskemaundersøgelse 2017-2021

Patienter med myelomatose

Ny behandlingskrævende sygdom (nydiagnostiseret og relaps)

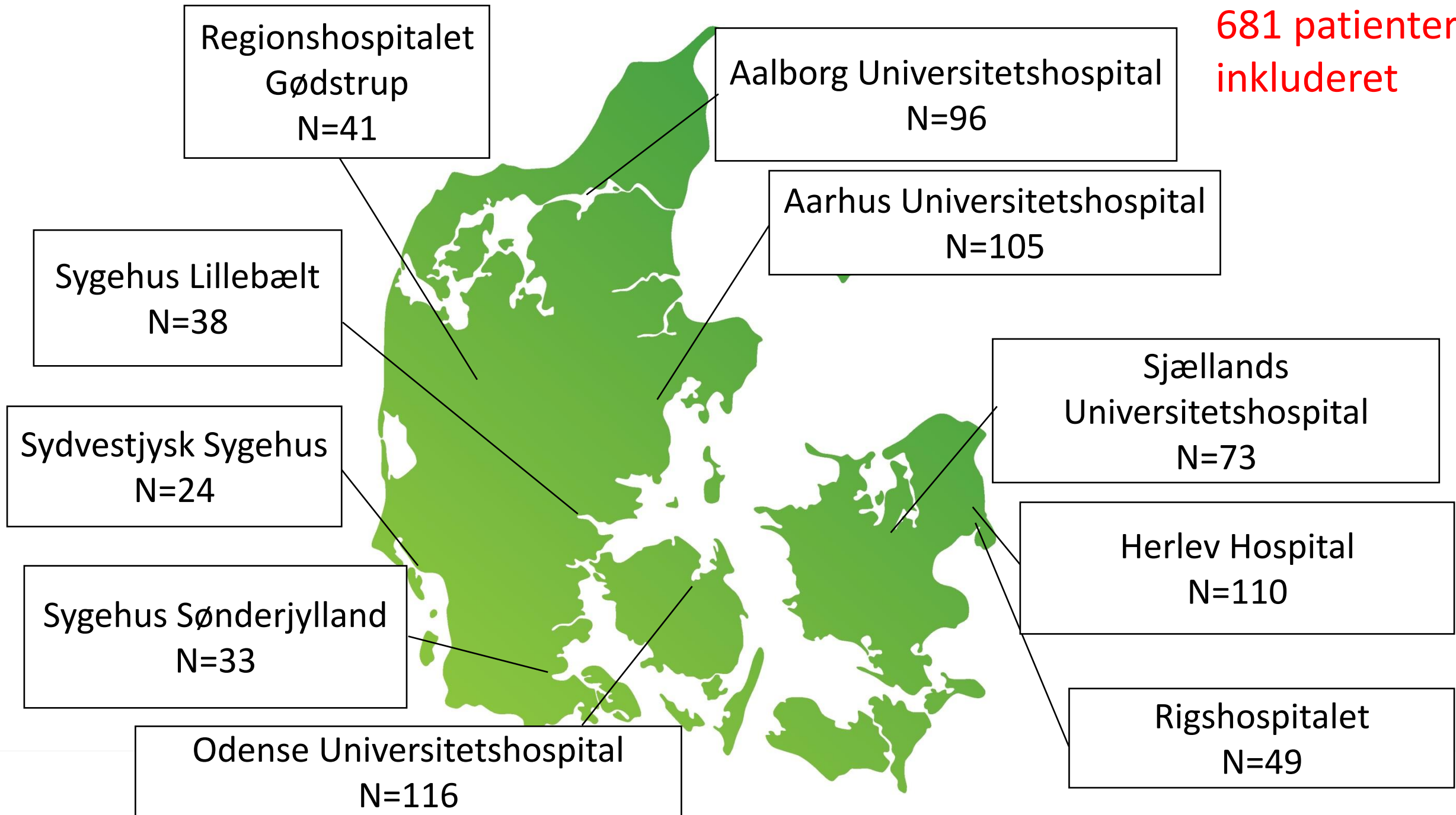
Forstå dansk

Fravær af mental sygdom, som forhindrer spørgeskemabesvarelse

Overordnet formål

Beskrive ændringer i livskvalitet hos patienter med myelomatose over tid

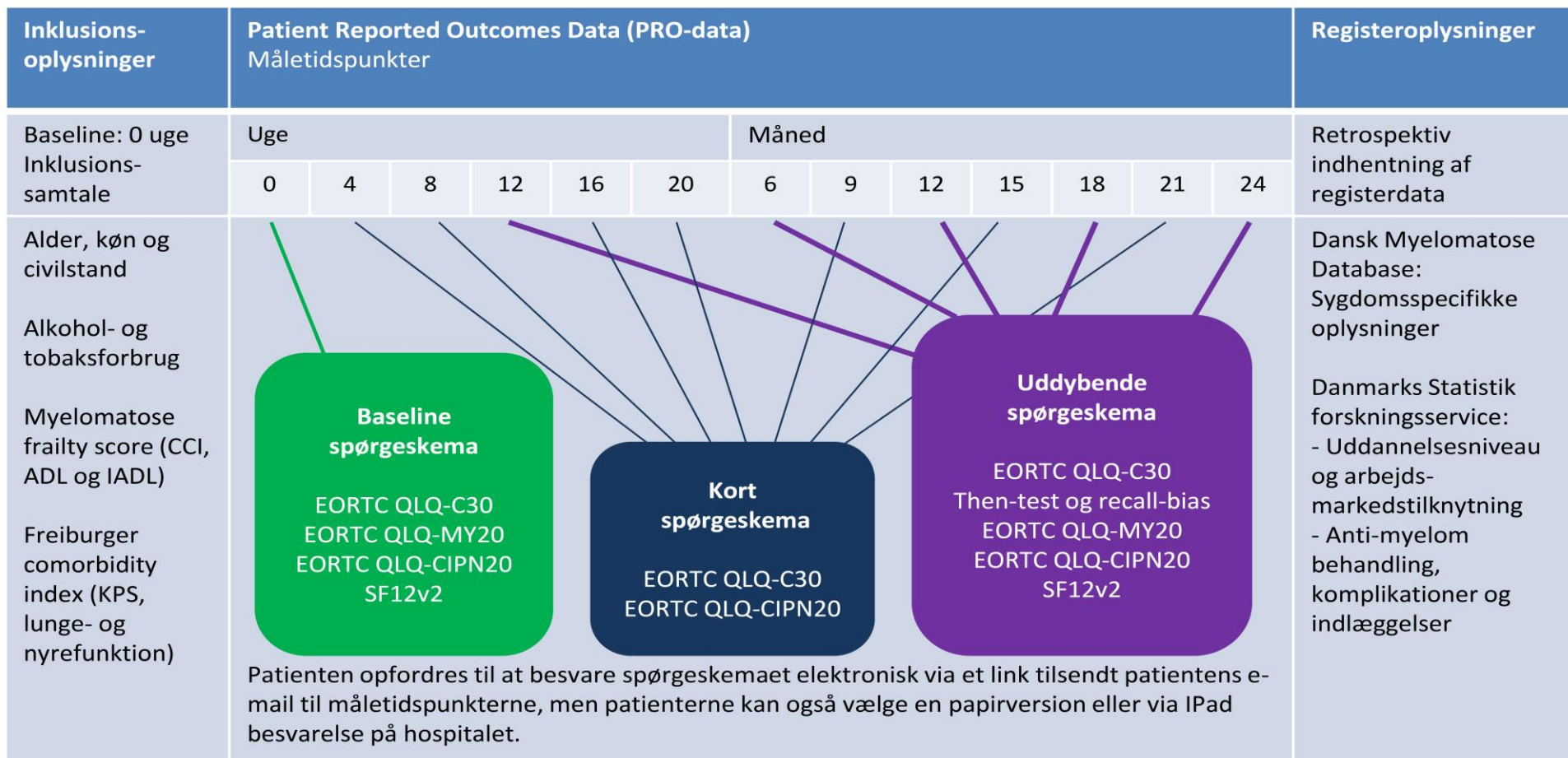
681 patienter
inkluderet



Projekt forløb



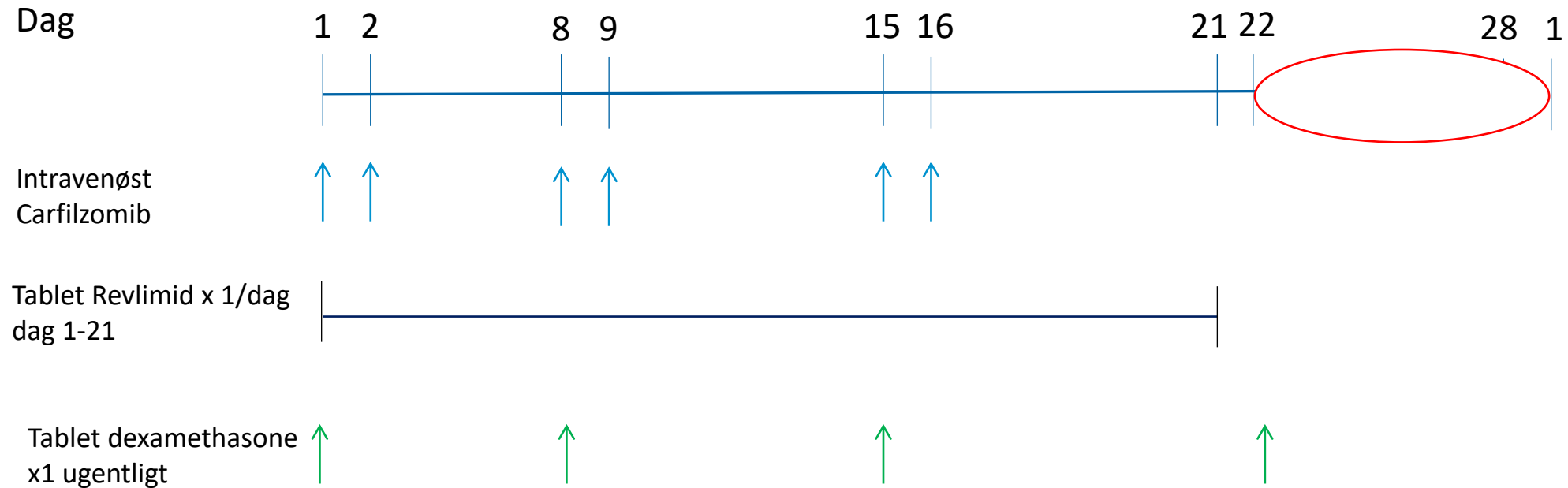
84% har
besvaret
elektronisk



CCI; Charlson comorbidity Index, ADL; Activity of Daily Living, IADL; Instrumental Activity of Daily Living, KPS; Karnofsky Performance Score Scale, EORTC QLQ-C30; European Organisation For Research And Treatment Of Cancer Quality Of Life Questionnaire, EORTC QLQ-MY20, European Organisation For Research And Treatment Of Cancer Multiple Myeloma module, EORTC QLQ-CIPN20; European Organisation For Research And Treatment Of Cancer Chemotherapy-Induced Peripheral Neuropathy, SF12v2; Short-form health survey version 2-4-week recall.

Carfilzomib-Revlimid-dexamethason regimet

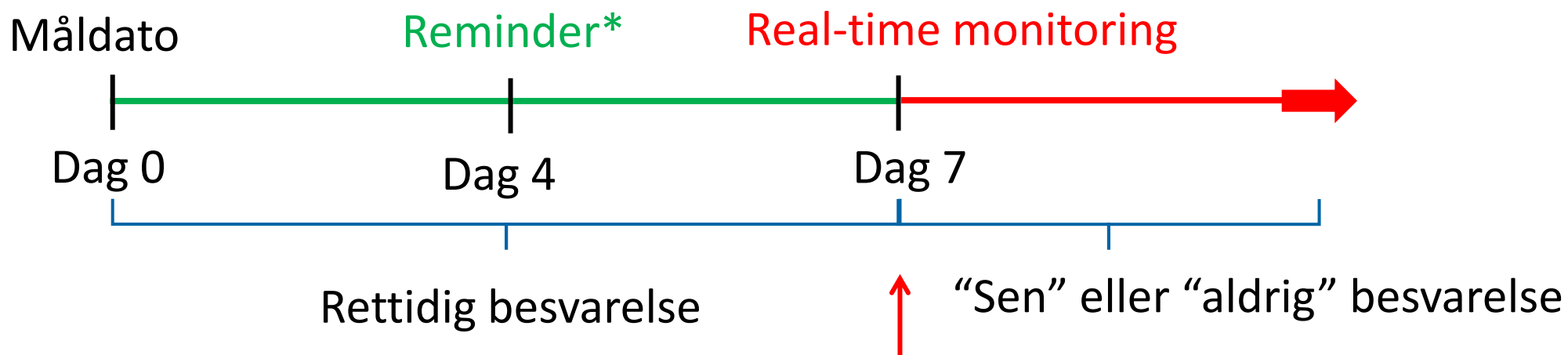
28 dage cyklus



Strategier til forbedring af PRO data kompletthed

Vejledning af studie personale – skriftlig guideline og support

7 dags besvarelsesvindue

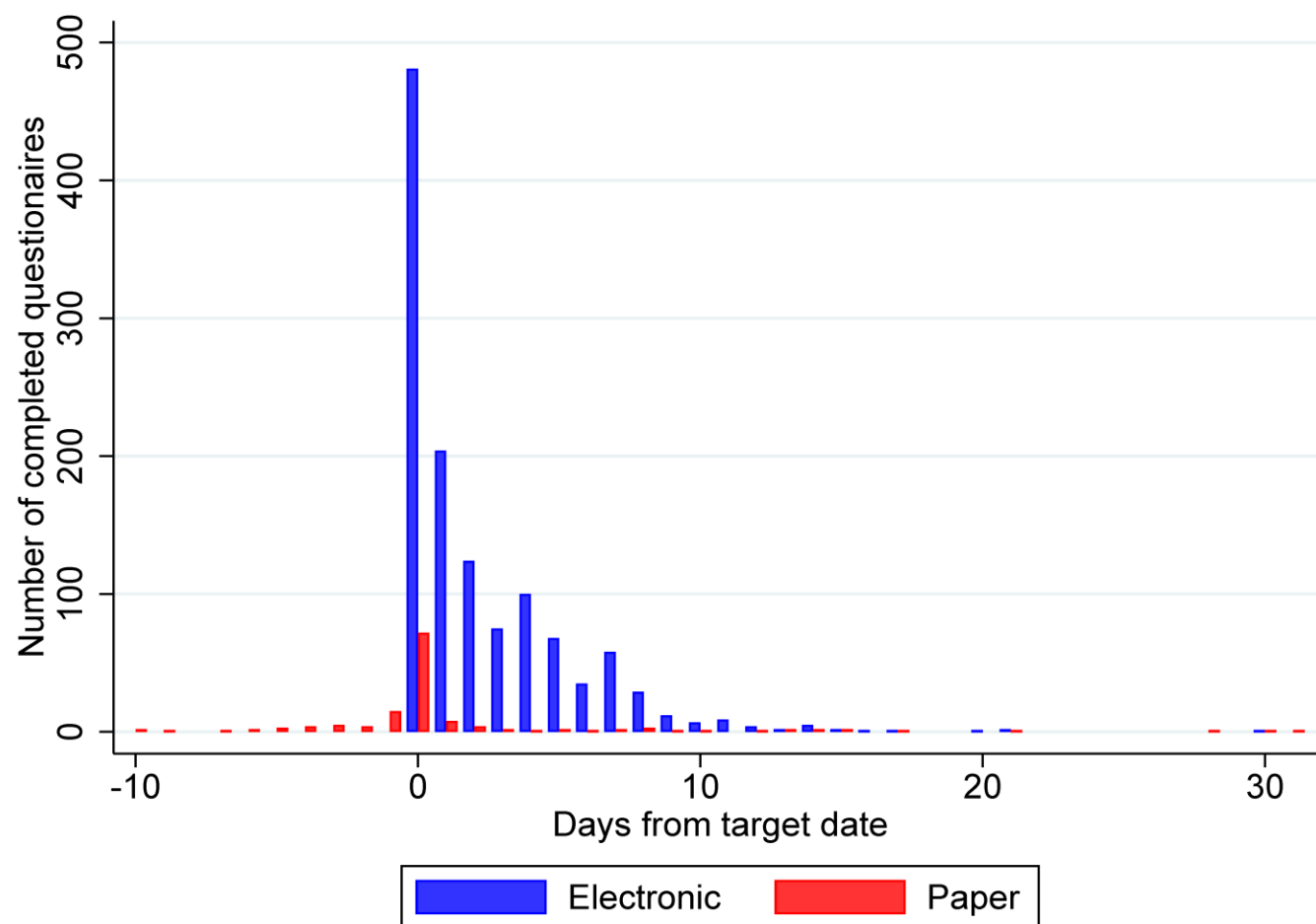


*Ikke for patient, der besvarer på papir

Kontakt til patienten og dokumentation af årsag for manglende besvarelse

Nielsen LK *et al.*, Qual Life Res. 2020 Feb;29(2):335-346.

Effekt af strategierne



Signifikant højere andel af ubesvarede spørgeskemaer blev besvaret

- Efter reminderen ($p < 0.001$)
- Efter real-time monitoring ($p < 0.001$)

PRO data completed 95%

Nielsen LK *et al.*, Qual Life Res. 2020
Feb;29(2):335-346.

Mekanismen bag manglende besvarelse

Missing completely at random:

De manglende værdier har ikke nogen sammenhæng med de andre variable i undersøgelsen

Missing at random

Der kan være en sammenhæng mellem mekanismen der fører til manglende data, men at dette kan forklares ved andre variable

Missing not at random

Der er sammenhæng mellem de manglende data og den variabel der skal forklares

Rubin DB, Inference and Missing Data. Biometrika 63 (3):581-592.

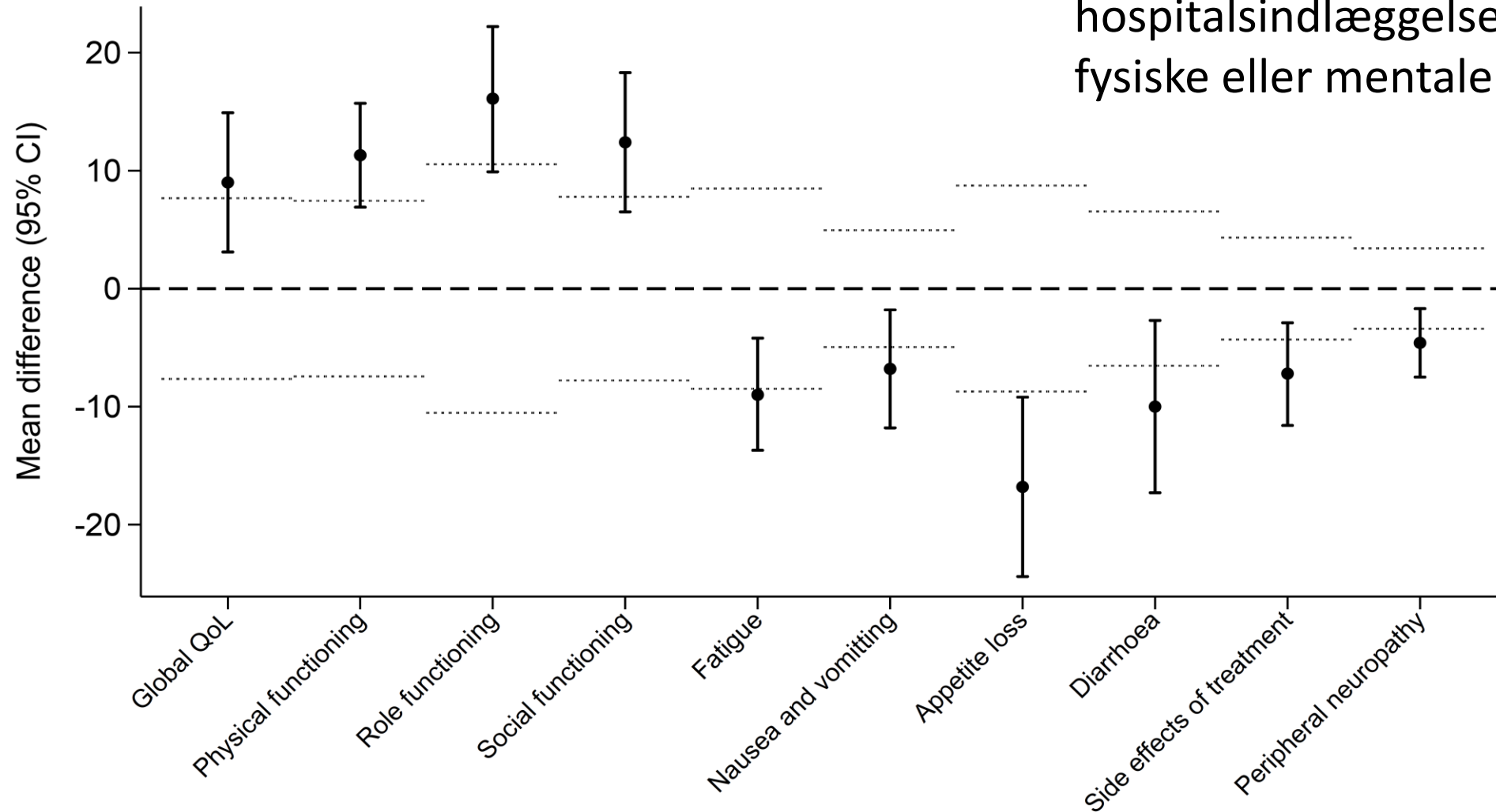
Årsager til manglende besvarelser

	Total	Antal sene besvarelser	Antal aldrig besvarelser
Årsag til sene/aldrig besvarelser*	1.108	802	306
1. Hospitalsindlæggelse, fysisk eller mental årsag	286 (26%)	113 (40%)	173
2. Tekniske udfordringer, aldrig modtaget spørgeskemaet	139 (13%)	111 (80%)	28
3. Overset spørgeskemaet/forglemmelse	576 (52%)	523 (91%)	53
4. Andre årsager eller manglende årsag	107 (10%)	55 (51%)	52

*intermittent non-responses

Nielsen LK *et al.* Qual Life Res. 2024 Jun 16.

Manglende besvarelser på grund af hospitalsindlæggelse, fysiske eller mentale årsager



Nielsen LK *et al*, Qual Life Res. 2024 Jun 16

Succeshistorie fra national PRO-opsamling – patienter med myelomatose

- Alle 10 danske afdelinger har bidraget
- Meget høj PRO data kompletthed – afprøvet effektive strategier til praktiske PRO data indsamling
- Godt modtaget af patienterne med høj rate af elektroniske besvarelser
- Bidraget til metodemæssige udfordringer - manglende besvarelser

Niels Abildgaard, Odense Universitetshospital
Mary Jarden, Rigshospitalet
Christen Lykkegaard Andersen, Rigshospitalet
Henrik Frederiksen, Odense Universitetshospital
Sören Möller, Open Patient data Explorative Network
Madeleine King, University of Sydney, Australien
Rebecca Mercieca-Bebber, University of Sydney, Australien
Tanja Lund Barslev, ph.d.-studerende SDU
Mads Vorup Mortensen, ph.d.-studerende SDU

Henrik Gregersen, Aalborg Universitetshospital
Anja Klostergaard, Aarhus Universitetshospital
Morten Saaby Steffensen, Regionshospitalet Gødstrup
Per Trøllund Pedersen, Sydvestjysk Sygehus
Maja Hinge, Vejle Hospital
Mikael Frederiksen, Sygehus Sønderjylland
Bo Amdi Jensen, Sjællands Universitetshospital, Roskilde
Carsten Helleberg, Herlev Hospital
Anne K. Mylin, Rigshospitalet



Støttet af
Danish Comprehensive Cancer Center



Danish Cancer Society



Quality of Life
Research Center OUH

