

INFORMACIJSKI LISTIĆ

NASLOV ISTRAŽIVANJA: QoL4Dravet – Mjerenje kvalitete života kod sindroma Dravet

SPONZOR: Istraživanje je pokrenula Dravet sindrom Europska Federacija (DSEF).

UVOD, CILJEVI I OBRADA PODATAKA

Pozivamo Vas da sudjelujete u znanstvenom istraživanju usmjerenom na kvalitetu života osoba pogođenih sa sindromom Dravet (DS) i njihovih obitelji. Mjerenje kvalitete života ove populacije i njihovih skrbnika ključno je za razumijevanje i prepoznavanje složenosti negativnog utjecaja DS-a te mogućeg nedostatka resursa s kojima obitelji raspolažu u suočavanju s bolešću.

Ciljevi

1. Stvoriti dokaze temeljene na ishodima koje prijavljuju pacijenti (PRO, eng. *Patient Reported Outcomes*) o kvaliteti života osoba s DS-om i njihovih obitelji.
2. Stvoriti početni skup podataka koji će se koristiti za:
 - analizu podataka i objavljivanje rezultata u znanstvenim člancima s ciljem podizanja svijesti o DS-u;
 - dijeljenje glavnih rezultata putem web stranice DSEF-a i društvenih mreža;
 - kasniju upotrebu rezultata od strane istraživača i kliničara.

Obrada podataka

Prikupljeni podaci bit će anonimni. Osobni ili identifikacijski podaci sudionika neće se prikupljati izravno ni neizravno putem ankete. Podaci će se obrađivati samo u agregiranom obliku za svrhu istraživanja opisanu u ovom dokumentu, a ne za bilo koje druge svrhe. Podaci će se čuvati u digitalnim arhivima/platformama u skladu s istraživačkim ciljevima te uz osiguranje zaštite i sigurnosti prikupljenih informacija. Prilikom dijeljenja rezultata upitnika osigurat ćemo da nijedna osoba ne može biti identificirana.

ANKETA

Sljedećim informacijama želimo vam pružiti točne i dostatne podatke kako biste mogli donijeti svjesnu odluku o sudjelovanju u ovom istraživanju. Molimo vas da pažljivo pročitate ove informacije, a ako imate bilo kakva pitanja, obratite nam se na: info@dravet.eu

Karakteristike ankete

- **JEDNOSTAVNOST** – Anketa je kratka i jednostavna, s 31 pitanjem i prosječnim vremenom ispunjavanja od oko 20 minuta. Prevedena je na 11 jezika: engleski, španjolski, talijanski, francuski, njemački, nizozemski, poljski, norveški, hrvatski, portugalski i srpski.
- **PRILAGOĐEN SINDROMU DRAVET** – Anketa je razvijena uzimajući u obzir najnovija saznanja (uz obavljanu temeljitu reviziju prethodnih radova) i revidiran od strane multidisciplinarnog panela stručnjaka za DS, uključujući i predstavnike pacijenata.
- **DVOJNA PERSPEKTIVA** – Prilikom ispunjavanja ankete možete odabrati jednu ili obje dostupne opcije:

1. Ispunjavanje ankete kao skrbnik,
2. Ispunjavanje ankete iz perspektive Vašeg djeteta s DS-om.

Važno je da sudionici odgovaraju i u svoje ime kao skrbnici i u ime voljene osobe s DS-om. Prilikom odgovaranja u ime osobe s DS-om, skrbnici trebaju održavati promatrački pristup, gdje god je to moguće, te odgovarati na temelju uočenih događaja i prethodnih iskustava.

Uvod

Ovaj upitnik se fokusira na **kvalitetu života osoba pogođenih DS-om i njihovih obitelji**. DS je rijetka bolest koju karakterizira razvojna i epileptička encefalopatija s epileptičkim napadajima koji se pojavljuju u ranoj životnoj dobi uz farmakorezistentnost te uzrokuje ozbiljna kognitivna i motorička oštećenja kao i teškoće ponašanja (Dravet, 2011), praćen tvrdokornim napadajima i oštećenjem govora i pokretljivosti, teškoćama učenja i poremećajima spavanja (Lagae i sur., 2019.; Skluzacek i sur., 2011.; Villas i sur., 2017.).

Ova populacija ima visok rizik od iznenadne smrti zbog ponavljajućih napadaja, što izaziva vrlo visoku razinu zabrinutosti skrbnika (Nolan i sur., 2016.; De Liso i sur., 2016.).

Sve navedeno dovodi do smanjenja kvalitete života i same djece s DS-om i njihovih skrbnika (Wolff i sur., 2006.).

Trenutno je terapija usmjerena na kontrolu epileptičkih napadaja kod osoba s DS-om, obično primjenom ili kombiniranjem antikonvulzivnih lijekova, koji u pravilu nisu kurativni te često uzrokuju nuspojave poput umora, kognitivnih teškoća ili teškoća ponašanja, a njihova je primjena složena za skrbnike (Chiron & Dulac, 2011.; Genton, 2000.).

Nedavna istraživanja izvijestila su o negativnim učincima DS-a na skrbnike, uglavnom ističući utjecaj na njihovo tjelesno i mentalno zdravlje, kao i na društvene odnose i ekonomske resurse, predlažući da DS značajno utječe na njihove živote (Jesen i sur., 2017.).

Također je predloženo da je kvaliteta života maloljetnika s DS-om lošija u usporedbi s općom populacijom, osobito kada su epileptički napadaji češći i ozbiljniji (Lagne i sur., 2018.).

Oboljelima s DS-om potrebna je kontinuirana i složena podrška, što ima velik utjecaj na kvalitetu života cijele obitelji (Nolan i sur., 2008.).

Stvaranje specifične ankete za procjenu kvalitete života ove populacije i njihovih skrbnika ključno je za razumijevanje i prepoznavanje složenosti negativnog utjecaja DS-a te isticanje nedostatka resursa kojima obitelji raspolažu za suočavanje s izazovima bolesti.

Konceptualizaciju projekta promovirali su glavni znanstveni direktor DSEF-a i upravni odbor DSEF-a, koji su surađivali sa Sveučilištem u Nebriji u različitim fazama razvoja ankete, kojom je koordinirao prof. dr. Jon Andoni Duñabeitia.

Kreacija i validacija ankete: metodologija

Kreiranje i validiranje ankete obuhvatilo je sljedeće faze:

Faza 1.

Razvoj: Kreirani su konstrukti i stavke usmjerene na procjenu kvalitete života oboljelih s DS-om i njihovih obitelji, s posebnim naglaskom na socijalno, psihološko, obiteljsko i ekonomsko područje.



Početna faza ovog rada oslanjala se na skup podataka razvijen od strane Salom i suradnika (2023). Istraživanje pod naslovom *Childhood Rare Epilepsy Social Impact Assessment* (CRESIA) uključivala je prikupljanje podataka od značajnog broja sudionika — 298 ispitanika, među kojima su bili skrbnici djece s dijagnosticiranim DS-om. Za odabir stavki s najvećom opisnom snagom u procjeni kvalitete života osoba s DS-om i njihovih obitelji, provedena je deskriptivna analiza odgovora po stavkama i skupinama.

Nakon početne deskriptivne analize, kojoj je cilj bio određivanje potrebnih skupa stavki, provedena je validacijska analiza za validaciju strukture instrumenta za procjenu kvalitete života (QoL, eng. *Quality of Life*) i osiguravanja da konačan skup stavki pouzdano predstavlja ključna područja od interesa. Primjenom validacijske analize istraživačka je skupina željela testirati hipotezu da odabrane stavke iz početnog skupa učinkovito obuhvaćaju specifične aspekte kvalitete života kojim su jedinstveno pogođeni oboljeli s DS-om.

Validacijska analiza ključan je korak u razvoju i validaciji mjernih instrumenata, osobito kada se nastoji točno obuhvatiti složene konstrukte poput kvalitete života (QoL). Ona se razlikuje od eksploracijske analize koja identificira moguće obrasce ili odnose u podacima bez prethodno postavljenih hipoteza.

Validacijska analiza testira specifične hipoteze ili modele formulirane na temelju prethodnih saznanja, teorija ili početnih nalaza, te pruža strukturiran način provjere ponašaju li se odabrane stavke očekivano u mjerenju ciljanog konstrukta, u ovom slučaju kvalitete života kod oboljelih s DS-om.

Faza 2.

Istraživanje validacije sadržaja i odabir početne verzije ankete: nakon evaluacije, anketa je ocijenjena od strane međunarodnih zdravstvenih stručnjaka za DS te članova obitelji pogođenih osoba. Stavke su izmijenjene, uklonjene ili dopunjene prema njihovim povratnim informacijama.

Faza 3.

Analiza konstrukcijske validacije: varijable su grupirane na različite čimbenike kako bi se istražilo definiraju li stavke stabilnu dimenzionalnu strukturu ankete.

Faza 4.

Analiza pouzdanosti instrumenta: reprezentativna populacija koja je ispunjavala kriterije uključenja i isključenja ispunila je anketu, nakon čega je provedena statistička analiza za utvrđivanje pouzdanosti rezultata.

Područja uključena u anketu

- ✓ Sociodemografski podaci: struktura obitelji, financijska situacija, razina obrazovanja i odgovornosti skrbnika.
- ✓ Zdravstveno stanje oboljele osobe: broj i ozbiljnost napadaja, posjete bolnici, trenutna terapija i lijekovi.
- ✓ Mentalno blagostanje: emocionalni teret, razina stresa i opće životno zadovoljstvo oboljelih osoba i njihovih obitelji.
- ✓ Socijalna podrška: zadovoljstvo društvenim odnosima, osjećaj izoliranosti ili dostupnost mreža podrške.



- ✓ Tjelesno zdravlje i svakodnevno funkcioniranje: kvaliteta sna, tjelesna nelagoda i sposobnost brige o sebi.
- ✓ Pristup zdravstvenoj skrbi i uslugama podrške: korištenje terapija, financijsko opterećenje i nedostaci skrbi.

ISTRAŽIVAČKI TIM

Upitnik je razvio Istraživački centar Nebrija za kogniciju (CINC) pri Sveučilištu u Nebriji, pod vodstvom prof. dr. Jon Andoni Duñabeitia. Tim se sastoji od stalnih mlađih i starijih znanstvenika, istraživača u obuci i priznatih međunarodnih suradnika. Ukupno je sudjelovalo 27 istraživača: 20 doktora znanosti i 7 doktoranda.

CINC vodi vrlo konkurentne javne i privatne istraživačke projekte koje financiraju Zaklada BBVA, Državna agencija za istraživanje Španjolske vlade i Zajednica Madrid.

KORISTI I RIZICI SUDJELOVANJA U ISTRAŽIVANJU

Sudjelovanje u ovom istraživanju ne nosi nikakve rizike. Sudjelovanje neće donijeti izravne koristi sudionicima, ali se nadamo da će istraživanje doprinijeti boljoj procjeni kvalitete života oboljelih i obitelji pogođenih DS-om te donijeti korisne zaključke za poboljšanje njihova života.

FINANCIJSKA NAKNADA

Sudjelovanje u istraživanju ne uključuje nikakvu financijsku naknadu.

HVALA NA VAŠOJ SURADNJI!