



INFORMACIONI LIST

NASLOV ISTRAŽIVANJA: QoL4Dravet – Merenje kvaliteta života kod Dravetovog sindroma

SPONZOR: Studiju promoviše Evropska federacija za Dravetov sindrom (DSEF).

UVOD, CILJEVI I OBRADA PODATAKA

Pozivamo vas da učestvujete u naučnom istraživanju fokusiranom na kvalitet života osoba pogođenih Dravetovim sindromom (DS) i njihovih porodica. Merenje kvaliteta života ove populacije i njihovih negovatelja je ključno za razumevanje i identifikaciju složenosti negativnog uticaja DS-a i za isticanje nedostatka resursa koje porodice imaju da se suoče s njim.

Ciljevi

1. Stvaranje dokaza zasnovanih na PRO (Ishodi prijavljeni od strane pacijenata) o kvalitetu života osoba sa DS-om i njihovih porodica.
2. Stvaranje početnog skupa podataka koji će se koristiti za:
 - analizu podataka i objavljivanje rezultata u naučnim člancima za podizanje svesti o DS-u;
 - diseminaciju glavnih nalaza putem web stranice DSEF-a i njegovih društvenih kanala;
 - dalje korišćenje od strane istraživača i kliničara.

Obrada podataka

Prikupljeni podaci će biti anonimni. Niti direktni niti indirektni lični podaci učesnika neće biti prikupljeni putem upitnika. Podaci će se obrađivati samo u agregatnom obliku za svrhe istraživanja opisane ovde, a ne za druge ciljeve. Podaci će biti čuvani u digitalnim arhivama/platformama u skladu sa svrhom istraživanja, uz osiguranje zaštite i sigurnosti prikupljenih informacija. Kada se rezultati upitnika budu delili, osiguraćemo da nijedna osoba ne može biti identifikovana.

UPITNIK

Ovim informacijama želimo da vam pružimo tačne i dovoljne informacije kako biste mogli svesno da odlučite da li želite da učestvujete u istraživanju. Molimo vas da pažljivo pročitate ove informacije, a ukoliko imate bilo kakva pitanja, pišite nam na: info@dravet.eu

Karakteristike upitnika

- **JEDNOSTAVNOST** – Upitnik je kratak i jednostavan, sa 31 pitanjem i prosečnim vremenom popunjavanja od oko 20 minuta. Preveden je na 11 jezika: engleski, španski, italijanski, francuski, nemački, holandski, poljski, norveški, hrvatski, portugalski, srpski.
- **SPECIFIČNOST ZA DRAVET** – Upitnik je razvijen na osnovu najnovijih saznanja i revidiran od strane multidisciplinarnog panela stručnjaka za Dravetov sindrom, uključujući i predstavnike pacijenata.
- **DVOJNA PERSPEKTIVA**– Prilikom popunjavanja, možete birati da odgovarate:
 1. kao negovatelj;

2. iz perspektive vašeg deteta sa Dravetovim sindromom.

Važno je da učesnici odgovore i kao negovatelji i u ime osobe sa DS-om. Prilikom odgovaranja u ime osobe sa DS-om, treba održavati posmatrački pristup i odgovore temeljiti na posmatranim događajima i iskustvima.

Uvod

Ovaj upitnik fokusira se na kvalitet života osoba pogođenih Dravetovim sindromom (DS) i njihovih porodica.

DS je retka bolest koju karakteriše razvojna encefalopatija sa epileptičnim napadima koji pogađaju decu u ranom uzrastu, rezistentna je na lekove i izaziva ozbiljna kognitivna, ponašajna i motorička oštećenja (Dravet, 2011), praćena upornim napadima i poremećajima govora, pokretljivosti, učenja i sna (Lagae i saradnici, 2019; Skluzacek i saradnici, 2011; Villas i saradnici, 2017).

Ova populacija je u visokom riziku od iznenadne smrti zbog ponovljenih napada, što izaziva veoma visok nivo zabrinutosti kod roditelja (Nolan i saradnici, 2016; De Liso i saradnici, 2016).

Sve ovo dovodi do smanjenja kvaliteta života kako same dece sa DS-om, tako i njihovih negovatelja (Wolff i saradnici, 2006).

Trenutno su tretmani fokusirani na kontrolu napada kod dece sa DS-om, obično primenom ili kombinovanjem antiepileptičkih lekova, koji uglavnom nisu kurativni i nose nuspojave poput umora, kognitivnih ili ponašajnih smetnji, a njihova primena je složena za negovatelje (Chiron & Dulac, 2011; Genton, 2000).

Nedavna istraživanja ukazala su na negativne efekte DS-a na negovatelje, pre svega na fizičko i mentalno zdravlje, ali i na društvene odnose i ekonomske resurse, sugerišući da DS ima veliki uticaj na njihove živote (Jesen i saradnici, 2017).

Takođe je sugerisano da je kvalitet života maloletnih osoba sa DS-om niži u poređenju sa opštom populacijom, naročito kada su napadi češći i teži (Lagne i saradnici, 2018).

Pacijentima sa DS-om potrebna je kontinuirana i kompleksna podrška, koja značajno utiče na kvalitet života cele porodice (Nolan i saradnici, 2008).

Kreiranje specifičnog upitnika za procenu kvaliteta života ove populacije i njihovih negovatelja od suštinskog je značaja za razumevanje i identifikaciju složenosti negativnog uticaja DS-a, kao i za ukazivanje na nedostatak resursa koje porodice imaju na raspolaganju za suočavanje sa tim izazovima.

Konceptualizaciju projekta promovisali su glavni naučni direktor DSEF-a i upravni odbor DSEF-a, koji su saradivali sa Univerzitetom Nebrija u različitim fazama izrade upitnika, a koordinirao je prof. dr Jon Andoni Dunabeitia.

Kreacija i validacija upitnika: metodologija

Kreiranje i validacija upitnika obuhvatili su sledeće faze:

Faza 1.

Razvoj: Kreirani su konstrukti i stavke usmereni na procenu kvaliteta života pacijenata sa Dravetovim sindromom (DS) i njihovih porodica, sa posebnim fokusom na socijalne, psihološke, porodične i ekonomske aspekte.



draveturope

Dravet Syndrome European Federation

Početna faza ovog rada zasnivala se na skupu podataka koji su razvili Salom i saradnici (2023). Studija *Childhood Rare Epilepsy Social Impact Assessment* (CRESIA) obuhvatila je prikupljanje podataka od značajne kohorte — 298 učesnika, među kojima su bili roditelji dece sa dijagnostikovanim Dravetovim sindromom.

Za izbor stavki sa najvećom deskriptivnom snagom u proceni kvaliteta života osoba sa DS-om i njihovih porodica sprovedena je deskriptivna analiza odgovora po stavkama i grupama. Nakon početne deskriptivne analize, čiji je cilj bio pročišćavanje skupa stavki, sprovedena je konfirmatorna analiza kako bi se validirala struktura instrumenta za procenu kvaliteta života (QoL) i osiguralo da konačan skup stavki pouzdano predstavlja relevantne konstrukte. Primenom konfirmatorne analize, istraživački tim je imao za cilj da testira hipotezu da odabrane stavke iz početnog skupa efikasno obuhvataju specifične aspekte kvaliteta života koji su jedinstveno pogođeni kod pacijenata sa DS-om.

Konfirmatorna analiza predstavlja ključni korak u razvoju i validaciji mernih instrumenata, posebno kada se želi tačno obuhvatiti složen konstrukt poput kvaliteta života (QoL).

Ona se razlikuje od eksploratorne analize, koja identifikuje moguće obrasce ili odnose u podacima bez prethodno postavljenih hipoteza.

Konfirmatorna analiza testira specifične hipoteze ili modele formulisane na osnovu prethodnog znanja, teorije ili početnih nalaza, i pruža strukturisan način da se proveri da li se odabrane stavke ponašaju u skladu sa očekivanjima pri merenju osnovnog konstrukta — u ovom slučaju kvaliteta života kod pacijenata sa Dravetovim sindromom.

Faza 2.

Studija sadržajne validnosti i izbor početne verzije upitnika: Nakon završetka inicijalne evaluacije, sproveden je dvostruki proces ocenjivanja od strane sudija. S jedne strane, instrument su ocenjivali međunarodni medicinski stručnjaci za Dravetov sindrom (DS). S druge strane, sprovedena je evaluacija od strane članova porodica osoba pogođenih DS-om. Nakon ocenjivanja od strane sudija, stavke su modifikovane, eliminisane ili dopunjene na osnovu njihovih komentara i sugestija.

Faza 3.

Analiza konstrukcione validnosti: Varijable su grupisane u različite faktore kako bi se istražilo i utvrdilo da li odnosi među stavkama definišu stabilnu dimenzionalnu strukturu upitnika.

Faza 4.

Analiza pouzdanosti instrumenta: U istraživanju je učestvovala reprezentativna populacija koja je ispunjavala kriterijume uključivanja i isključivanja.

Nakon što su učesnici popunili upitnik, sprovedena je statistička analiza sa ciljem određivanja pouzdanosti instrumenta.

Upitnik pokriva sledeće oblasti:

- ✔ Sociodemografski podaci: Struktura porodice, finansijska situacija, nivo obrazovanja, odgovornosti u nezi.
- ✔ Zdravstveno stanje pogođene osobe: Broj i težina napada, posete bolnici, trenutni tretmani i lekovi.
- ✔ Mentalno blagostanje: Emocionalno opterećenje, nivo stresa i opšte životno zadovoljstvo.



draveteuropa

Dravet Syndrome European Federation

- ✔ **Socijalna podrška:** Zadovoljstvo društvenim odnosima, osećaj izolacije, dostupne mreže podrške.
- ✔ **Fizičko zdravlje i upravljanje svakodnevnim životom:** Kvalitet sna, fizička nelagodnost i sposobnost za samostalnu brigu.
- ✔ **Pristup medicinskoj nezi i uslugama podrške:** Korišćenje terapija, finansijsko opterećenje, nedostaci u nezi.

ISTRAŽIVAČKI TIM

Upitnik je razvijen od strane Istraživačkog centra za kogniciju Nebrija univerziteta, pod vođstvom prof. dr Jon Andoni Duñabeitie. Tim čine stalni junior i senior istraživači, istraživači u obuci i renomirani međunarodni saradnici. Centar broji ukupno 27 istraživača: 20 iskusnih doktora nauka i 7 doktoranata. Centar predvodi visoko konkurentne projekte finansirane od strane BBVA fondacije, Državne agencije za istraživanje španske vlade i Zajednice Madrida.

KORISTI I RIZICI UČESTVOVANJA U ISTRAŽIVANJU

Učešće u ovom istraživanju ne nosi nikakav rizik. Učešće neće doneti direktne koristi učesnicima, ali se nadamo da će doprineti boljem razumevanju kvaliteta života pacijenata i porodica pogođenih DS-om, kao i donošenju korisnih zaključaka za poboljšanje njihovog života.

FINANSIJSKA NAKNADA

Učešće u istraživanju ne podrazumeva nikakvu finansijsku naknadu.

HVALA NA VAŠOJ SARADNJI!