

Construction et validation des scores de symptômes et de qualité de vie

Dr Guinet-Lacoste Amandine
PHC Unité B1
Service de Médecine Physique et Réadaptation
Henry Gabrielle-CHLS

Introduction

- Pourquoi ?
- Comment choisir s il existe ? Le construire ?

- Importance de l'évaluation
- Évaluation globale
- Évaluation spécifique
- Rapide
- Consultation
- Outil validé

Introduction

- Avoir un référentiel
- Aider à la mise en place d'une PEC
- Suivre l'évolution
- Efficacité du traitement

- Gold standard non adéquate ou avec des inconvénients (longueur, difficulté d'utilisation, cher...)

Introduction

- Process de validation
- Selon recommandation
- Revue de la littérature

- *American Psychological Association. Standards for Educational and Psychological Testing. Washington DC: American Psychological Association; 1985.*
- *Bland JM, Altman DG. Statistical methods for assessing agreement between two methods of clinical measurements. Lancet 1990;;307–10*

Score de qualité de vie

Qualité de vie

- Définition de l'OMS en 1993:

“La qualité de vie est définie comme la perception qu'un individu a de sa place dans la vie, dans le contexte de la culture et du système de valeurs dans lequel il vit, en relation avec ses objectifs, ses attentes, ses normes et ses inquiétudes.

C'est un concept très large qui peut être influencé de manière complexe par la santé physique du sujet, son état psychologique et son niveau d'indépendance, ses relations sociales et sa relation aux éléments essentiels de son environnement” [1].

[1] World Health Organization. *Qual Life Res* 1993; 2: 153-9.

Qualité de vie: Comment la mesurer ?

- Prise en compte de :
 - domaines physique (autonomie et activités physiques)
 - psychologique (anxiété, dépression, émotion)
 - relationnel (familial, social, professionnel)
 - symptomatique (répercussion de la maladie et de son traitement)
 - aspects plus particuliers tels que la sexualité ou l'image de soi
- 2 approches pour évaluer la QdV:
 - Évaluation qualitative (entretiens psychologiques)
 - Évaluation quantitative (outils psychométriques)

Qualité de vie: évaluation qualitative

- Entretiens psychologiques
- Point +: Évaluation globale
- Points -: difficulté de standardisation, peu utilisable dans études comparatives, difficile à appliquer à grandes échelles

Scores de qualité de vie

- Évaluation quantitative
- Différents types de questionnaires (auto ou hétéro évaluation)

- Génériques « health profile »
- Spécifique: maladie, fonction
- Global: EVA, PGII

- Génériques: points +: large et diverse population pour validation, large champ de domaine, point -: non ciblé (SF 36)

Scores de qualité de vie

- Évaluation quantitative
- Différents types de questionnaires (auto ou hétéro évaluation)

- Génériques « health profile »
- Spécifique: maladie, fonction
- Global: EVA, PGII

- Génériques: points +: large et diverse population pour validation, large champ de domaine, point -: non ciblé (SF 36)
- Spécifiques: point +: en fonction de la maladie, fonction, point -: utilisation dans la seule population étudiée et validé

Scores de qualité de vie

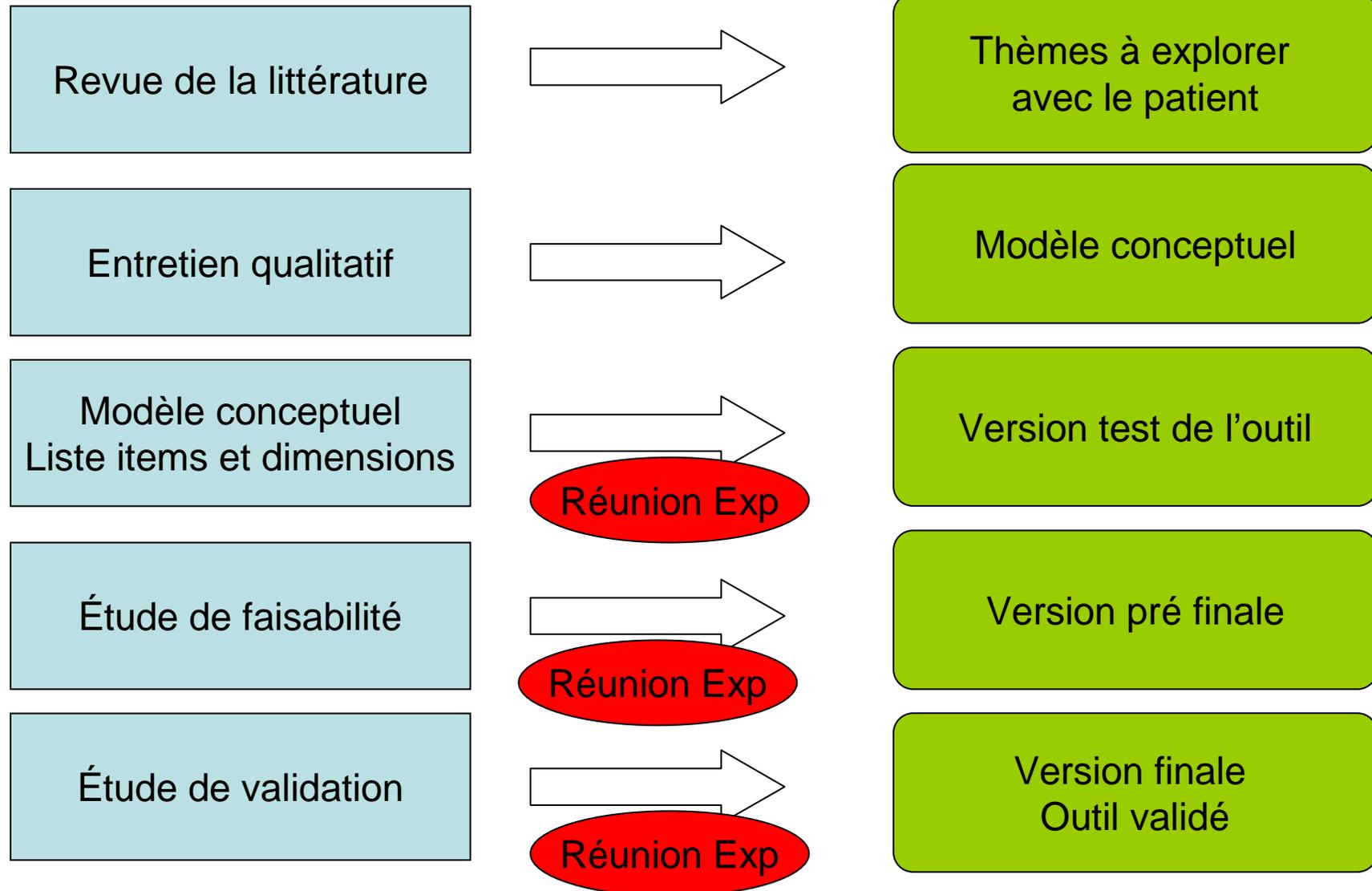
- Évaluation quantitative
- Différents types de questionnaires (auto ou hétéro évaluation)

- Génériques « health profile »
- Spécifique: maladie, fonction
- Global: EVA, PGII

- Génériques: points +: large et diverse population pour validation, large champ de domaine, point -: non ciblé (SF 36)
- Spécifiques: point +: en fonction de la maladie... point -: utilisation dans la seule population étudiée et validé
- Globale: point +: simple et facile, point -: perte d'information? mesure partielle

Scores de symptômes et de QdV
construction

Étapes clés



Modèle conceptuel

Premières étapes: Modèle conceptuel

- Liste items: revue de littérature et interviews de patients
- Interview de patients:
 - Recueillir le vécu et la perception des patients sur le sujet
 - Obtenir le verbatim des patients qui servira de base aux items
 - Connaissance, croyance, perception sur la maladie/symptômes/QdV
 - Attentes/motivation
- Dimensions à définir

Premières étapes: Modèle conceptuel



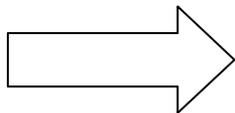
Listing des items

- Réaction de prestige ou « tendance de façade »
- Attraction de la réponse positive
- Peur de certains mots socialement inacceptables ou avec charge affective
- Contraction défensive: attention à ne pas débiter avec des items trop personnels ou délicats
- Attention à la longueur des items

Réunion d'experts

Deuxième étape: Réunion experts

- Plusieurs méthodes: Delphi ou méthode panel d experts
 - Quels experts choisir ?
 - Compétence, mise à jour des connaissances via littérature
 - Rôles ?
 - Compréhension des réponses, pertinence des modalités de réponses, choix de réponses, absence de dérive par rapport à l'objectif principal



Version test de l'outil

Deuxième étape: Réunion experts

- Plusieurs méthodes: Delphi ou méthode panel d experts
- Discuter critères inclusion/exclusion patients
- Discuter objectif du questionnaire
- Autres rôles ?
 - Réduction d items
 - Score total ou sous score ?
 - Score simple ou pondération ?
 - Auto administré ?
 - Type de réponse ?
 - Case Report Form (CRF ?)

Deuxième étape: Réunion experts

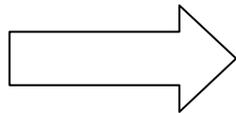
Type de réponse

- Réponses ouvertes
- Réponses dichotomiques (oui/non, vrai/faux) (facilité d'interprétation informatique)
- Réponses trichotomiques: on ajoute je ne sais pas
- Réponses à choix multiples
- Réponses type Likert*
- Nombres de réponses:
 - pair : oblige à prendre position
 - impair: ménage une modalité neutre ou non polarisée

Deuxième étape: Réunion experts

Likert scale

- Modalité graduée en termes de fréquence ou d'intensité
 1. Tout à fait d'accord
 2. D'accord
 3. Sans avis
 4. En désaccord
 5. Tout à fait en désaccord



Version test de l'outil

Étude de faisabilité

Étude de faisabilité : version test de l'outil

- Tester le questionnaire de mesure dans les conditions réelles d'utilisation
- Patients « types »: critères inclusion et exclusion
- Évaluer l'acceptabilité du questionnaire en termes de :
 - Pertinence
 - Compréhension
 - Temps de passation
 - Tournure des items

Construction et validation du CRF (Case Report Form)

- Optimiser le recueil de données
- Recueillir toutes les données requises par le protocole pour chaque patient
- Règles à suivre
 - Données identiques aux critères inclusion/exclusion du protocole
 - Rappel de ces critères au début du CRF
 - Sur chaque page du CRF: numéro patient/centre/protocole/visite
 - Numéroté les pages
- Toujours une attestation à signer par l'investigateur ou co en fin de visite ou fin de CRF

Construction et validation du CRF (Case Report Form)



- Ne pas être trop long
- Ordre logique
- Attention aux cases oui/non (cotation à respecter)
- Mettre les aides mémoires (échelles d'évaluation à utiliser...)

- Valider par le centre investigateur avant impression

Construction et validation du CRF (Case Report Form)

- Documents à insérer

- Questionnaire
- Note d'information
- Consentement éclairé

- Comment le remplir ?

- Toujours remplir toutes les cases

~~| | 3 | 0 |~~ | 0 | 3 | 0 |

- Erreurs barrées d'un trait, corrigées, paraphées, signées et datées

~~| 2 | 6 |~~ 29 AGL (8/12/14) 

- Données manquantes: NA ou NF ou ND

Construction et validation du CRF (Case Report Form)

- Différentes types de CRF
 - Électronique (eCRF)
 - Papier
- CRF rempli ou en cours de remplissage (eCRF): queries
- ARC: responsable de la validité des données sur le CRF par rapport aux données sources
- DATA Manager: responsable des données recueillies, gestionnaire de la base de données, assure la qualité des données stockées

Validation clinique

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Validation: mesure ce qu'il doit mesurer ?
- Phase clinique
- Nombre de patients
- Type d'étude : prospective
- Uni ou multi centrique ?
- 3 critères: Validité, fidélité, sensibilité aux changements

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Validité:
 - validité d'apparence (face validity): compréhension, acceptation, temps passé à répondre.... (étude de faisabilité)

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Validité:
 - validité d'apparence (face validity): compréhension, acceptation, temps passé à répondre.... (étude de faisabilité)
 - validité de contenu (content validity): experts vérifient si les items sont bien définis en domaines et que chaque domaine est bien représenté

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Validité:
 - validité d'apparence (face validity): compréhension, acceptation, temps passé à répondre.... (étude de faisabilité)
 - validité de contenu (content validity): experts vérifient si les items sont bien définis en domaines et que chaque domaine est bien représenté
 - validité contre critère : gold standard (cohérence externe)
 - Validité concomitante
 - Validité prédictive

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Validité:
 - validité d'apparence (face validity): compréhension, acceptation, temps passé à répondre.... (étude de faisabilité)
 - validité de contenu (content validity): experts vérifient si les items sont bien définis en domaines et que chaque domaine est bien représenté
 - validité contre critère : gold standard (cohérence externe)
 - Validité concomitante
 - Validité prédictive
 - validité de construit (convergente et divergente)

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Fidélité (reliability) : inter juge, intrajuge ou test-retest (reproductibilité)
 - fidélité interjuges : chaque patient est alors coté au même moment par deux (ou plus) juges différents, de manière indépendante

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Fidélité (reliability) : inter juge, intrajuge ou test-retest (reproductibilité)
 - fidélité interjuges : chaque patient est alors coté au même moment par deux (ou plus) juges différents, de manière indépendante
 - fidélité intrajuge : un seul juge cote deux fois (ou plus) chaque patient à quelques jours de distance, l'état du sujet restant inchangé durant ce laps de temps ;

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Fidélité (reliability) : inter juge, intrajuge ou test-retest (reproductibilité)
 - fidélité interjuges : chaque patient est alors coté au même moment par deux (ou plus) juges différents, de manière indépendante
 - fidélité intrajuge : un seul juge cote deux fois (ou plus) chaque patient à quelques jours de distance, l'état du sujet restant inchangé durant ce laps de temps ;
 - fidélité test–retest : c'est une situation semblable à la fidélité intrajuge, mais cette fois le patient s'autoévalue lui même, il est donc son propre juge (exemple d'une échelle de douleur).

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Mesure quantitative: ICC
- La fidélité est:
 - très bonne si $ICC \geq 0,91$
 - bonne si $0,90 \leq ICC \leq 0,71$
 - modérée si $0,70 \leq ICC \leq 0,51$
 - médiocre si $0,50 \leq ICC \leq 0,31$
 - très mauvaise ou nulle si $ICC \leq 0,30$
- Tenir compte de l'intervalle de confiance

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Mesure qualitative: Kappa

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Cohérence interne (internal consistency)
- Au sein d'une dimension unique
- $\alpha > 0.7$ ou 0.8

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Sensibilité aux changements (responsiveness)
- Capacité à mesurer les variations + ou –
- Calcul du score d (score avant - après) chez N patients

– la taille de l'effet (effect size) :

$$\frac{\text{Moyenne des N différences d}}{\text{Ecart-types des N scores avant}} = \text{ES}$$

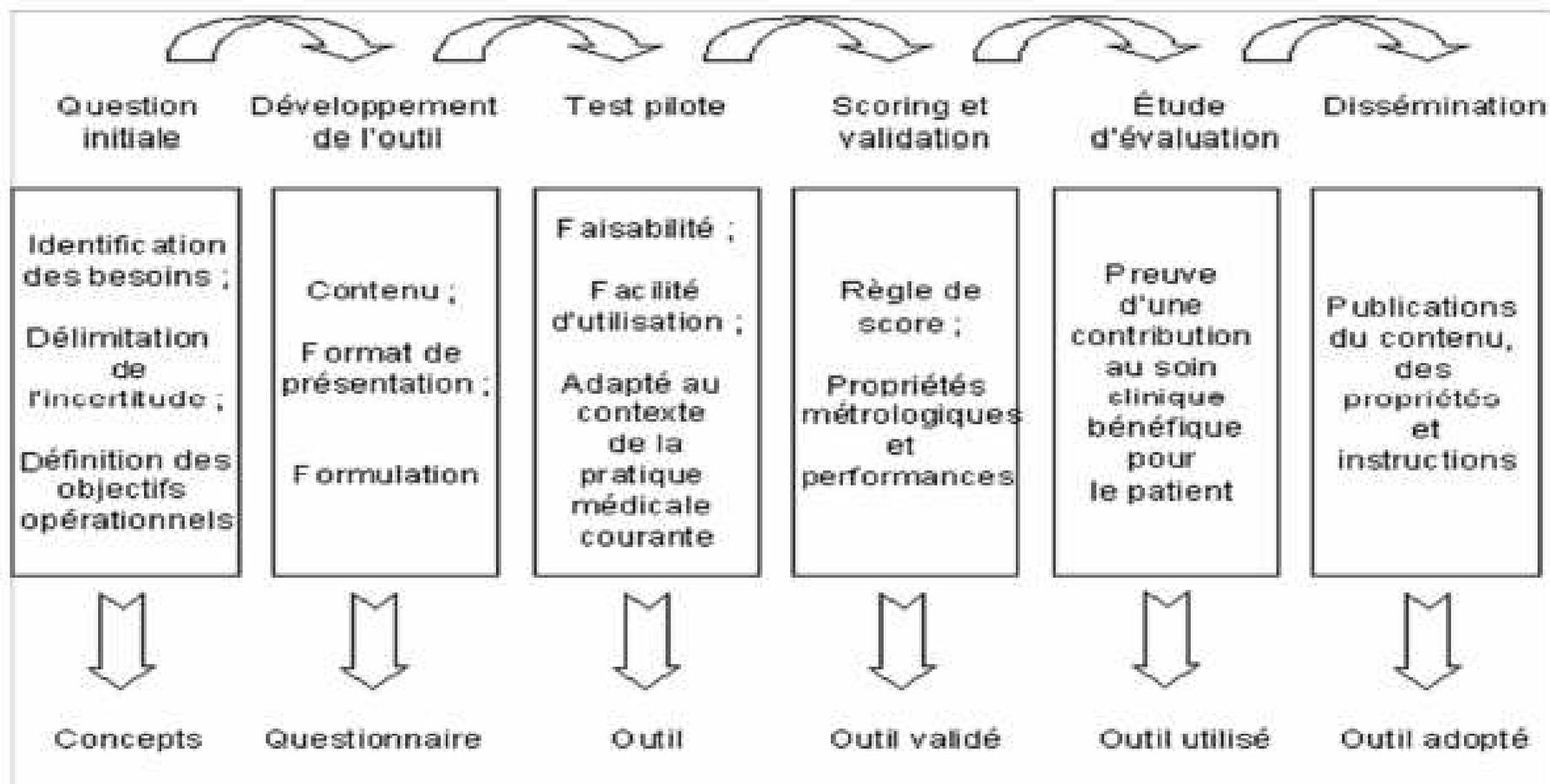
– la réponse moyenne standardisée :

$$\frac{\text{Moyenne des N différences d}}{\text{Ecart-types de N différences d}} = \text{SRM}$$

Scores de symptômes et de qualité de vie: Validation clinique

- Sensibilité aux changements (responsiveness)
- Interprétation
 - ES et SRM augmentent avec la sensibilité aux changements
 - faible si ES (ou SRM) est inférieur à 0,50
 - modérée si ES (ou SRM) est compris entre 0,51 et 0,80
 - bonne si ES (ou SRM) est supérieur à 0,80.

Au total



Arnould B. Patient-reported outcomes and clinical practice.

From measurement instruments to decision tools: much more than a simple change in format. PRO Newsletter. 2006;36:21-24

Au total

- Importance de la revue de la littérature
 - Discussion collégiale, avec experts de différents domaines
 - Items+++
 - Validité de construit
 - Publication
-
- Validation linguistique : process à suivre

Exemple du questionnaire I-CAT de la construction à la validation

Méthodologie

- **Construction de l'ICAT :**
 - Premier inventaire d'items
 - Méthode du Panel d'expert (2 réunions)
 - Étude de faisabilité (20 patients)
 - Modification de l'échelle si besoin
- **Validation phase clinique:**
 - Échelle J0, J15 et J30
 - Questionnaires anonymisés

Méthodologie

- **Validation phase analyse :**
 - Validités
 - Coefficient alpha de Cronbach
 - Reproductibilité
 - Sensibilité aux changements
- **Nombre de patients: 200**
- **Durée totale de l'étude : 2 ans**

Trames items et dimensions

Êtes-vous d'accord avec cette manière de penser ?

1. Pas du tout d'accord
2. Pas d'accord
3. Ni en désaccord ni d'accord
4. D'accord
5. Tout à fait d'accord

Trames items et dimensions

1- Psychologique

Items portant sur

Perception générale du geste (crainte, peur, anxiété)

- je suis effrayé à l'idée de me sonder
- je suis anxieux à l'idée de me sonder
- je crains que me sonder n'altère l'image que j'ai de mon corps
- j'ai peur d'avoir mal en me sondant...

Motivation

- je ne vais pas y arriver
- je vais être maladroit...

Ignorance geste

- je vais avoir des infections urinaires en me sondant
- je ne comprends pas l'intérêt de me sonder
- je ne sais pas où mettre la sonde...

Trames items et dimensions

« Passer outre »

- je ne pourrais pas accepter l'idée de me sonder
- j'ai des difficultés à accepter l'idée de me sonder
- je ne pourrais pas surmonter l'idée de me sonder
- je vais être en permanence préoccupé par l'idée de me sonder...

Bénéfice espéré

- les sondages ne vont pas améliorer mon problème urinaire...

Trames items et dimensions

2- Socioculturelle : Social/Idées communément répandues

Items portant sur

La société

- en société, on va deviner que je me sonde
- je vais perdre du temps en société...

Regard des autres

- le regard des autres va changer si je me sonde
- mes proches ne vont pas supporter l'idée que je me sonde...

Tabou, Sexualité

- me sonder va altérer ma libido
- je ne veux pas toucher cette région là
- cette région là est fragile et je pourrais l'abîmer
- me sonder est une agression pour mon anatomie...

Trames items et dimensions

3- Environnement

Items portant sur

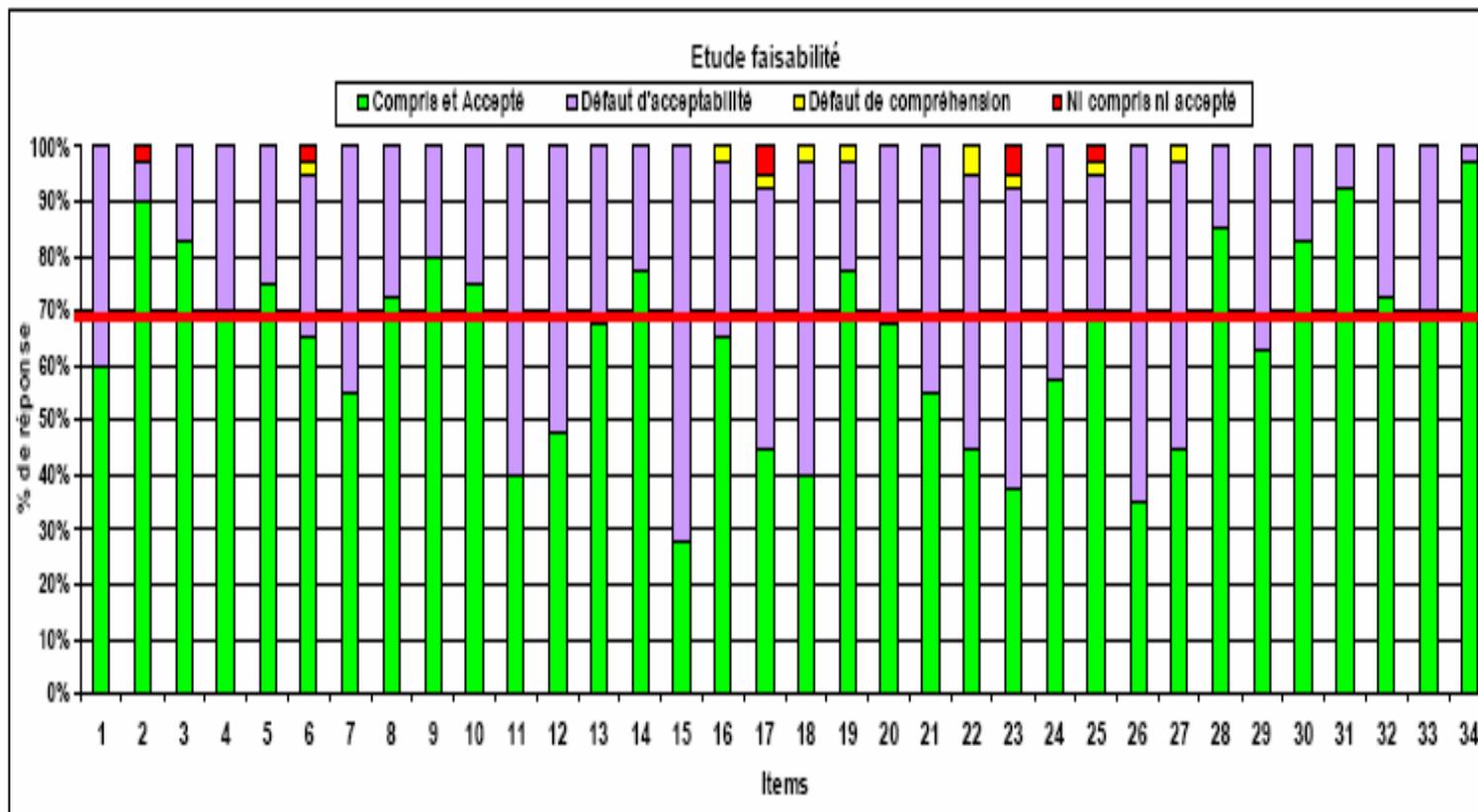
Les conditions extérieures et travail

- je n'aurais pas toujours de point d'eau pour me laver les mains
- je n'aurais pas toujours une table ou un plan horizontal pour poser mon matériel
- je ne pourrais pas m'asseoir sur les WC publiques pour me sonder
- les WC publiques/travail sont trop sales pour me sonder...

Dates	1ère liste items	choix items	Version 1	faisabilité	Version 2	Etude clinique	Analyse et validation
sept-11							
oct-11							
nov-11							
déc-11							
janv-12							
févr-12							
mars-12							
avr-12							
mai-12							
juin-12							
juil-12							
août-12							
sept-12							
oct-12							
nov-12							
déc-12							
janv-13							
févr-13							
mars-13							
avr-13							
mai-13							
juin-13							
juil-13							
août-13							
sept-13							

I-CAT

- 55 items au départ
- 1ère réunion experts: 33 items + une question globale
- Étude de faisabilité: 22 items et une question globale: validation clinique (en cours)



Etude I-CAT

Elaboration et validation psychométrique d'une échelle évaluant
« l'acceptance » de la pratique des autosondages urinaires propres intermittents
dans une population de patients neurologiques et non neurologiques avec
indication aux autosondages

Code gestionnaire : AOM11014 - N111029.

CAHIER D'OBSERVATION

Version 3 du 21/06/2013

Référence Patient :

n°centre - n°incluasion
dans le centre - Non - Présent

INVESTIGATEUR COORDONNATEUR

Pr. Gérard Amarengo
Service de Neuro-Urologie - Hôpital Tenon, 4 rue de la Chine, 75020 Paris
Tél : 01.56.01.76.13 / FAX : 01.56.01.72.30
Mail : gerard.amarengo@tmn.sphp.fr

RESPONSABLE SCIENTIFIQUE

Dr Amandine Guinet-Lacoste
Service de Neuro-Urologie - Hôpital Tenon, 4 rue de la Chine, 75020 Paris
Tél : 01.56.01.76.13 / FAX : 01.56.01.72.30
Mail : amandine.guinet@tmn.sphp.fr

BIostatisticien

Alexandra Rousseau
Unité de Recherche Clinique de l'Est Parisien,
Hôpital Saint-Antoine, 184 rue du Fbg Saint Antoine, 75012 Paris.
Tél : 01 40 01 14 28 / Fax : 01 49 28 28 13
Mail : urceest@chusa.jussieu.fr

COORDINATION LOGISTIQUE, MONITORING

France Guyot-Rousseau
Unité de Recherche Clinique de l'Est Parisien,
Hôpital Saint-Antoine, 184 rue du Fbg Saint Antoine, 75012 Paris.
Tél : 01 49 28 22 02 / Fax : 01 49 28 28 13
Mail : etude-icat.urceest@sat.sphp.fr

GESTIONNAIRE

Chef de projet : Nassim Brahmi
Assistance Publique - Hôpitaux de Paris (AP-HP)
Département de la recherche clinique et du développement (DRCD)
Tél : 01 40 27 53 73
Fax : 01 44 84 17 01
Mail : nassim.brahmi@sls.sphp.fr

A CONSERVER 15 ANS APRES LA FIN DE L'ETUDE

Instructions pour le remplissage du cahier d'observation

1. Utiliser un stylo à bille noir (pas de feutre ni de crayon)

2. Ecrire en lettres capitales

3. Pour les dates, respecter l'ordre :
jour, mois, année (JJ/MM/AAAA)

2	7	0	3	1	9	9	0
j	j	m	m	a	a	a	a

4. Les données numériques doivent être entrées à partir
de la droite et un 0 doit être inscrit dans les cases vides

0	2	6
---	---	---

5. Les données manquantes doivent être notifiées de
la manière suivante, sauf si le codage le prévoit

--	--	--

 ND

6. Les données non applicables doivent être notifiées
de la manière suivante, sauf si le codage le prévoit

--	--	--

 NA

7. Les données erronées doivent être corrigées de la
manière suivante, puis datées et paraphées par
l'investigateur ou la personne autorisée de son équipe

5	0
--------------	--------------

 19
26/07/11 LM

8. Identification du sujet:
par la première lettre du nom
(sans les particules DE, VAN, EL...)
et la première lettre du prénom

N	P
---	---

9. Respecter les codes

0

 0 = non 1 = oui

n°centre n°inclusion initiale non initiale présent

CRITÈRES D'INCLUSION

code réponse : 0 = non
1 = oui

- 1) Patients avec maladie neurologique diagnostiquée (encéphalique, médullaire post-traumatique et non-traumatique, queue de cheval) ou patient non neurologique
- 2) Patients vus en consultation ou en hospitalisation traditionnelle
- 3) L'indication à la réalisation d'autosondages intermittents doit être posée en raison d'une vessie type rétentionniste ou d'une vessie hyperactive avec indication d'un traitement médical (anticholinergiques ou injection de toxine botulinique intra-détrusorienne) ou chirurgical (type entérocystoplastie d'agrandissement) empêchant la vidange vésicale sans sondages urinaires
- 4) Résultat du PP-Test $\geq 10/15$ (suggérant des possibilités physiques et cognitives permettant la pratique de l'IAS)
- 5) Patients majeurs et bénéficiant d'une protection sociale ou ayant droit

Une seule réponse NON entraîne la non-inclusion du patient dans l'étude

CRITÈRES DE NON INCLUSION

code réponse : 0 = non
1 = oui

- 1) Lésion urétrale empêchant la pratique des autosondages
- 2) Indication à la pose d'un cathéter sus pubien ou d'une sonde à demeure
- 3) Patient ne comprenant pas le français

Une seule réponse OUI entraîne la non-inclusion du patient dans l'étude

Date d'inclusion du patient *

j j m m a a a a

* Envoyer le fax d'inclusion à l'URC-EST

Nom et signature du médecin investigateur :

n°centre n°inclusion initiale nom initiale prénom

CONSULTATION INITIALE (J1) - Démographie

Date de la consultation:

j j m m a a a a

Indication du sondage confirmée:

0 = non
 1 = oui

Conditions de consultation:

Hospitalisation en MPR

0 = non
 1 = oui

Hospitalisation en urologie

0 = non
 1 = oui

Consultation externe

0 = non
 1 = oui

Age

ans

Sexe

0 = masculin
 1 = féminin

Statut marital

0 = marié(e)
 1 = célibataire
 2 = pacsé(e)
 3 = veuf(ve)
 4 = autre

Mode de vie

0 = entouré(e)
 1 = seul(e)

Niveau socio-culturel

0 = brevet
 1 = baccalauréat
 2 = études supérieures
 3 = autres

si autre, précisez:

Activité professionnelle actuelle

0 = non
 1 = oui

Merci