

Traduzione a cura di:
 Infermiere DANIELA MOSCI e MARIA CRISTINA ROBB
 in collaborazione con D.D.S.I. Paolo Chiari
 Centri studi EBN - Direzione Servizio Infermieristico e Tecnico
 Azienda Ospedaliera di Bologna – Policlinico S.Orsola-Malpighi
 Via Massarenti, 9
 40138 Bologna, Italia

Tel. e Fax. 051 6363049

E-mail: ebn@orsola-malpighi.med.unibo.it

Web: http://www.med.unibo.it/reparti_servizi/servinfer/homepage.html

IDENTIFICAZIONE DEI DISEGNI DI RICERCA CHE MEGLIO SI ADATTANO ALLA DOMANDA. PARTE 1°: DISEGNI QUANTITATIVI

L'Evidence Based Nursing si occupa di applicare le migliori evidenze a specifici quesiti clinici. I diversi tipi di quesiti richiedono che le evidenze provengano da differenti disegni di ricerca. Nessun disegno da solo ha la precedenza su di un altro, piuttosto il disegno scelto deve essere adatto allo specifico quesito di ricerca. I quesiti inerenti le cause, la prognosi, le diagnosi, la prevenzione, il trattamento o i problemi di economia sanitaria sono risolti meglio se si utilizzano disegni quantitativi, mentre le domande inerenti al significato dell'esperienza di malattia trovano risposte migliori utilizzando studi qualitativi. Esistono molti tipi di ricerche qualitative e quantitative ed ognuna ha una finalità specifica, una propria forza e propri limiti. In questo editoriale saranno evidenziati gli studi quantitativi più rigorosi, finalizzati a quesiti sulla prevenzione, sul trattamento, sulle cause o sulla prognosi. Il prossimo editoriale descriverà l'uso dei disegni qualitativi per rispondere a domande inerenti al significato dell'esperienza.

Lo studio randomizzato e controllato (RCT) è il

disegno di ricerca più adatto per i quesiti volti a verificare se gli interventi sanitari comportano benefici (ad esempio se fanno più bene che male). Un RCT è un vero esperimento nel quale le persone sono distribuite in modo casuale al fine di ricevere un nuovo intervento (gruppo sperimentale) o per ricevere un intervento convenzionale o nessun intervento (gruppo di controllo). Dato che l'inserimento in un gruppo o nell'altro è solo opera del caso, la sola differenza sistematica tra i due gruppi deve essere rappresentata dall'intervento. I ricercatori seguono i partecipanti nel corso del tempo (follow up) e quindi valutano se hanno presentato uno specifico esito (outcome) – Figura 1. I due punti di forza degli RCTs sono rappresentati dalla collocazione casuale dei partecipanti ai due gruppi, che permette di essere sicuri che siano simili in tutto tranne che per l'esposizione all'intervento, e la natura longitudinale dello studio, per mezzo della quale l'esposizione all'intervento precede lo sviluppo di qualsiasi outcome.

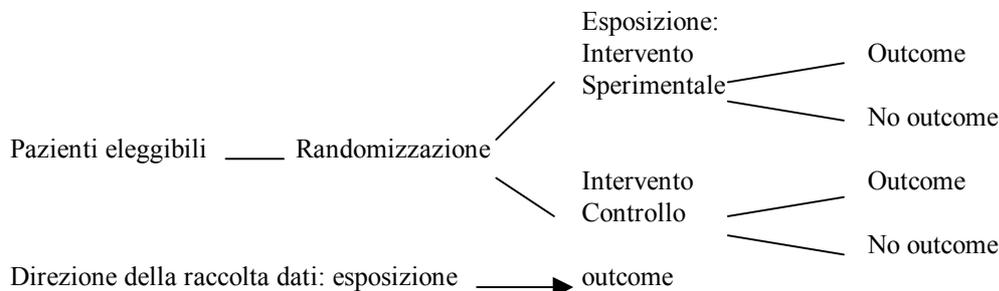


Fig. 1 Trial randomizzato e controllato

Queste due caratteristiche assicurano che qualsiasi differenza negli esiti possa essere attribuita all'intervento. Lo svantaggio di questo tipo di studio è dato dagli alti costi del trial, dal lungo periodo di

follow up prima che i pazienti manifestino gli esiti e dalla possibilità che i pazienti che aderiscono allo studio siano differenti rispetto a quelli ai quali i risultati dello studio saranno applicati (generalizzazione).

QUESITI SULL'EFFICACIA DEGLI INTERVENTI DI PREVENZIONE E TRATTAMENTO

Se siete studenti infermieri e volete individuare un intervento efficace per prevenire il vizio del fumo tra gli adolescenti, dovrete cercare le evidenze negli RCTs. Un esempio è fornito da uno studio nel quale alcune scuole sono collocate in modo randomizzato nel gruppo sperimentale, nel quale gli studenti ricevono un intervento innovativo che è stato insegnato in piccoli gruppi e permette agli adolescenti l'opportunità di mettere in atto dei comportamenti volti ad evitare il fumo, mentre gli studenti collocati nel gruppo di controllo ricevono la letteratura tradizionale riguardante gli effetti del fumo. Gli studenti sono seguiti per diversi anni ed i dati sono raccolti e confrontati con il numero di studenti in ogni gruppo che ha iniziato a fumare. Nella maggior parte degli RCTs le persone sono collocate nei due gruppi in modo randomizzato. In questo studio, le scuole sono le unità di randomizzazione per ridurre la probabilità che gli studenti discutano le loro esperienze sull'intervento con gli studenti del gruppo di controllo. Per evitare questa contaminazione, i ricercatori spesso

compiono la randomizzazione all'interno di unità come le classi, le scuole, o le comunità. Se voi siete degli infermieri e vi chiedete se dovrete suggerire l'uso di gomme da masticare alla nicotina per aiutare i fumatori ad abbandonare il fumo, dovrete nuovamente cercare le evidenze all'interno di RCTs. In questi studi i fumatori sono distribuiti in modo randomizzato nel gruppo sperimentale, nel quale viene utilizzata la gomma da masticare alla nicotina, o nel gruppo di controllo, nel quale viene utilizzata una gomma da masticare che, pur avendo lo stesso aspetto e lo stesso sapore di quella alla nicotina, non contiene nessun principio attivo (gruppo di controllo). I due gruppi sono tenuti sotto controllo e vengono raccolti e confrontati i dati relativi a coloro che hanno smesso di fumare. I lettori di questa rivista noteranno che tutti gli studi sui trattamenti che abbiamo riassunto sono RCTs. Un esempio contenuto in questo numero è lo studio condotto da Macknin (p. 13) sull'efficacia delle compresse di zinco sui sintomi del raffreddore nei bambini. Vi sono occasioni in cui la valutazione degli interventi mediante l'uso di RCTs non è né etico, né fattibile. In questo caso dobbiamo ricorrere a studi meno rigorosi come gli studi di coorte analitici (anche conosciuti come studi controllati).

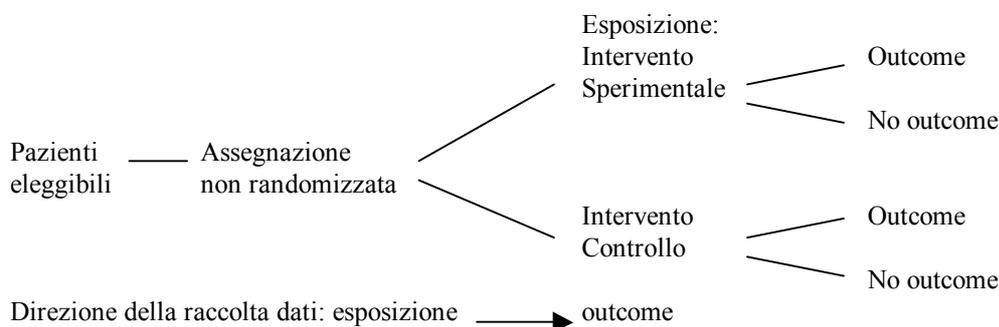


Fig. 2 Studio analitico di coorte

Questo disegno di studio è simile ad un RCT, in quanto vi è il confronto tra due gruppi, di cui uno è sottoposto all'intervento sperimentale mentre l'altro no, che vengono seguiti nel tempo per determinare chi sperimenta l'esito di interesse. La differenza importante tra i due disegni è l'assenza dell'assegnazione randomizzata ai gruppi di studio; negli studi di coorte spesso i partecipanti scelgono se essere sottoposti all'intervento, oppure è il clinico che compie questa valutazione. (fig. 2). Questo è un limite importante perché i gruppi possono differire per aspetti diversi dall'esposizione all'intervento studiato. Le differenze tra i gruppi negli esiti, alla fine dello studio, possono essere correlate a delle diversità presenti anche prima del trattamento sperimentale (differenze di base). Può sembrare che l'intervento abbia avuto un effetto sull'outcome

quando, di fatto, è stata la differenza iniziale a influenzare l'outcome.

Riprendiamo l'esempio del programma di prevenzione del fumo nelle scuole, se le scuole non fossero state d'accordo con l'assegnazione randomizzata ai gruppi, anziché portare avanti uno studio randomizzato, si poteva effettuare uno studio di coorte. In questo tipo di studio sarebbero state contattate diverse scuole e ad ognuna sarebbe stato chiesto di partecipare al gruppo sperimentale o al gruppo di controllo. Senza l'assegnazione casuale ai gruppi è possibile che le scuole che hanno chiesto di entrare nel gruppo sperimentale differiscano da quelle che hanno scelto di non ricevere l'intervento sperimentale, e questo può influenzare gli outcome (ad esempio lo stato socioeconomico, o le abitudini dei genitori al fumo). I risultati dello studio possono

dimostrare che gli studenti, che hanno ricevuto l'intervento innovativo, sono stati meno propensi al fumo; tuttavia questo esito può esser stato influenzato da una caratteristica di base del gruppo piuttosto che dall'intervento. In altre parole, questo gruppo sarebbe stato meno propenso al fumo anche se non avesse ricevuto l'intervento sperimentale. Anche se i ricercatori documentano le differenze nelle caratteristiche di base del gruppo o usano delle tecniche statistiche per regolare le differenze, altri fattori, che non vengono considerati, possono essere responsabili delle differenze degli outcome.

Tornando all'esempio del disegno di coorte analitico per la gomma da masticare alla nicotina, esse sono state offerte ai fumatori che volevano smettere di fumare e quelli che hanno scelto di assumerla (gruppo sperimentale) sono stati confrontati successivamente a coloro che hanno scelto di non assumerla (gruppo di controllo). Il limite maggiore di questo studio è ancora quello che i fumatori che hanno scelto di assumere la gomma con la nicotina possono essere differenti da coloro che hanno scelto di non assumerla. La gomma da masticare alla nicotina può dimostrare un aumento del tasso di abbandono, quando, nei fatti, l'aumento è causato da variabili quali la motivazione più forte a smettere di fumare, la minore età, o un minor numero di anni di fumo.

QUESITI SULLA CAUSA DEI PROBLEMI DI SALUTE O DELLE MALATTIE

L'RCT è il disegno più rigoroso per determinare se alcuni fattori (esposizione) causano un esito. Usando questo tipo di disegno, i partecipanti sono distribuiti, in modo randomizzato, a seconda che siano o non siano esposti a un potenziale agente causale, e quindi seguiti per confrontare il numero delle persone, in ciascun gruppo, che sperimentano l'esito. Nei quesiti che riguardano le cause, comunque, può non essere etico o fattibile collocare in modo randomizzato le persone rispetto all'esposizione ad un agente

causale. La migliore evidenza successiva viene dagli studi di coorte analitici. In questo tipo di disegno, l'investigatore segue le persone che sono state esposte o no all'agente causale. La forza maggiore degli RCTs e degli studi di coorte analitici è che i soggetti che entrano nello studio non hanno ancora sperimentato l'esito. L'investigatore è certo, quindi, che l'esposizione all'agente causale (il fumo) precede lo sviluppo dell'esito (cancro del polmone). Questo problema di temporalità, che l'agente causale precede lo sviluppo dell'esito, è cruciale per stabilire la relazione causale.

Quando l'esito di interesse è raro, o richiede un lungo periodo di sviluppo, né gli RCTs né gli studi di coorte analitici possono essere fattibili. In queste circostanze è spesso usato un disegno caso controllo. In un disegno caso controllo i pazienti con l'esito di interesse (i casi) e i pazienti senza tale esito (i controlli) sono individuati e, quindi, l'investigatore determina se essi sono stati esposti precedentemente all'agente causale (fig. 3). L'investigatore è in grado di mettere a confronto il caso e i pazienti di controllo su variabili importanti che possono influenzare gli esiti (per esempio l'età, il sesso e altre condizioni di salute). In questo modo, i gruppi sono il più simile possibile e lo specifico effetto dell'agente causale sull'esito può essere esaminato in modo più sicuro. Le forze di questo tipo di disegno sono rappresentate dal fatto che permette la valutazione della causa quando l'esito è raro, o richiede molto tempo per svilupparsi, e che include un gruppo di controllo. Le limitazioni sono le difficoltà nello stabilire che l'esposizione avvenga realmente prima dell'esito (temporalità), che ottenga informazioni accurate sull'esposizione all'agente causale che si è verificata nel passato (relativo all'accuratezza della memoria delle persone o sulla completezza e l'accuratezza delle registrazioni mediche), e, identificando un gruppo di controllo, che esso sia simile in tutti gli altri fattori che possono aver influenzato l'esito.

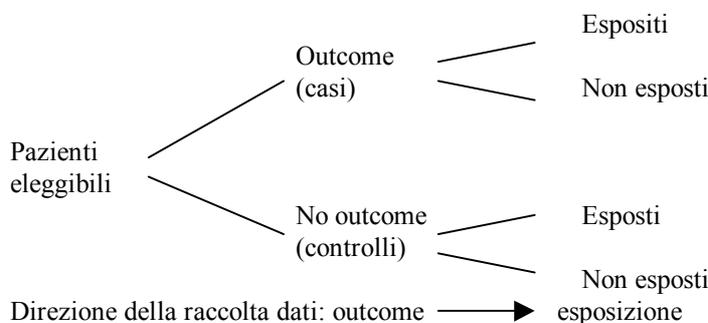


Fig. 3 Studio caso controllo

Quando stiamo considerando se fumare provoca il

cancro del polmone, non è etico randomizzare i partecipanti facendoli fumare o non fumare e quindi

seguirli per determinare se sviluppano il tumore al polmone; quindi un RCT è impossibile. Gli studi di coorte analitici vengono condotti da investigatori che seguono un gruppo di fumatori e un gruppo di non fumatori, che vengono messi a confronto per più variabili esplicative possibili. Comunque, vista la lunghezza dei tempi che intercorrono prima che si sviluppi il cancro al polmone, questi studi richiedono molti anni per essere completati. Gli studi caso controllo sono spesso un'opzione più fattibile, quando la malattia in questione è rara e quando gli studi di coorte analitici dovrebbero essere estremamente ampi e costosi per identificare un numero sufficiente di persone che sviluppano la malattia. Usando un disegno caso controllo, per l'esempio del fumo e del cancro al polmone, le persone con tumore al polmone sono messe a confronto per diverse variabili importanti con persone senza tumore al polmone. Tutti i partecipanti sono intervistati sui loro passati comportamenti di fumatori, e il numero di fumatori di ogni gruppo viene confrontato per vedere se quelli con il tumore al polmone hanno più probabilità di essere fumatori. Un esempio di studio caso controllo, che esamini una relazione causale, in questo numero, è lo studio di Woodward e al. (p. 25) sulla relazione tra lo stile educativo dei figli e l'aumento

dell'iperattività nei bambini in età scolare.

QUESITI SUL DECORSO DI UNO STATO DI SALUTE O DI MALATTIA (PROGNOSI)

Quando siamo interessati alla probabilità che le persone sperimentino o sviluppino un risultato, dato dalla loro esposizione ad una malattia, una condizione o una situazione il miglior disegno è uno studio di coorte. Un esempio di un quesito di prognosi, che è apparso nel precedente numero di Evidence Based Nursing, si chiedeva se i bambini pretermine e piccoli per l'età gestazionale hanno più probabilità di avere ritardi cognitivi e motori durante la prima infanzia (Hutton et al, Jan 1998, p. 19). In questo esempio la condizione è essere pretermine e piccolo per l'età gestazionale. Un esempio di un quesito di prognosi che inizia con una malattia si chiede quante probabilità hanno i pazienti con colite ulcerosa di sviluppare un cancro intestinale? In uno studio di coorte, un gruppo di pazienti che sono allo stesso punto dello sviluppo o dell'esposizione della malattia o alla condizione (per esempio alla prima manifestazione o alla diagnosi iniziale) (coorte iniziale) e liberi dal risultato di interesse sono seguiti per determinare chi sviluppa il risultato (fig. 4).

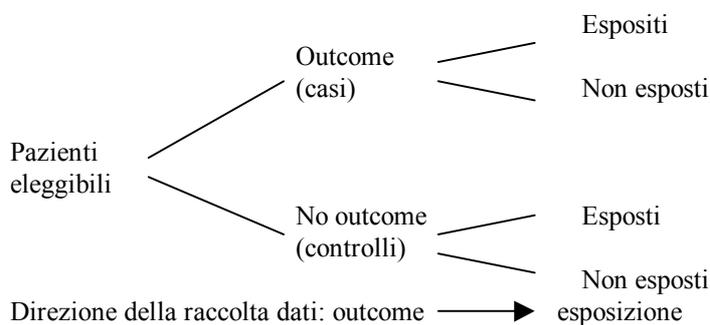


Fig. 4 Studio di coorte

Nel Caso del cancro del polmone, un esempio di uno studio di prognosi è di mettere insieme un gruppo di pazienti a cui è già stato diagnosticato un cancro al polmone e seguirli per determinare quando certi sintomi compaiono o quanto sopravvivono i pazienti.

La natura longitudinale dei disegni di coorte assicura che la malattia, la condizione o la situazione preceda gli esiti. Lo svantaggio di questo disegno sono le spese e il tempo richiesto per seguire un grande numero di pazienti fino a che qualcuno non sviluppi l'esito.

STUDI SINGOLI CONTRO REVISIONI SISTEMATICHE

I quesito sulla prevenzione o il trattamento della

malattia e le cause o il decorso delle malattie sono generalmente rivolti a più di uno studio. Le revisioni sistematiche della letteratura sono costituite per aiutare i professionisti e i fautori della politica sanitaria a mantenersi aggiornati con la letteratura relativa ad uno specifico argomento. In una revisione sistematica gli studi di ricerca adatti sono visti come una popolazione che deve essere campionata in modo sistematico e sorvegliata. Le caratteristiche e i risultati degli studi individuali sono quindi riassunti, quantificati, codificati e assemblati in un database che, se appropriato, è analizzato statisticamente in modo somigliante ad altri dati quantitativi. La combinazione statistica dei risultati di più di uno studio, o meta-analisi, effettivamente aumenta le dimensioni del campione e dei risultati in una stima più precisa dell'effetto che può essere ottenuto da ciascuno degli studi individuali usati nella meta-

