

Marianne Sullivan, professor i psykologi, Göteborgs universitet, chef, sektionen för vårdforskning, institutionen för invärtesmedicin, Sahlgrenska universitetssjukhuset, Göteborg (*marianne.sullivan@medicine.gu.se*)

Alf Tunsäter, leg psykolog, fil dr, specialist i allergologi, överläkare i medicin, Närsjukvården Österlen, Simrishamns sjukhus

Hälsorelaterad livskvalitet informativt effektmått i kliniska studier

Tillämpningsexempel: astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom

■ När behandlingsresultat vid t ex astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom (KOL) ska värderas kan FEV₁ och andra test av lungfunktionen liksom blodgasanalyser ses som surrogatmått för det som spontant upplevs som mest angeläget i patienternas liv: att slippa svår symtombörda, sjukhusvård och tung mediciner; att överleva och att ha en god livskvalitet, dvs att må bra och fungera i vardagen. En nyligen slutförd systematisk kunskapssammanställning av behandling av astma och kroniskt obstruktiv lungsjukdom har tagit fasta på detta [1]. Artikeln är en bearbetning av valda delar av denna SBU-rapport.

Incitamentet till att livskvalitetsforskning utvecklats inom hälso- och sjukvården är »hälsans paradox«: dvs förbättrad hälsoliv enligt traditionella indikatorer åtföljs inte automatiskt av bättre funktionsförmåga i vardagen, välbefinnande och tillfredsställelse med hälsan. Utvärdering av den givna vården kräver givetvis allmänt accepterade indikatorer. Livslängd, dödlighetstal, data från sjuk- och skaderegister och traditionella medicinska effektmått, såsom laboratoriedata, läkarbedömd sjukdomsaktivitet etc, har här sin givna plats. Sådana indikatorer är dock otillräckliga för att förstå hur människors livskvalitet påverkas av ohälsa och vilka vinster och begränsningar medicinska omhändertaganden medför i patienternas ögon.

Livskvalitet: begrepp och mätinstrument

Begreppet livskvalitet är, liksom hälsa, mångtydigt och kan inte ges en distinkt definition. Båda begreppen avspeglar olika aspekter av välbefinnande, men livskvalitet har ett avsevärt bredare innehåll. Hälsorelaterad livskvalitet innebär en pragmatisk avgränsning och avser främst funktion och välbefinnande vid ohälsa, sjukdom och behandling. Modellen för begrepp och mätning kan liknas vid ett kontinuum som löper från sjukdomsspecifika till generella aspekter, från fysisk till psykisk hälsa och från funktionsinskränkning till välbefinnande. Här ges exemplet astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom (Figur 1).

Utvecklingen under 1990-talets senare del har inneburit att standardiserade livskvalitetsmått börjat användas i kliniska studier och läkemedelsprövningar. Härmed kommer kunska-

SAMMANFATTAT

Tillförlitlig metodik för mätning av hälsorelaterad livskvalitet har utvecklats och prövats under ett par decennier i internationellt samarbete mellan läkare och metodexperter. De vanligast förekommande formulärens har anpassats och prövats för svenska förhållanden.

Frågeformulärens besvaras av patienten själv och omfattar väldefinierade nyckelområden: symtombörda, funktionsinskränkningar och välbefinnande fysiskt, psykiskt och socialt.

Hälsorelaterad livskvalitet som effektmått kan ge vägledning i dimensioneringen av behandlingsstudier, då denna typ av mått har dokumenterad förmåga att styrka kliniskt meningsfulla förändringar i hur patienten mår och fungerar i vardagen.

Hälsorelaterad livskvalitet lämpar sig också väl som effektmått vid systematiska kunskapsöversikter. Den viktigaste orsaken är att patientrapporterad information har ett mervärde, såsom visas i exemplet astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom (KOL).

Evidensbaserad medicin

pen att öka om den kliniska tolkningen av utfallet i dessa instrument och om det mervärde patientbaserad information kan ha. Ett problem har varit att få, om ens några, studier dimensionerats med särskild hänsyn till potentialen hos livskvalitet som effektmått, en annan att många specifika mått ännu inte validerats internationellt.

De här framförda exemplen på användbara formulär från astma/KOL-området innebär att specifika mått kombineras med generella för god täckning av begreppet hälsorelaterad livskvalitet. Så t ex är SF-36 Hälsoenkät det i dag mest tilläm-

II Fakta 1

Beräkning av responsivitet

Responsivitet kan beräknas utifrån distributionsparametrar. Det innebär exempelvis att en skillnad i medeltal mellan mätillfällen (t ex mellan baslinje och uppföljning) divideras med ett spridningsmått (t ex standardavvikelsen vid baslinjen): effect size. Det kan också innebära skillnaden mellan två mätillfällen dividerad med standardavvikelsen för denna skillnad: standardized response mean. Tumregler för värdering finns. Till exempel indikerar en kvot under 0,20 trivial effekt och en kvot över 0,80 stor effekt.

pade generella effektmåttet, närmast en »gylle standard«, vilket underlättar tolkning av resultat. Patientgrupp och frågeställningar/hypoteser faller slutligt avgörande vad gäller bästa val av sjukdomsspecifika mätinstrument eller tillägg i kommande studier.

Kvalitetsbedömning av livskvalitetsmått

Medical Outcomes Trust (MOT) är en ideell organisation som garanterar tillgängligheten av goda resultatmått vad gäller hälsostatus och hälsorelaterad livskvalitet samtidigt som standardiseringen av innehåll, poängsättning, skalkonstruktioner och benämning skyddas. Syftet har varit att åstadkomma universell spridning av mätinstrument som uppfyller särskilda krav på psykometrisk kvalitet, definierade av en internationellt sammansatt expertgrupp 1995 [2]. Konstruktörer av dylika resultatmått inviteras att ansöka om MOT-auktorisering. Verksamheten har skärpt uppmärksamheten så att standardiserade mått ökat i användning, även om ytterligare riktlinjer behövs för tolkning av resultat från kliniska utvärderingsförsök/kliniska prövningar. Flera initiativgrupper, t ex European Regulatory Issues Quality of Life Assessment (ERIQA) Group [3] och Cochrane Health-Related Quality of Life Methods Group (HRQL MG) [4], verkar för mer enhetlig dokumentation inom området.

Bedömning av effekttorlekar

Ett nyckelbegrepp bland MOT-kriterierna är responsivitet, dvs ett mätinstrumentets förmåga att reflektera förändringar som kan vara kliniskt viktiga. Olika sätt att beräkna effekttorlekar har därvid använts (Fakta 1).

Metoderna är självklart generella och har redovisats i forskningssammanhang sedan mitten av 1980-talet, bl a inom reumatologisk forskning. Förändringar i formulärdata har därvid också jämförts med förändringar i traditionella kliniska mått. Fördelen är att man kan bli oberoende av mätinstrumenten vid jämförelse av effekter. Nackdelen är att formulärdata strikt sett aldrig uppfyller kraven på intervallskala utan har olika lätt att förändras utefter skalans sträckning. Det är således inte säkert att man kan jämföra en förändring från t ex 50 till 60 poäng på en 0–100-skala med en förändring från 10 till 20. Nedan ges några exempel på kritiska frågor som följer:

- Är det rättvisande att jämföra en förändring i ett livskvalitetsinstrument med en förändring av blodgasmätningar eller spirometriverden?
- Är det rimligt att jämföra storleken på en förändring i ett livskvalitetsformulärs fysiskt orienterade skalor med storleken på en förändring i psykosocialt orienterade skalor?
- Hur ska man jämföra effekttorlek inom skalans »normala nivåer« med effekttorlek inom patologiska nivåer, t ex

sänkt stämningsläge versus depressivitet/klinisk depression?

Beräkning av effekttorlekar bör komplettera, inte ersätta, annan konventionell statistik inklusive hypotesprövning och utnämning av primära och sekundära resultatmått [5].

Exemplet astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom

Figur 1 visar begrepp och instrument längs ett tänkt kontinuum enligt ovan för att klargöra innehåll och position hos vanligen förekommande resultatmått vid astma och kroniskt obstruktiv lungsjukdom [1]. Fler specifika och generella mått från samma rapport finns sammanställda i Fakta 2.

Kliniskt meningsfull förändring. Förutom god effekttorlek enligt ovan är klinisk relevans väsentlig, dvs att det rör sig om s k ankar- eller kriteriebaserad förändring. Exempelvis har på effekttorleksgrund fem poängs skillnad i SF-36, 0–100-skala, av upphovsmännen framförts representera ett tröskelvärde för en kliniskt och socialt relevant förändring [6]. Denna robusta bedömning utifrån ett begränsat antal kliniska studier, där patienter med sjukdom av olika svårighetsgrad kunnat urskiljas väl genom hälsoprofilen, har senare fått stöd från ett stort antal kliniska prövningar. Kön- och åldersperspektivet ska särskilt beaktas. En generell trend att kvinnor rapporterar mer symtom, funktionsinskränkningar och illabefinnande än män är välkänd från epidemiologisk och klinisk forskning. Likaså kan en långsam och kontinuerlig försämring ses i fysiskt orienterade skalor med stigande ålder medan psykosociala aspekter av livskvaliteten blir sämre först efter 70-årsåldern. Att vara fränskild, ha låg utbildningsnivå, vara arbetslös eller bo i storstadsregion är exempel på sociala karakteristika med negativ inverkan på livskvalitetsmått.

Flera specifika mått vid astma och kroniskt obstruktiv lungsjukdom har genomgått särskilt upplagda studier med enda mål att fastställa tröskelvärden för kliniskt meningsfull förändring. Både patienter och vårdgivare har rekryterats och fått värdera det principiellt viktiga: vid vilken minsta poängskillnad i respektive formulärs skala en förändring i hälsotillståndet kan upplevas eller iakttas. Denna forskning har t ex visat att 4 poängs skillnad, 0–100-skala, i SGRQ och 0,5 poängs skillnad, 1–7-skala, i CRQ och AQLQ utgör minsta skillnad av betydelse (minimal important difference, MID) (se Figur 1 och Fakta 2 för tolkning av instrumentförkortningar). Dessa resultat gäller vuxna. Formulär för barn och föräldrar, främst PAQLQ och PCAQLQ, har nyligen börjat användas, och kliniskt meningsfull förändring återstår att fastställa.

Kliniskt underbyggda tröskelvärden kan tillåta meningsfulla beräkningar av antalet patienter som behöver behandlas för att en patient ska nå framgång (number-needed-to-treat, NNT). Sådan tolkning av livskvalitetsdata har nyligen visats ha kompletterande värde vid en randomiserad och kontrollerad korsstudie (cross-over) av salmeterol vs salbutamol vs placebo vid astma. NNT-analysen av tidigare publicerade data [7] visade att fyra patienter behövde behandlas med salmeterol för att en patient skulle få kliniskt meningsfull förbättring över den som åstadkommit med salbutamol. Motsvarande NNT för salmeterol vs placebo var två patienter [8].

Hälsorelaterad livskvalitet var ett av de fyra effektmått som låg till grund för urval av studier och slutsatser av behandling i SBU-rapporten [1]. De studier som refereras till i det följande finns granskade i rapporten. De är randomiserade kontrollerade studier eller kliniska kontrollerade studier och uppfyller höga krav på evidens.

Kortverkande beta-2-stimulerare och antikolinergika. Effekten på livskvalitet är inte studerad. En anledning kan vara att des-

Begrepp Sjukdomsrelaterade/generella	Instrument Respiratoriska/generella																								
Tillståndsspecifika Symtom/besvär/konsekvenser	<table border="0"> <tr> <td>SGRQ</td> <td>CRQ</td> <td>AQLQ</td> <td>LWAQ</td> </tr> <tr> <td>• Symtom</td> <td>• Dyspné</td> <td>• Symtom</td> <td>• Fysisk hälsa</td> </tr> <tr> <td>• Aktivitet</td> <td>• Trötthet</td> <td>• Aktivitet</td> <td>• Psykisk hälsa</td> </tr> <tr> <td>• »Impacts«</td> <td>• Emotionell</td> <td>• Omgivning</td> <td>• Total</td> </tr> <tr> <td>• Total</td> <td>• »Mastery«</td> <td>• Emotionell</td> <td>(11 skalor)</td> </tr> <tr> <td></td> <td>• Total</td> <td>• Total</td> <td></td> </tr> </table>	SGRQ	CRQ	AQLQ	LWAQ	• Symtom	• Dyspné	• Symtom	• Fysisk hälsa	• Aktivitet	• Trötthet	• Aktivitet	• Psykisk hälsa	• »Impacts«	• Emotionell	• Omgivning	• Total	• Total	• »Mastery«	• Emotionell	(11 skalor)		• Total	• Total	
SGRQ	CRQ	AQLQ	LWAQ																						
• Symtom	• Dyspné	• Symtom	• Fysisk hälsa																						
• Aktivitet	• Trötthet	• Aktivitet	• Psykisk hälsa																						
• »Impacts«	• Emotionell	• Omgivning	• Total																						
• Total	• »Mastery«	• Emotionell	(11 skalor)																						
	• Total	• Total																							
Funktion: generella Fysiska/ rörlighetsorienterade konsekvenser	<p>SIP</p> <ul style="list-style-type: none"> • Total (12 kategorier) • Fysisk dimension (3 kategorier): gång, rörlighet, personlig skötsel • Fristående (5 kategorier): hushållsarbete, sömn–vila, fritid–rekreation, arbete, födointag 																								
Fysisk hälsa	<p>SF-36</p> <ul style="list-style-type: none"> • Fysisk hälsokomponent (4 skalor): fysisk funktion, rollfunktion–fysiska begränsningar, smärta, allmän hälsa 																								
Sociala/emotionella/kognitiva konsekvenser	<p>SIP</p> <ul style="list-style-type: none"> • Psykosocial dimension (4 kategorier): social interaktion, psykisk balans, uppmärksamhet–koncentration, kommunikation 																								
Psykisk hälsa/välbefinnande: generella	<p>SF-36</p> <ul style="list-style-type: none"> • Psykisk hälsokomponent (4 skalor): vitalitet, social funktion, rollfunktion–känslomässiga begränsningar, psykiskt välbefinnande <p>HAD</p> <ul style="list-style-type: none"> • Depression • Ångest 																								
Livskvalitet totalt sett	<ul style="list-style-type: none"> • Globalskattningar, globalindex 																								

Figur 1. Hälsorelaterad livskvalitet – kontinuum av begrepp och vanliga instrument vid astma/KOL. (Modifierat från Sullivan och medarbetare [17]).

sa preparat varit väl etablerade långt innan livskvalitetsstudier blev aktuella.

Inhalationssteroider. Flera studier har visat att inhalationssteroider ökar livskvaliteten. Såväl generella som specifika frågeformulär har använts. Patienter med svår, oralsteroidberoende astma som behandlas med inhalationssteroider (flutikason) får förbättrad livskvalitet mätt med SF-36 [9]. Det är i första hand begränsningar i fysisk funktion och begränsningar i vanliga regelbundna aktiviteter som minskar, men uppfattningen om hälsan i allmänhet och det psykiska välbefinnandet ökar också. Vid jämförelse av effekterna av budesonid i dosen 200 µg respektive 400 µg en gång per dag förbättras livskvaliteten mätt med AQLQ i båda budesonidgrupperna jämfört med placebo [10]. Författarna redovisade dock inte

vilken eller vilka domäner som förbättrades mest. I en studie av patienter med medelsvår astma, där man jämförde 100, 200 och 500 µg flutikasonpropionat i pulverform med placebo, användes SF-36 [11]. I alla grupperna visade de två ovan nämnda fysiska SF-36-variablerna förbättring. Vid de två högsta doserna förbättrades psykiskt välbefinnande, vitalitet och summaindex för mental hälsa.

Inhalationssteroid och långverkande beta-2-stimulerare. Endast två studier är publicerade där man jämfört effekten på livskvalitet av beklometason och salmeterol med budesonid enbart respektive med placebo [12, 13]. LWAQ användes. Man fann ingen skillnad mellan grupperna.

Teofyllin. Endast en studie av livskvalitet och teofyllinbe-



Annons

Annons

II Fakta 2

Hälsorelaterad livskvalitet – vanliga specifika och generella mått vid astma/kroniskt obstruktiv lungsjukdom (KOL)

Instrumentförkortningar för standardformulär i Figur 1

Tillståndsspecifika: astma och KOL

SGRQ: St George's Respiratory Questionnaire [18]
Svensk version [19]

Tillståndsspecifika: KOL

CRQ: Chronic Respiratory Questionnaire [20]
(svensk version under utveckling)

Tillståndsspecifika: astma

AQLQ¹: Asthma Quality of Life Questionnaire [21]
(svensk version föreligger)

AQLQ(S): Standardized version of the AQLQ [22]

LWAQ: Living With Asthma Questionnaire [23]
(svensk version föreligger)

Generella: funktion

SIP¹: Sickness Impact Profile [24]
Svensk version [25]

Generella: funktion & välbefinnande

SF-36¹: Short Form-36 Health Survey [26]
Svensk version [27]

Generella: psykisk hälsa

HAD: Hospital Anxiety and Depression scale [28]
Svensk version [29]

Instrumentförkortningar för standardformulär, ej i Figur 1

Tillståndsspecifika: astma

PAQLQ¹: Paediatric Asthma Quality of Life Questionnaire [30]
Svensk version [31]

PCAQLQ¹: Paediatric Caregiver's Asthma Quality of Life Questionnaire [32]
Svensk version [33]

CAQC: Childhood Asthma Questionnaire Form C [34]

AQLQ: Asthma Quality of Life Questionnaire [35]

Generella: funktion

NHP: Nottingham Health Profile [36]
Svensk version [37]

Generella: funktion & välbefinnande

MHIQ: McMaster Health Index Questionnaire [38]

Generella: psykisk hälsa

GHQ: General Health Questionnaire [39]

POMS: Profile of Mood States [40]

Instrumentförkortningar för globala (hälsoekonomiska) index

QWB: Quality of Well-Being scale [41]

EQ-5D: EuroQol [42]; inkluderar svensk version

HUI: Health Utilities Index [43]

15D: Fifteen-dimensional measure of health-related quality of life [44]

¹Auktoriserat av Medical Outcomes Trust [2]

handling är publicerad [14]. Den avsåg att jämföra effekten av salmeterol med oralt teofyllin. Man fann att båda behandlingarna förbättrade livskvaliteten. Det förelåg däremot inte någon skillnad mellan grupperna. En italiensk version av LWAQ användes.

Antileukotriener. Samtliga fyra domäner i AQLQ visade förbättring när patienterna i en placebokontrollerad multicenter-

studie av stabil astma behandlades med montelukast [15]. AQLQ har också använts i en studie som jämfört montelukast, budesonid och placebo [16]. Alla fyra domänerna visade förbättring för båda behandlingarna jämfört med placebo.

Hyposensibilisering. Förändringar i livskvalitet vid hyposensibilisering på indikationen astma är inte studerade.

Sammanfattning: exemplet astma

Att utvärdera effekten av astmabehandling på individens livskvalitet, dvs en effekt ur patientens synvinkel, är väsentligt. Det finns i dag mätinstrument tillgängliga som uppfyller höga vetenskapliga krav. Dessa instrument har utvecklats de senaste årtiondena. Därför är det först de senaste åren som livskvalitetsmätningar vid farmakologiska studier har blivit vanliga. Frånvaron av bevis för att ett visst astmaläkemedel påverkar livskvaliteten behöver således inte betyda att effekt saknas – det kan helt enkelt vara så att det inte är studerat. Detta gäller exempelvis etablerade läkemedel såsom beta-2-stimulerare och antikolinergika.

Livskvalitet ett bra effektmått i kliniska studier

Under de senaste decennierna har tillförlitlig metodik för mätning av livskvalitet i sjukvården utvecklats och prövats i internationellt samarbete mellan läkare och metodexperter. Etablerade livskvalitetsmått i sjukvården är alltid multidimensionella, kvantitativa och uppbyggda enligt psykometrisk teori till sammansatta skalor, profiler och index med känd reliabilitet, validitet och känslighet för kliniskt relevanta förändringar. Dessa formulär, som patienten själv kan hantera med kortfattad vägledning, omfattar väldefinierade nyckelområden som symtombörda, funktionsinskränkningar och välbefinnande fysiskt, psykiskt och socialt. Metodiken har värderats så att riktlinjer för användning och tolkning kunnat anges. De vanligast förekommande resultatmått har anpassats för och prövats under svenska förhållanden. Viktiga fördelar med livskvalitet som effektmått är:

- patientbaserad informationskälla, självskattning
- mångdimensionellt begrepp, hälsorelaterat
- god förmåga att styrka förändringar i hur patienten mår och fungerar i vardagen
- kan ge vägledning i dimensioneringen av behandlingsstudier.

Livskvalitetsmått har en framtid i vår sjukvård

Livskvalitetsdata, som belyser behandlingsresultat för grupper av patienter, har redan bidragit till förbättringar i vården av den enskilde åtminstone på ett generellt plan. Dokumentation av forskning på individnivå har just startat, men klart är att behandlingsregimer kan korrigeras på grundval av livskvalitetsdata så att patienternas motivation att påbörja och fullfölja behandling ökar och så att effekterna optimeras. Vårdtagaren själv kan få hjälp att bättre lägga märke till viktiga symtom och ges möjlighet att informera vårdgivaren bättre om sjukdomsbörda och bieffekter av behandling, vilket underlättar att en skräddarsydd behandling kommer till stånd. För vårdgivaren ger mätningarna ny information om patienten. Ansvariga för policybeslut i vården kan få vägledning av patientbaserad information vid exempelvis uppläggning av nya vårdprogram.

Referenser

1. Behandling av astma och KOL. En systematisk kunskapsställning. Stockholm: SBU, Statens beredning för medicinsk utvärdering; 2000. Rapport nr 151.
2. The Medical Outcomes Trust: Scientific Advisory Committee. In-

- strument review criteria. *MOT Bulletin* 1995;3(4):1-4.
3. Acquadro C for the ERIQA Group. The European Regulatory Issues on Health-Related Quality of Life Assessment (ERIQA) Project: Preliminary results and plans for the future. *Quality of Life Newsletter* 2000;24:1-3.
 4. Staniek V. Cochrane Health-Related Quality of Life Methods Group (HRQoL MG): toward registration. *Quality of Life Newsletter* 2001;26:1-2.
 5. Guyatt GH, King DR, Feeny DH, Stubbing D, Goldstein RS. Generic and specific measurement of health-related quality of life in a clinical trial of respiratory rehabilitation. *J Clin Epidemiol* 1999;52:187-92.
 6. Ware JE Jr, Snow KK, Kosinski M, Gandek B. SF-36 Health survey manual and interpretation guide. Boston: New England Medical Center: The Health Institute; 1993.
 7. Juniper EF, Johnston PR, Borkhoff CM, Guyatt GH, Boulet LP, Haukioja A. Quality of life in asthma clinical trials: comparison of salmeterol and salbutamol. *Am J Respir Crit Care Med* 1995;151:66-70.
 8. Juniper EF. Interpreting of quality of life data. *Quality of Life Newsletter* 1999;23:3.
 9. Noonan M, Chervinsky P, Busse WW, Weisberg SC, Pinnas J, de Boisblanc BP, et al. Fluticasone propionate reduces oral prednisone use while it improves asthma control and quality of life. *Am J Respir Crit Care Med* 1995;152:1467-73.
 10. McFadden ER, Casale TB, Kemp JP, Metzger WJ, Nelson HS, et al. Administration of budesonide once daily by means of turbuhaler to subjects with stable asthma. *J Allergy Clin Immunol* 1999;104:46-52.
 11. Mahajan P, Okamoto LJ, Schaberg A, Kellerman D, Schoenwetter WF. Impact of fluticasone propionate powder on health-related quality of life in patients with moderate asthma. *J Asthma* 1997;34:227-34.
 12. Hyland ME, Crocker GR. Validation of an asthma quality of life diary in a clinical trial. *Thorax* 1995;50:724-30.
 13. Vermetten FA, Boermans AJ, Luiten WD, Mulder PG, Vermue NA. Comparison of salmeterol with beclomethasone in adult patients with mild persistent asthma who are already on low-dose inhaled steroids. *J Asthma* 1999;36:97-106.
 14. Nutini S, Martini T, Righi R. Long-term treatment of asthmatic patients with salmeterol vs slow-release theophylline. *Respir Med* 1998;92:683-90.
 15. Reiss TF, Chervinsky P, Dockhorn RJ, Shingo S, Seidenberg B, Edwards TB. Montelukast, a once-daily leukotriene receptor antagonist, in the treatment of chronic asthma: a multicenter, randomized, double-blind trial. Montelukast Clinical Research Study Group. *Arch Intern Med* 1998;158:1213-20.
 16. Malmström K, Rodriguez-Gomez G, Guerra J, Villaran C, Pineiro A, Wei LX, et al. Oral montelukast, inhaled beclomethasone, and placebo for chronic asthma. A randomized, controlled trial. Montelukast/Beclomethasone Study Group. *Ann Intern Med* 1999;130:487-95.
 17. Sullivan M, Karlsson J, Taft C. How to assess quality of life in medicine: Rationale and methods. In: Guy-Grand B, Ailhaud A, editors. *Progress in obesity research*: 8. London: John Libbey; 1999. p. 749-55.

I Läkartidningens elektroniska arkiv
<http://tarkiv.lakartidningen.se>
 är artikeln kompletterad med fullständig referenslista.

SUMMARY

Health-related quality of life informative as outcome measure in clinical studies
 Practical example: asthma/chronic obstructive pulmonary disease

Marianne Sullivan, Alf Tunsäter

Läkartidningen 2001;98:4428-33

Methods for measuring health-related quality of life have been developed and proven valid during the past two decades. It was accomplished through international collaborations between clinicians and method experts. Standardized questionnaires, self-administered by patients, include key domains such as symptoms, functional limitations and well-being from a physical, mental and social perspective. The commonly used instruments are adapted and validated for Swedish conditions. Clinical trials can be powered also according to these outcome measures, as they show documented responsiveness to important changes in patients' everyday functioning and well-being. Patient-reported outcome of treatment efficacy is nowadays adequately standardized for scientific reviews according to the conventional criteria of evidence based medicine. Most importantly, health-related quality of life measures will provide new information of clinical value as demonstrated here in the example of asthma/chronic obstructive pulmonary disease. Thus, outcome can be better assessed by changes in the total burden of disease and its consequences than in terms of pulmonary function tests or biochemical markers.

*Correspondence: Marianne Sullivan, Health Care Research Unit, Dept of Internal Medicine, Sahlgrenska universitetssjukhuset, SE-413 45 Göteborg, Sweden
 (marianne.sullivan@medicine.gu.se)*