

Behandlingsmål vid Parkinson: Vad

Vilka sjukdomsaspekter är väsentligast ur patienternas perspektiv? Vilka mål ska sättas för behandlingen? Livskvalitet, gångförmåga och rörlighet är några av de faktorer som visat sig viktiga att utvärdera.

TEXT PETER HAGELL

Leg. sjuksköterska, doktor i medicinsk vetenskap, professor i vårdvetenskap PROCARE-gruppen, Sektionen för hälsa och samhälle, Högskolan Kristianstad

PATIENTERS MEDVERKAN I FORSKNING är både central och självklar; utan deltagande patienter skulle i princip ingen klinisk forskning kunna genomföras. Under senare år har det dock skett en utökad och förändrad syn på patientmedverkan i forskningen såtillvida att man inte enbart ser patienten som deltagare i kliniska studier, utan även som en viktig samarbetspartner med inflytande över den forskning som bedrivs.

Att direkt involvera patientrepresentanter i forskning tillskrivits allt större vikt och anses generellt ha ett flertal fördelar genom den breddade expertis som patientperspektivet innebär, vilket i sin tur kan bidra till förbättrade upplägg av forskningsstudier, samt mer patientnära och relevanta prioriteringar, utfall och utfallsmått. Med utfall menas vad som utvärderas, exempelvis vilka symtom eller sjukdomsaspekter som utvärderas för att bedöma värdet av en behandling, medan utfallsmått avser hur denna utvärdering sker, det vill säga de ”verktyg”, instrument och metoder som används för att mäta och utvärdera utfall. Exempel på vanliga utfallsmått är skattningsskalor där sjukvårdspersonal bedömer förekomst och svårighetsgrad av olika symtom eller funktionshinder, samt så kallade patient-rapporterade skattningsskalor där patienten själv rapporterar till exempel upplevda symtom, funktionshinder och andra sjukdomsaspekter.

Vid Parkinsons sjukdom (PS) är patient-rapporterade skattningsskalor vanligt använda utfallsmått för upplevd hälsa och så kallade icke-motoriska symtom såsom trötthet, sömnkvalitet, depressiva symtom. Vi kommer i denna artikel att fokusera på vilka aspekter som tycks mest väsentliga för att sätta upp patientcenterade mål i behandlingen av PS. Denna diskussion baserar sig på vilka utfall som prioriteras och vilka sjuk-

domsaspekter som generellt förefaller väsentligast ur ett patientperspektiv.

Vilka sjukdomsaspekter är väsentliga för hälsa och livskvalitet vid PS?

En central fråga för att sätta behandlingsmål är vilka sjukdomsaspekter som har betydelse för patienters livskvalitet. Denna fråga låter sig dessvärre egentligen inte besvaras eftersom det hittills saknas tillfredsställande metoder för att mäta eller utvärdera livskvalitet vid PS. Detta till trots föreligger en ständigt strid ström av publikationer som rapporterar om livskvalitet och effekter avseende livskvalitet vid olika behandlingar vid PS. Hur hänger detta ihop? Det som ofta sker inom klinisk forskning är att man helt enkelt använder sig av utfallsmått som inte representerar livskvalitet utan något annat. Oftast rör det sig om patient-rapporterade skattningsskalor avseende aspekter av upplevd hälsa.

Detta är naturligtvis inte bara mycket olyckligt utan även ologiskt, eftersom det innebär att man därmed antar att god hälsa är detsamma som god livskvalitet (och tvärtom), samt att nedsatt hälsa inte kan vara associerat med god livskvalitet (och tvärtom). För att ”kompensera” för detta motsägelsefulla resonemang används ofta begreppet ”hälso-relaterad livskvalitet”. Detta är dock till föga tröst i den begreppsmässiga förvirringen men är alltså det som egentligen undersöks i det stora flertalet studier som gör anspråk på att uttala sig om ”livskvalitet” vid PS. Här används dock begreppet hälsa och inget annat, i ett försök att tydliggöra vad som faktiskt avses.

Ett relativt stort antal studier har genomförts för att kartlägga vilka faktorer som är väsentliga för upplevd hälsa vid PS. Stora variationer föreligger dock mellan dessa studier då det gäller till exempel vilka faktorer man tagit med i undersökningarna, vilket

försvårar möjligheterna att skapa sig en god samlad bild av kunskapsläget. Exempelvis har flertalet studier inkluderat depression (eller depressiva symtom) som en av de potentiellt bidragande faktorerna, medan endast ett fåtal studier samtidigt tagit hänsyn till vanliga problem såsom trötthet, sömnstörningar och motoriska symtom. En grupp australiensiska forskare gjorde dock en sammanställning av resultaten från 29 olika studier och fann att de aspekter som tycks ha störst betydelse för självrapporterad hälsa vid PS är depression, sjukdomens svårighetsgrad och graden av aktivitetsbegränsningar [1]. I en uppföljande egen studie fann samma forskargrupp att knappt 30 procent av variationen i deltagarnas självrapporterade hälsoproblem direkt kunde förklaras av gångsvårigheter, tidigare förekomst av fall, ålder och hur länge man haft PS. Därutöver fann man indirekta samband med sjukdomens svårighetsgrad samt motorisk och mental funktionsnedsättning [2]. Ur ett svenskt perspektiv undersökte vi betydelsen av en tämligen lång rad motoriska och icke-motoriska symtom för graden av patientrapporterad ”distress” vid PS [3]. ”Distress” är ett engelskt begrepp som inte har någon riktigt bra direkt motsvarighet på svenska men som kan liknas vid ”illabefinnande”. Bland de icke-motoriska sjukdomsaspekter som undersöktes visade sig trötthet, smärta, sömnkvalitet, depression och oro/ångest kunna förklara cirka 80 procent av variationen i patientrapporterad ”distress”, medan dagsömnighet, kognition, tankestörningar/hallucinationer, motivationsförmåga och hur länge man haft PS inte bidrog med något ytterligare förklaringsvärde. Avseende motoriska sjukdomsaspekter var det endast gångsvårigheter som visade sig kunna bidra till att förklara variationen i patientrapporterad ”distress” (med cirka 30 procent), medan Parkinsonsymtom (såsom skakningar, muskelstelhet, förlängsammade rörelser), dyskinesier (ofrivilliga rörelser, ”överrörlighet”), ”on”/”off”-fluktuationer (variationer i symtomsvårighet över dagen) och fall/balansproblem inte bidrog med något ytterligare förklaringsvärde. Att notera i sammanhanget är att flera av de aspekter som undersöktes [3] inte var med i

är viktigt för patientens livskvalitet?

Personer med PS + sjukvårdspersonal	Personer med PS	Sjukvårdspersonal
Livskvalitet	Livskvalitet	Livskvalitet
Gångförmåga	Gångförmåga	Depression
Sömn	Rörlighet	"On"/"off"-fluktuationer
Psykiskt välbefinnande	Psykiskt välbefinnande	Gångförmåga
Sjukdomskontroll	Sömn	Sömn
Rörlighet	Sjukdomskontroll	Fall
Åtsvårigheter	Skakningar	Vanföreställningar
Fall	Social förmåga	Psykiskt välbefinnande
Depression	Åtsvårigheter	Nedstämdhet
Balans	Smärta	Åtsvårigheter

De 10 högst prioriterade utfallen att utvärdera vid behandling av PS enligt personer med PS och sjukvårdspersonal, kombinerat och separat

den tidigare refererade australiensiska studien [2], vilket kan ha bidragit till skillnaderna i resultaten. Sammantaget tycks dock befintliga erfarenheter tala för att gångsvårigheter, depression, trötthet och sömn tillhör de sjukdomsaspekter som är väsentligast för patientrapporterad hälsa och välbefinnande vid PS.

Vilka utfall prioriteras för att bedöma värdet av behandlingar vid PS ur ett patientperspektiv?

I en nyligen genomförd brittisk studie undersöktes vilka forskningsfrågor som anses mest prioriterade inom PS-forskningen [4]. Studien baserade sig på svar från 1000 personer med erfarenhet av PS (varav 60 procent var personer med PS; resten närstående till personer med PS och sjukvårdspersonal). Bland de 10 högst prioriterade forskningsfrågorna märktes bland annat att identifiera de bästa sätten att utvärdera behandlingsresultat. Frågan om vilka utfall som personer med PS anser vara mest väsentliga att utvärdera för att bedöma värdet av behandlingar är dock sparsamt undersökt, trots att den är av central vikt för att sätta behandlingsmål och öka relevansen av resultaten från kliniska behandlingsstudier. Nisenzon och medarbetare i USA bad dock personer med PS att gradera hur viktigt de ansåg vart och ett av 10 förutbestämda utfall vara vid utvärdering av behandlingar. De högst prioriterade områdena var gångförmåga, långsamhet, aktivitetsutförande i dagligt liv, trötthet, stelhet och sömn [5]. Även om dessa resultat är mycket intressanta och relevanta så finns det ett potentiellt problem med

att begränsa sig till 10 förbestämda utfall. Det är exempelvis möjligt att resultatet hade blivit ett annat om andra utfall tagits i beaktande och det kan även finnas högprioriterade utfall som inte tagits med.

För att förstå detta bättre genomförde vi en förutsättningslös, deltagarcentrerad studie bland personer med PS och sjukvårdspersonal med god erfarenhet av PS. Studiens syfte var att kartlägga hur patienter och sjukvårdspersonal ser på och prioriterar vilka utfall som är väsentliga vid utvärdering av behandling vid PS [6, 7]. För att uppnå detta använde vi oss av en metod som kallas "Group Concept Mapping". Först genomfördes ett antal grupptervjuer med personer med PS och sjukvårdspersonal (företrädelsevis läkare och sjuksköterskor), där deltagarna fick identifiera de utfall som de ansåg väsentliga att utvärdera vid behandling av PS. Därefter sorterades de identifierade utfallen konceptuellt, det vill säga personer med PS och sjukvårdspersonal grupperade dem enligt hur de ansåg att de hörde ihop med varandra. Avslutningsvis graderades respektive utfall avseende deras relativa väsentlighet. Totalt identifierades hela 99 väsentliga utfall. Resultaten visade att personer med PS och sjukvårdspersonal hade en relativt samstämmig syn såväl avseende de identifierade utfallens konceptuella gruppering som prioriteringen. Dock framkom även intressanta skillnader, vilka troligtvis reflekterar de olika perspektiv som upplevd erfarenhet respektive biomedicinskt skolad kunskap representerar. Exempelvis tenderade sorteringarna från personer med PS att

uppvisa en bild där motoriska och icke-motoriska, respektive fysiska och mentala aspekter ofta överlappade, medan sjukvårdspersonalens sorteringar gav ett mer uppdelat och separerat mönster. Tabell 1 redovisar de 10 högst prioriterade utfallen vid utvärdering av behandling, såväl gemensamt för personer med PS och sjukvårdspersonal som separat för de båda grupperna.

Som framgår av tabellen ovan är livskvalitet det som prioriterades högst av såväl personer med PS som sjukvårdspersonal. Därutöver var fyra av de 10 högst prioriterade utfallen gemensamma mellan de två grupperna: Gångförmåga, psykiskt välbefinnande, sömn och åtsvårigheter. Rörlighet, sjukdomskontroll, skakningar, social förmåga och smärta rankades bland de 10 viktigaste utfallen av personer med PS men inte av sjukvårdspersonal, medan det motsatta förhållandet sågs avseende depression, "on"/"off"-fluktuationer, fall, vanföreställningar och nedstämdhet. Noteras bör dock att det inte framkom några statistiskt säkerställda skillnader mellan patienternas och personalens graderingar. Intressant att notera är att förutom rörlighet, skakningar och "on"/"off"-fluktuationer så tillhör dessa prioriterade utfall inte de som generellt sett brukar användas som primära utfall i kliniska behandlingsstudier. Detta tyder på att det kan finnas anledning att omvärdera vad som bör ingå i den rutinmässiga utvärdering som sker för att bedöma värdet av behandlingar vid PS för att öka resultatens relevans för såväl personer med PS som för sjukvårdspersonal. För att uppnå detta krävs dock utfallsmått som är av hög kvalitet och som representerar dessa utfall, något som ännu så länge dessvärre saknas för flera av de prioriterade områdena. Inte minst för livskvalitet, som konstaterats ovan.

Slutsatser om livskvalitet

För att återgå till vår inledande frågeställning kan man mot bakgrund av befintliga forskningsresultat konstatera att det mest centrala behandlingsmålet inte helt oväntat är en förbättrad livskvalitet. Ser man till mer konkreta aspekter framstår generellt sett förbättrad gångförmåga, rörlighet, sömn, trötthet, de



→ pression, aktivitetsutförande, ätförmåga, social förmåga och sjukdomskontroll bland de mest angelägna ur ett patientperspektiv. Med tanke på patientperspektivets allt viktigare roll såväl inom sjukvård som forskning finns det all anledning att ta den typ av erfarenheter som presenterats här på största allvar för att öka personcentreringen inom PS-vården. Vi behöver inte bara anpassa vad vi utvärderar när vi bedömer behandlingsresultat, utan även identifiera behandlingar som riktar sig mot dessa problemområden, samt ta fram personcentrerade utfallsmått som möjliggör seriös och högkvalitativ utvärdering och mätning av prioriterade utfall. För utfall såsom trötthet, sömn och gång finns det idag lovande sådana metoder, medan de saknas för andra högprioriterade utfall såsom livskvalitet. Avslutningsvis får man inte glömma bort att PS ofta har unika konsekvenser för den drabbade individen och i det enskilda fallet behöver behandlingsmålen individanpassas. Vården ska vara personcentrerad och i största möjliga mån utgå från individen och hennes unika livsvärld, behov och perspektiv.

Referenser

1. Soh, S.E., M.E. Morris, and J.L. McGinley, Determinants of health-related quality of life in Parkinson's disease: a systematic review. *Parkinsonism Relat Disord*, 2011. 17(1): p. 1-9.
2. Soh, S.E., et al., Determinants of health-related quality of life in people with Parkinson's disease: a path analysis. *Qual Life Res*, 2013. 22(7): p. 1543-53.
3. Sjudahl Hammarlund, C., P. Hagell, and M.H. Nilsson, Motor and non-motor predictors of illness-related distress in Parkinson's disease. *Parkinsonism Relat Disord*, 2012. 18(3): p. 299-302.
4. Deane, K.H., et al., Priority setting partnership to identify the top 10 research priorities for the management of Parkinson's disease. *BMJ Open*, 2014. 4(12): p. e006434.
5. Nisenzon, A.N., et al., Measurement of patient-centered outcomes in Parkinson's disease: What do patients really want from their treatment? *Parkinsonism Relat Disord*, 2011. 17(2): p. 89-94.
6. Sjudahl Hammarlund, C., M.H. Nilsson, and P. Hagell, Measuring outcomes in Parkinson's disease: a multi-perspective concept mapping study. *Qual Life Res*, 2012. 21(3): p. 453-63.
7. Sjudahl Hammarlund, C., et al., Conceptualizing and prioritizing clinical trial outcomes from the perspectives of people with Parkinson's disease versus health care professionals: a concept mapping study. *Qual Life Res*, 2014.



Peter Hagell

ska fakulteten vid Lunds universitet och Region Skåne.

Fotnot: Författaren vill tacka deltagande patienter och sjukvårdspersonal, samt medarbetarna Catharina Sjudahl Hammarlund, Maria H. Nilsson, Markus Idvall och Scott R. Rosas för samarbete kring den egna forskning som ligger till grund för denna artikel och som genomförts inom forskningskonsortiet BAGADILICO (the Basal Ganglia Disorders Linnaeus Consortium), Lunds universitet och med stöd från Vetenskapsrådet, Svenska Parkinsonakademien, Högskolan Kristianstad, Medicinska fakulteten vid Lunds universitet och Region Skåne.

DBS för avancerad Park

Djup hjärnstimulering [Deep Brain Stimulation (DBS)] är numera en ganska vanlig och generellt sett effektiv behandlingsmetod vid avancerad Parkinsons sjukdom (PS). Dubbelt så många män som kvinnor med Parkinson behandlas med DBS i den subthalamiska kärnan (STN), vilket inte motsvaras av andelen kvinnor och män med sjukdomen. Det finns inte någon entydig förklaring till skillnaderna i operationsfrekvens men det pågår undersökningar för att bättre förstå dess orsaker.

TEXT **GUN-MARIE HARIZ**

lektor vid Institutionen för Samhällsmedicin och rehabilitering samt docent i arbetsterapi, Umeå universitet

DET FINNS ENDAST ett fåtal studier som undersökt betydelsen av DBS utifrån patientens kön: till exempel så framkommer det i en undersökning att kvinnor jämfört med män beskriver aktiviteter i det dagliga livet som lättare efter STN DBS, medan en annan studie visar att kvinnor i alla fall inledningsvis har sämre effekt av behandlingen. Inom forskningen efterfrågas därför studier som beskriver och förklarar skillnader och likheter mellan män och kvinnor vad gäller betydelsen av STN DBS, samt orsaken till skillnader i operationsfrekvens mellan könen. Ett bidrag till denna forskning är en studie från Umeå universitet som i samarbete med University College London undersökt skillnader i hälsorelaterad livskvalitet mellan kvinnor och män med avancerad Parkinson, före och cirka ett och ett halvt år efter STN DBS. Förbättrad livskvalitet är det yttersta målet med den kirurgiska behandlingen för Parkinsons sjukdom.

I studien deltog 49 patienter av vilka 18 (37 procent) var kvinnor. Patienternas symptom bedömdes av neurolog medan patienterna

själva värderade sin livskvalitet med hjälp av ett frågeformulär 'Parkinson's Disease Questionnaire' (PDQ-39). PDQ-39 omfattar följande åtta domäner av speciell betydelse för livskvalitet vid PS: Förflyttningar, Det dagliga livets aktiviteter (ADL), Känsломässigt välbefinnande, Stigma (med stigma menas här upplevelsen av eventuella sociala begränsningar på grund av sjukdomen), Socialt stöd, Kognition, Kommunikation och Kroppsligt obehag. PDQ-39 ger också ett sammanfattande mått eller ett så kallat index på patientens livskvalitet.

FÖRE OPERATIONEN FANNS inte någon skillnad mellan kvinnor och män vad gäller sjukdomens varaktighet, patienternas ålder eller grad av motoriska symptom, däremot hade kvinnor lägre medicin dos än männen. Livskvalitets-skattningarna före operationen visade att kvinnorna hade större svårigheter med förflyttningar jämfört med männen, medan männen beskrev större svårigheter att kommunicera. I övrigt framkom inte några skillnader vad gäl-